

Egetis meddelar positiva resultat från ReTRIACt-studien med Emcitate® (tiratricol) vid MCT8-brist

- **Positiva toplineresultat påvisar en statistiskt signifikant ($p=0,034$) skillnad i förändringshastigheten av serum-T3-nivåer hos patienter randomiserade till utsättning av behandlingen (placebo) jämfört med patienter som fortsatte på behandling (tiratricol).**
- **ReTRIACt-studien är den sista studien som rapporteras för Emcitate® (tiratricol) i patienter med MCT8-brist och kompletterar resultaten från EMC Survival Study och övriga kliniska data till ansökan om godkännande i USA (New Drug Application (NDA)), enligt diskussioner med FDA vid pre-NDA-mötet i oktober 2025.**
- **En rolling submission av NDA planeras starta i december 2025, med målet att avsluta ansökan i början av 2026 och att FDA:s granskning förväntas slutföras under tredje kvartalet 2026, förutsatt att Priority Review beviljas.**
- **En webcast för analytiker och investerare kommer att hållas idag kl. 10:00 CET. Ytterligare information nedan.**

Stockholm den 14 november 2025. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelade idag positiva toplineresultat från ReTRIACt-studien av Emcitate® (tiratricol) hos patienter med MCT8-brist.

ReTRIACt-studien (clinicaltrials.gov identifier [NCT05579327](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT05579327)) är en dubbelblind, multicenter, placebokontrollerad, randomiserad utsättningsstudie i patienter med MCT8-brist. Manliga patienter från 4 års ålder och uppåt som uppnått stabil underhållsbehandling med tiratricol randomiserades till att antingen fortsätta med tiratricol eller erhålla placebo under 30 dagar, eller tills ett rescuekriterium uppnåddes (serum totalt trijodtyronin [T3] > övre normalgränsen [ULN]).

Som en del av det pre-NDA-möte som Egetis höll med FDA i oktober 2025, baserat på den Breakthrough Therapy Designation som beviljades i juli 2025, bekräftade FDA att data från ReTRIACt-studien i NDA-ansökan kommer att komplettera befintliga data från EMC Survival Study och andra kliniska data. Baserat på FDA:s synpunkter, reviderades även den statistiska analysplanen (SAP) för ReTRIACt-studien, varefter studien avslutades. Ett primärt effektmått 1 (PE1), som utvärderar förändringshastigheten i serum-T3 under den dubbelblinda randomiserade behandlingsperioden, lades till det tidigare beskrivna primära effektmåttet 2 (PE2), som baseras på T3-rescuekriteriet. Typ I-felet kontrolleras via "alpha recycling", där PE1 testas först och, om PE1 uppnås, testas därefter PE2.

Det primära effektmåttet 1 (PE1), förändringshastighet i serum-T3 under den randomiserade behandlingsperioden, uppvisade en statistiskt signifikant skillnad mellan placebo och tiratricol (kvoten av T3 förändringshastigheten (placebo/tiratricol): 1,494 [95% CI: 1,035; 2,155]; $p=0,034$). Resultaten visar en tydlig separation mellan grupperna: samtliga 8 patienter som randomiserades till placebo uppvisade en ökning i serum-T3 under den randomiserade behandlingsperioden (intervall: 0,49 - 2,08 nmol/L), som var större än den hos samtliga 7 patienter som fortsatte på tiratricol (intervall: -0,24 - 0,40 nmol/L). I placebogruppen uppnådde 4 patienter rescuekriteriet under den randomiserade behandlingsperioden, jämfört med 0 patienter i tiratricolgruppen ($p=0,070$, baserat på observerade fall av rescue). En patient som randomiserades till tiratricol avbröt studien (ej läkemedelsrelaterat) under den randomiserade behandlingsperioden, vilken enligt SAP klassificerades som rescue i analysen av PE2, vilket resulterade i en jämförelse 4 (placebo) mot 1 (tiratricol) för PE2 ($p=0,182$). Samtliga patienter som randomiserades till placebo uppvisade en förväntad sänkning av serum T3-nivåer efter återinsättande av tiratricol under uppföljningsperioden.

I enlighet med utfallet från pre-NDA-mötet med FDA i oktober 2025 planerar Egetis nu att lämna in en NDA för Emcitate® (tiratricol) baserad på befintliga kliniska data i patienter med MCT8-brist, inklusive data från Triac Trial I, Triac Trial II, ReTRIACt, EMC Cohort Study, EMC Survival Study och det amerikanska Expanded Access Programmet. En rolling submission inleds med en första del i december 2025, med målet att en komplett NDA-inlämning skall ske i början av 2026 och att FDA:s granskningsprocess förväntas avslutas under tredje kvartalet 2026, förutsatt att Priority Review beviljas. Eftersom Emcitate®

(tiratricol) har Breakthrough Therapy Designation, kommer Egetis att begära prioriterad granskning ('priority review'). Emcitate® (tiratricol) har dessutom Orphan Drug Designation, Fast Track Designation och Rare Pediatric Disease Designation i USA. Emcitate® (tiratricol) godkändes i EU i februari 2025 och lanserades i Tyskland i maj 2025. Emcitate® (tiratricol) är ännu inte godkänt för användning i USA.

Nicklas Westerholm, vd för Egetis, kommenterade: *"Vi är mycket glada över de positiva toplineresultaten från ReTRIACt-studien och ser fram emot att påbörja en rolling submission av NDA i december 2025, med målsättningen att slutföra NDA ansökan i början av 2026. Vi ser fram emot att kunna erbjuda denna potentiella behandling till patienter i USA så snart som möjligt. Behandling med tiratricol vid MCT8-brist ingår redan i de kliniska riktlinjerna från European Thyroid Association, och Emcitate® (tiratricol) godkändes för behandling av MCT8-brist inom EU i februari 2025.*

"Vi känner stor tacksamhet för det stöd patienterna, deras familjer samt de prövare som deltagit i ReTRIACt-studien har gett oss."

Resultaten kommer att presenteras vid en kommande vetenskaplig konferens, skickas in till en 'peer-reviewed' medicinsk tidskrift och delas med regulatoriska myndigheter.

Information om webcast

Om du önskar delta via webcasten gå in på nedan länk. Via webcasten finns möjlighet att ställa skriftliga frågor.

<https://egetis.events.inderes.com/webcast-nov-14-2025>

Om du önskar ställa muntliga frågor via telefonkonferens registrerar du dig via länken nedan. Efter registreringen får du telefonnummer och ett konferens-ID för att logga in till konferensen. Via telefonkonferensen finns möjlighet att ställa muntliga frågor.

<https://events.inderes.com/egetis/webcast-nov-14-2025/dial-in>

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Nicklas Westerholm, vd
+46 (0) 733 542 062
nicklas.westerholm@egetis.com

Karl Hård, Head of Investor Relations & Business Development
+46 (0) 733 011 944
karl.hard@egetis.com

Denna information är sådan information som Egetis Therapeutics är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 2025-11-14 07:00 CET.

Om MCT8-brist

MCT8-brist är en mycket sällsynt sjukdom med betydande medicinskt behov där det idag inte finns någon behandling. Sköldkörtelhormoner är essentiella för utveckling och kontroll av metabolismen i de flesta typer av vävnader, vilket kräver transport över cellmembran. En av nyckeltransportörerna av sköldkörtelhormon i kroppen över cellmembran är MCT8 (monokarboxylattransportör 8). Mutationer i genen för MCT8, som sitter på X-kromosomen, leder till MCT8-brist, även kallat Allan Herndon Dudley syndrom (AHDS), vilket främst drabbar män. MCT8-brist leder till problem med transport av sköldkörtelhormon till olika typer av celler inklusive hjärnan och dess nervceller samt sköldkörtelhormonrubbingar. Avsaknad av sköldkörtelhormon i det centrala nervsystemet leder till kraftigt påverkad neurokognitiv utveckling och funktionsnedsättning. De ökade nivåerna av cirkulerande sköldkörtelhormon är skadligt för andra organ som hjärta, muskler, lever och njurar vilket leder till kraftigt nedsatt kroppsvikt, kardiovaskulär påverkan, sömnbrist och muskelbrist. De flesta patienter med MCT8-brist uppnår inte basala motoriska färdigheter såsom att hålla sitt eget huvud eller sitta.

För ytterligare information, vänligen se www.mct8deficiency.eu

EU-kommissionen har godkänt Emcitate® (tiratricol) för behandling, från födseln, av perifer tyreotoxikos hos patienter med brist på monokarboxylattransportör 8 (MCT8) (Allan-Herndon-Dudley syndrom). Emcitate® (tiratricol) är inte godkänd i USA.

Om Egetis Therapeutics AB

Egetis är ett innovativt och integrerat läkemedelsbolag, fokuserat på projekt i sen klinisk utvecklingsfas för kommersialisering inom sällrökemedelsområdet för behandling av allvarliga och sällsynta sjukdomar med betydande medicinska behov.

Bolagets ledande läkemedelskandidat Emcitate® (tiratrikol) utvecklas som den första och enda godkända behandlingen för patienter med MCT8-brist, en sällsynt sjukdom med ett stort medicinskt behov. Egetis erhöi marknadsgodkännande för Emcitate® i EU i februari 2025 som den första och enda behandlingen för MCT8-brist. Egetis inledde lanseringen av Emcitate® i Tyskland den 1 maj 2025.

Bolaget har kommit överens med FDA om att lämna in en löpande NDA för Emcitate® (tiratricol), med start i december 2025, med målet att NDA-ansökan ska vara slutförd i början av 2026 så att FDA:s granskningsprocess ska slutföras under det tredje kvartalet 2026.

Baserat på feedback från FDA kommer NDA-ansökan för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist att baseras på redan tillgängliga kliniska data från Triac Trial I, Triac Trial II, ReTRIACt, EMC Cohort Study, EMC Survival Study och det amerikanska Expanded Access-programmet.

Tiratrikol har sällrökemedelsstatus ('orphan drug designation', ODD) i USA och EU för MCT8-brist och RTH-beta. MCT8-brist och RTH-beta är separata indikationer med distinkta patientpopulationer. I USA har Emcitate även beviljats Breakthrough Therapy Designation och Rare Pediatric Disease Designation (RPDD), vilket ger Egetis möjligheten att erhålla en Priority Review Voucher (PRV), efter marknadsgodkännande. I UK har Emcitate erhållit Promising Innovative Medicine status av den brittiska läkemedelsmyndigheten MHRA.

Aladote® (calmangafodipir) är en "first-in-class" läkemedelskandidat som utvecklas för att reducera risken för akuta leverskador till följd av paracetamolförgiftning. En "proof of principle"-studie har framgångsrikt avslutats och utformningen av en registreringsgrundande fas 2/3 studie, Albatross, med syfte att ansöka om marknadsgodkännande i USA och Europa har slutförts efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna i USA, EU och Storbritannien. Utvecklingsprogrammet för Aladote® har parkerats tills ansökningarna om marknadsgodkännande för Emcitate® för MCT8-brist har fullbordats. Aladote® har beviljats ODD i USA och EU.

Egetis Therapeutics är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista (Nasdaq Stockholm: EGTX).

För mer information, se www.egetis.com.

Bifogade filer

[Egetis meddelar positiva resultat från ReTRIACt-studien med Emcitate® \(tiratricol\) vid MCT8-brist](#)