

## Egetis deltar i TV-programmet Behind the Mystery som sänds på Lifetime kanalen i USA för att öka medvetenheten om MCT8-brist

**Stockholm, den 20 februari 2025** – Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTIX), kommer att uppmärksammas i Behind the Mystery™, en TV-serie i USA som sänds i morgonprogrammet The Balancing Act®. Detta avsnitt, sponsrat av Egetis, vill öka medvetenheten om MCT8-brist med anledning Rare Disease Day, som observeras den 28 februari.

Genom verkliga berättelser om patienter med MCT8-brist och deras vårdgivare kommer avsnittet att skildra vägen till diagnos, sjukdomsbördan och behovet av behandlingsalternativ. Avsnittet innehåller insikter från Dr. Andrew J. Bauer, endokrinolog och medicinsk chef vid Children's Hospital of Philadelphia; Dr. Larry A. Fox, chef för pediatrik endokrinologi och diabetes vid Nemours Children's Health i Jacksonville; Jennifer Favre, styrelseledamot i MCT8-AHDS Foundation; samt Anny Bedard, president för Egetis North America. Egetis har nyligen fått marknadsgodkännande i EU för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist. Emcitate är inte godkänt i USA.

*"Egetis drivs av tre viktiga pelare: Courage (mod), Commitment (engagemang) och Collaboration (samarbete)," säger Bedard. "Vi har modet att ta oss an svåra sjukdomar som MCT8-brist, engagemanget att upprätthålla de högsta etiska standarderna och vi värdesätter det pågående samarbetet med MCT8-AHDS Foundation och The Balancing Act för att öka medvetenheten och förståelsen för MCT8-brist. För närvarande finns det inga godkända läkemedel för MCT8-brist i USA, vilket skapar ett stort ouppfyllt medicinskt behov som vi arbetar hårt för att tillgodose."*

*"Att utbilda människor om tecken och symtom på MCT8-brist samt att dela patientberättelser, som min son Coltons, är av yttersta vikt," tillägger Favre. "På Rare Disease Day och varje annan dag är MCT8-brist en förödande sjukdom som behöver erkännande, stöd, resurser och, framför allt, en behandling."*

The Balancing Act Behind the Mystery MCT8-brist-avsnittet kommer att sändas den 24 februari och den 3 mars. En repris av avsnittet kan ses på <https://www.TheBalancingAct.com/rare>.

### Om Behind the Mystery™

Behind the Mystery™ är en återkommande serie i TV-programmet The Balancing Act®, som fokuserar på att förespråka sällsynta och genetiska sjukdomar. Serien förenklar ofta komplexa ämnen genom att erbjuda lättförståeliga förklaringar från ledande experter inom området och samarbetar med stiftelser och läkemedelsföretag. Vi förstärker rösterna från patienter, familjer och förespråkare som påverkas av sällsynta sjukdomar via vår nationella TV-plattform. Se Behind the Mystery vardagar kl. 07:30 (ET /PT) på Lifetime® och hitta alla tidigare avsnitt på [TheBalancingAct.com/rare](https://www.TheBalancingAct.com/rare).

### Om MCT8-AHDS Foundation

MCT8-AHDS Foundation består av en grupp engagerade föräldrar och är helt baserad på ideellt arbete. Vi strävar efter att förbättra livskvaliteten och potentialen för våra barn, stödja hundratals familjer världen över, sprida hopp om en ljusare framtid, lära oss av våra gemensamma erfarenheter och öka medvetenheten om denna ultraräta sjukdom bland läkare, forskare och allmänheten. För mer information, besök <https://www.mct8.info/>.

### Om MCT8-brist

Monocarboxylate transporter 8 (MCT8)-brist orsakas av mutationer i genen för MCT8. Den resulterande dysfunktionen i MCT8 leder till en nedsatt transport av sköldkörtelhormon in i vissa celler och över blod-hjärnbarriären, vilket stör den normala

regleringen av sköldkörtelhormon. Patienter med MCT8-brist har därför låga koncentrationer av sköldkörtelhormon i centrala nervsystemet och förhöjda koncentrationer av aktivt sköldkörtelhormon T3 i perifera vävnader. Detta leder till en komplex symtombild med neurologisk utvecklingsförsening och intellektuell funktionsnedsättning. De förhöjda nivåerna av sköldkörtelhormon T3 i blodet är skadliga för vävnader som inte är beroende av MCT8 för sköldkörtelhormontransport, inklusive hjärta, muskler, lever och njurar, och resulterar i symtom som sviktande tillväxt, kardiovaskulär stress, sömnlöshet och muskelförtvinning. Konsekvenserna av kronisk tyreotoxikos tros bidra till den förhöjda dödligheten och den förkortade livslängden som observerats i denna patientgrupp, med en median livslängd på 35 år. Egetis har nyligen fått marknadsgodkännande i EU för Emetic® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist. För närvarande finns det ingen godkänd behandling för MCT8-brist i USA. För mer information, besök [www.MCT8deficiency.com](http://www.MCT8deficiency.com).

**Om Rare Disease Day**

Rare Disease Day observeras varje år den 28 februari (eller 29 februari under skottår). Evenemanget startades av EURORDIS och samordnas tillsammans med 65+ nationella patientorganisationer för att öka medvetenheten om sällsynta sjukdomar internationellt.

**För ytterligare information, vänligen kontakta:**

---

Nicklas Westerholm, VD  
+46 (0) 733 542 062  
[nicklas.westerholm@egetis.com](mailto:nicklas.westerholm@egetis.com)

Karl Hård, Head of Investor Relations & Business Development  
+44 (0) 7500 525 084  
[karl.hard@egetis.com](mailto:karl.hard@egetis.com)

## Om Egetis Therapeutics AB

---

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

Den 13 februari 2025 godkände EU-kommissionen *Emcitate*<sup>®</sup> (tiratricol) som den första och enda behandlingen för patienter med MCT8-brist.

Bolagets ledande läkemedelskandidat tiratricol (*Emcitate*<sup>®</sup>) utvecklas som den första godkända behandlingen för patienter med MCT8-brist, en sällsynt sjukdom med ett stort medicinskt behov och ingen tillgänglig behandling. En klinisk fas IIb-studie (Triac Trial I) samt en kohortstudie har genomförts med signifikanta och kliniskt relevanta behandlingsresultat på sköldkörtelhormon T3-halter i serum och kliniskt relevanta sekundära effektmått. I juni 2024 presenterades topline-resultat från fas 2 studien Triac Trial II med tiratricol för behandling av MCT8-brist. Studien undersökte en möjlig ytterligare behandlingseffekt på neurokognitiv utveckling hos små barn yngre än 30 månader med MCT8-brist. Studien uppvisade inte statistiskt signifikant förbättring jämfört med historiska kontroller.

Efter dialog med FDA genomför Egetis en randomiserad, placebokontrollerad, registreringsgrundande studie på minst 16 utvärderbara patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Som tidigare kommunicerats kommer Bolaget att uppdatera marknaden så snart rekryteringen stängs och vid det tillfället kommer Bolaget även att informera när topline resultat förväntas och när Bolaget planerar att lämna in NDA ansökan.

*Emcitate* har sällläkemedelsstatus ('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 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 (PIM) status av den brittiska läkemedelsmyndigheten MHRA.

*Aladote*<sup>®</sup> (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 II/III-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 calmangafodipir har parkerats tills ansökningarna om marknadsgodkännande för tiratricol för MCT8-brist har fullbordats. Calmangafodipir har beviljats ODD i USA och EU.

Egetis Therapeutics (STO: EGTX) är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista. För mer information, se [www.egetis.com](http://www.egetis.com).

### Bifogade filer

---

[Egetis deltar i TV-programmet Behind the Mystery som sänds på Lifetime kanalen i USA för att öka medvetenheten om MCT8-brist](#)