

## Egetis uppdaterar om sjukdomsmedvetenhet och 'Expanded Access Program' för tiratricol (Emcitate) i USA

**Stockholm den 13 december, 2023.** Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX), uppdaterade idag om sjukdomsmedvetenhet om MCT8-brist och 'Expanded Access Program' (EAP-program) för tiratricol (Emcitate) för berättigade patienter med MCT8-brist i USA.

MCT8-brist är en ultrasällsynt genetisk sjukdom som beskrevs först år 2004, och Egetis är det första läkemedelsföretaget som utvecklar en möjlig terapi för denna sjukdom. Följaktligen är den allmänna förståelsen för sjukdomen och dess diagnos fortfarande mycket låg, även bland specialistläkare, och en stor del av patienterna förblir odiagnostiserade. Bolaget har fokuserat sina 'medical affairs' aktiviteter på att förbättra medvetenheten om sjukdomen och diagnosen, inklusive deltagande och dialoger vid vetenskapliga konferenser, partnerskap för identifiering av patienter med genetiska testföretag, engagemang med 'Key Opinion Leaders', rådgivande kommittéer och interaktioner med patientgrupper. Detta har resulterat i identifieringen av ytterligare 50 patienter med MCT8-brist i USA, som tidigare inte var diagnostiserade eller kända för Bolaget.

För att säkerställa att dessa nya patienter ges möjlighet att inkluderas i EAP-programmet har Bolaget ingått ett partnerskap med AnovoRx (anovorx.com), ett specialapoteksföretag som fokuserar på sällsynta sjukdomar. Syftet är att optimera genomförandet av och vidare bredda räckvidden och genomförandet av EAP-programmet för berättigade MCT8-bristpatienter i USA.

**Nicklas Westerholm, Egetis VD, kommenterade:** *"Jag är mycket nöjd över att se att vårt 'medical affairs' teams arbete bär frukt, vilket har lett till identifieringen av ytterligare över 50 patienter med MCT8-brist i USA, under en kort tidsperiod. Detta ger mig förtroende för att antalet diagnostiserade patienter med MCT8-brist kommer att fortsätta att öka. Idag behandlas redan över 190 patienter i mer än 25 länder med tiratricol genom olika 'Managed Access Program', enligt varje lands lokala lagar och bestämmelser, efter begäran från patienters behandlande läkare. Genom en bred implementering av vårt 'Expanded Access'-Program för tiratricol i USA kommer den administrativa bördan för behandlande läkare att minska, om de vill förskriva tiratricol till sina MCT8-patienter. EAP-programmet är också viktigt för patienter som avslutar ReTRIACT-studien för att säkerställa fortsatt tillgång till behandlingen. MCT8-brist är en svårt handikappande ultrasällsynt sjukdom utan några godkända behandlingar och tiratricol har möjlighet att bli den första godkända behandlingen för MCT8-brist."*

Ansökan om ett EAP-program lämnades in till den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA i oktober 2022, på begäran av FDA. Personer som är intresserade av EAP programmet eller vill lära sig mer om kriterierna för programmet kan besöka [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov), studie NCT05911399. Enligt FDA:s regler för EAP-program bör varje patient som deltar i ett EAP-program först utvärderas för att delta i pågående kliniska prövningar.

### Om FDAs Expanded Access Program

Den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA reglerar utveckling och godkännande för marknadsföring av läkemedel i USA. Innan myndighetsgodkännande är det normalt inte möjligt att förskriva ett läkemedel under utveckling förutom i kliniska prövningar. För allvarliga sjukdomar för vilka det inte finns några behandlingsalternativ, och där en patient inte kan inkluderas i en klinisk prövning, kan en läkare som vill förskriva en icke godkänd behandling ansöka om tillstånd genom FDAs 'Expanded Access Program' (EAP). EAP är utformade för att ge tillgång till potentiella läkemedelsbehandlingar innan de har godkänts av FDA för patienter som inte kan delta i kliniska prövningar. FDA kan dessutom be en sponsor att erbjuda utökad tillgång till ett läkemedel under "Expanded Access" för en specifik grupp av patienter, när myndigheten har mottagit ett betydande antal förfrågningar om individuella INDs till ett prövningsläkemedel för samma sjukdom.

**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

**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.

*Emcitate* är Bolagets ledande läkemedelskandidat som utvecklas som den potentiellt första 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. Egetis ansökte om marknadsgodkännande för *Emcitate* till EMA i oktober 2023.

Efter dialog med FDA genomför Egetis en bekräftande randomiserad, placebokontrollerad studie på 16 patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Egetis avser att ansöka om marknadsgodkännande (NDA) i USA för *Emcitate* under mitten av 2024 under den 'Fast Track Designation' som FDA beviljat.

*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.

*Aladote* 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. Studiestart planeras efter att ansökningarna om marknadsgodkännande för *Emcitate* har fullbordats. *Aladote* har beviljats sällläkemedelsstatus (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 uppdaterar om sjukdomsmedvetenhet och 'Expanded Access Program' för tiratricol \(Emcitate\) i USA](#)