

Egetis ansöker om 'Expanded Access Program' för Emcitate® i USA

Stockholm, 7 december, 2022. Egetis Therapeutics AB (publ) (Nasdaq Stockholm: EGTX) tillkännagav idag att bolaget har lämnat in en ansökan för ett 'Expanded Access Program' för Emcitate (tiratricol) i USA, enligt önskemål från den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA.

Emcitate är under utveckling för behandling av patienter med monokarboxylattransportör 8 (MCT8)-brist, en mycket allvarlig och sällsynt sjukdom utan godkänd behandling. Emcitate har ännu inget myndighetsgodkännande någonstans i världen. Hittills har läkare i USA kunnat ansöka om tillstånd för att behandla enskilda patienter med MCT8-brist som inte ingår i en pågående klinisk prövning med Emcitate, genom att lämna in individuella 'Investigational New Drug' (IND) ansökningar till FDA. Eftersom antalet diagnostiserade patienter med MCT8-brist har ökat, med en åtföljande ökning av ansökningar för individuella INDs, har Egetis beslutat att implementera ett 'Expanded Access Program' i USA.

Nicklas Westerholm, Egetis VD, kommenterade: "MCT8-brist är en förödande sjukdom utan tillgänglig godkänd behandling. Idag behandlas redan mer än 160 patienter, i över 25 länder, med Emcitate via licensförskrivning ('Named Patient Use' eller 'Compassionate Use'). Detta sker i enlighet med lokala lagar och förordningar i varje land, efter en begäran från patienternas behandlande läkare. I USA fortsätter antalet patienter diagnostiserade med MCT8-brist att öka, som en följd av ökad medvetenhet om sjukdomen. Genom att implementera ett 'Expanded Access Program' för Emcitate kommer den administrativa bördan för behandlande läkare att minska om de vill förskriva Emcitate till sina MCT8-patienter."

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 utformad 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 & Communications
+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 säräkemedelsområdet för behandling av allvarliga och sällsynta sjukdomar med betydande medicinska behov.

Emcitate är en 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 serum T3-halter och kliniskt relevanta sekundära effektmått. Som ett resultat av gynnsamma diskussioner med den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) avser Egetis att ansöka om marknadsgodkännande för *Emcitate* till EMA under första halvåret 2023, baserat på befintliga kliniska data. I USA kommer Egetis efter dialog med FDA att genomföra en bekräftande randomiserad, placebokontrollerad studie på 16 patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Egetis avser att lämna in en NDA i USA för *Emcitate* i mitten av 2023 under den 'Fast Track Designation' som beviljats av FDA. Triac Trial II är en fullt rekryterad studie på mycket unga patienter med MCT8-brist (<30 månader gamla) som undersöker neurokognitiva effekter av tidig intervention med *Emcitate*. Rekryteringsmålet uppnåddes i andra kvartalet 2022 där 22 patienter nu har inkluderats. Resultat förväntas i mitten av 2024 och planeras att skickas in till regulatoriska myndigheter efter att marknadsgodkännande erhållits. *Emcitate* har säräkemedelsstatus ('orphan drug designation', ODD) i USA och EU för MCT8-brist och RTH-beta. MCT8-brist och RTH-beta är separata indikationer utan överlapp i patientpopulationerna. 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 utvecklats 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 med syfte att ansöka om marknadsgodkännande i USA och Europa har slutförts efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna FDA, EMA och Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA, Storbritannien) och studiestart planeras under början av 2023. *Aladote* har beviljats ODD i USA och EU.

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

Bifogade filer

[Egetis ansöker om 'Expanded Access Program' för *Emcitate*® i USA](#)