

Egetis slutför rullande ansökan om marknadsgodkännande (NDA) i USA för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist

Priority Review och Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher har begärts

Regulatoriskt beslut förväntas i september 2026

Lansering av Emcitate® (tiratricol) i USA förväntas under Q4 2026, förutsatt godkännande

Stockholm 29 januari 2026. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (NASDAQ Stockholm: EGTX) meddelade idag att Bolaget har slutfört sin rullande ansökan om marknadsgodkännande (Rolling New Drug Application, NDA) till den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA (U.S. Food and Drug Administration) avseende Emcitate® (tiratricol) för behandling av patienter med MCT8-brist. MCT8-brist är en sällsynt, allvarlig och livsförkortande sjukdom, för vilken det för närvarande inte finns några godkända behandlingar i USA.

Den rullande NDA-ansökan inleddes i december 2025 med inlämning av de icke-kliniska samt kvalitetsrelaterade delarna (kemi, tillverkning och kontroll, CMC) och har nu slutförts genom inlämning av de kliniska delarna, vilka omfattar ett robust datapaket bestående av flera kliniska studier samt *real-world*-evidens, inklusive följande studier:

- **Erasmus Medical Center (EMC) Survival Study**, en internationell *real-world*-kohortstudie som jämförde mortalitet mellan manliga patienter med MCT8-brist som behandlats med tiratricol och obehandlade patienter. Studien visade en signifikant överlevnadsfördel för patienter behandlade med tiratricol jämfört med obehandlade patienter.
- **ReTRIACt-studien** ger randomiserad, kontrollerad evidens för tiratricols farmakodynamiska effekt på T3, den centrala biokemiska orsaken till sjukdomens morbiditet och mortalitet. Den tydliga effekten av behandling med tiratricol observerades vid insättning/titrering, utsättning och återinsättning av behandling, vilket även bekräftar resultaten från tidigare studier inom programmet. Tiratricol sänkte T3-nivåerna hos patienter med MCT8-brist, och utsättning av behandling ledde till en statistiskt signifikant ökning av T3.
- **Triac Trial I**, där behandling med tiratricol resulterade i en dosberoende och varaktig sänkning av T3 från tyrotoxiska utgångsnivåer. Dessa biokemiska effekter åtföljdes av kliniskt meningsfulla förbättringar i kardiovaskulära och metabola parametrar, inklusive sänkt hjärtfrekvens och systoliskt blodtryck samt förbättrad vikt. De biokemiska och kliniska effekterna bibehölls i förlängningsstudien under upp till 3,5 år.
- **Triac Trial II**, genomförd i spädbarn och småbarn, visade att tiratricol uppnådde en betydande sänkning av T3 vid användning av högre doser och att dessa doser generellt tolererades väl i denna åldersgrupp. Även om neurokognitiva utfall inte förbättrades signifikant, gav studien viktig evidens för bibehållen farmakodynamisk effekt och en gynnsam säkerhetsprofil vid behandling i tidig ålder och under upp till 4,5 års behandling.
- **EMC Cohort Study**, som visade en varaktig behandlingseffekt under upp till 6 år i klinisk praxis, med bestående sänkningar av T3 åtföljda av förbättringar i kardiovaskulära parametrar och vikt. Ingen toleransutveckling eller förlust av effekt observerades, vilket bekräftar långsiktig varaktighet av behandlingsresponsen.

Emcitate® (tiratricol) godkändes i EU för behandling av patienter med MCT8-brist i februari 2025 och lanserades därefter i Tyskland i maj 2025, som den första och enda godkända behandlingen för denna sällsynta och allvarliga sjukdom.

Emcitate® (tiratricol) har erhållit flera klassificeringar från FDA, inklusive Sär läkemedel (Orphan Drug), Snabbspår (Fast Track) och Genombrottsterapi (Breakthrough Therapy), vilket återspeglar läkemedlets potential att adressera en allvarlig sjukdom med ett stort medicinskt behov. Den nu slutförda ansökan för Emcitate® (tiratricol) utgör den första NDA-ansökan för behandling av MCT8-brist i USA. FDA förväntas att inom 60 dagar validera att NDA-ansökan är komplett. Eftersom Emcitate® (tiratricol) har Fast Track och Breakthrough Therapy status har Egetis begärt prioriterad utvärdering (Priority Review), vilket innebär att FDA:s granskning skall slutföras inom sex månader efter den inledande 60-dagars valideringsperioden. Egetis förväntar sig därför ett regulatoriskt beslut i september 2026.

Emcitate® (tiratricol) har även erhållit Rare Pediatric Disease-klassificering, vilket innebär att Bolaget kommer att vara berättigat till en Priority Review Voucher vid ett godkännande av NDA-ansökan.

Nicklas Westerholm, vd för Egetis, kommenterade: *"Med slutförandet av denna NDA-ansökan har Egetis uppnått en kritisk milstolpe mot att göra den första behandlingen för MCT8-brist tillgänglig i USA. Jag vill rikta ett stort tack till de patienter och familjer som deltagit i kliniska studier, till prövarna och deras team samt till våra kollegor på Egetis för deras stora engagemang i arbetet med att tillgängliggöra Emcitate® (tiratricol) för patienter som drabbats av denna sällsynta genetiska sjukdom. Samtidigt som vi fortsätter den kommersiella lanseringen av Emcitate® (tiratricol) i EU, och för diskussioner om partnerskap i andra geografier, fortsätter vi också att bygga upp vår organisation i USA inför en potentiell lansering, med fokus på 'medical affairs' och 'market access'."*

Om MCT8-brist

MCT8-brist, även kallad Allan-Herndon-Dudley-syndrom (AHDS), är en sällsynt, allvarlig och livsförkortande sjukdom. Den orsakas av mutationer i SLC16A2-genen, som är belägen på X-kromosomen och drabbar nästan uteslutande män. Mutationer i SLC16A2 leder till nedsatt eller avsaknad funktion av monokarboxylattransportör 8 (MCT8), en viktig transportör av sköldkörtelhormon (TH). En fullständig eller betydande brist på MCT8-transportkapacitet leder till ett komplext mönster av störd TH-signaler.

Vävnader som är helt beroende av MCT8 för TH-transport (MCT8-beroende), inklusive centrala nervsystemet, uppvisar helt eller kraftigt reducerad TH-signaler. Eftersom både neuroner och endotelceller som utgör blod-hjärnbarriären är beroende av MCT8 för TH-transport, leder MCT8-brist till försämrad neurokognitiv utveckling med svåra intellektuella och motoriska funktionsnedsättningar. Patienter kan sällan sitta självständigt och kan inte bibehålla huvudkontroll.

Samtidigt orsakar en dysfunktionell MCT8-transportör störningar i sköldkörtelhormonregleringen. Som en konsekvens är nivåerna av cirkulerande T3 kraftigt förhöjda, vilket leder till överdriven TH-signaler i vävnader som använder andra transportörer än MCT8, och resulterar i uttalade symptom från kronisk tyreotoxikos. Patienter med MCT8-brist har avsevärt förkortad livslängd. Tyreotoxikos orsakar dålig tillväxt, låg kroppsvikt, muskelförtvining, kardiovaskulär sjuklighet, irritabilitet och sömnstörningar. Tyreotoxikos (oavsett orsak) är förknippat med ökad kardiovaskulär sjuklighet och mortalitet. Sambandet mellan störd TH-signaler och påverkan på hjärt-kärlsystemet har visats tydligt i både experimentella och kliniska studier. De flesta patienter med tydlig hypo- eller hypertyreos drabbas av kardiovaskulära komplikationer, och obehandlade tillstånd kan påskynda uppkomsten av symtomgivande hjärt-kärlsjukdom.

Överskott av TH ökar hjärtminutvolymen genom påverkan på slagvolym och hjärtfrekvens, orsakar takykardi och ökar risken för förmaksflimmer. Svår tyreotoxikos kan utlösa högutflödes hjärtsvikt, även hos patienter utan underliggande hjärtsjukdom. Ett kongestivt tillstånd kan uppstå på grund av ökad blodvolym och hjärtfrekvens, ofta med associerad pulmonell arteriell hypertension. Den kliniska nyttan av terapeutiska åtgärder för att normalisera TH-nivåer är väl etablerad.

Kronisk tyreotoxikos tros bidra till den ökade mortaliteten hos patienter med MCT8-brist, främst på grund av plötslig (hjärt-) död, pneumoni och andra infektioner.

Den beräknade incidensen är 1 på 70 000 män, med en medianlivslängd på endast 35 år, och 30 % av patienterna avlider under barndomen.

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 2026-01-29 07:00 CET.

Om Egetis Therapeutics AB

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

Bolagets ledande läkemedelskandidat Emcitate® (tiratrikol) har utvecklats som den första och enda godkända behandlingen för patienter med MCT8-brist, en sällsynt sjukdom med ett stort medicinskt behov. Egetis erhöll 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. Emcitate® (tiratricol) är inte godkänd i USA.

Bolaget inledde en rullande New Drug Application (NDA) för Emcitate® (tiratricol) i USA 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 sällsynt läkemedelsstatus ('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: EGTXT).
För mer information, se www.egetis.com.

Bifogade filer

[Egetis slutför rullande ansökan om marknadsgodkännande \(NDA\) i USA för Emcitate® \(tiratricol\) för behandling av MCT8-brist](#)