

Ny post-hoc-analys visar effekterna av tiratricol på patientcentrerade utfallsmått hos patienter med MCT8-brist

- I ett Abstrakt av Dr M. Freund och medförfattare från Erasmus Medical Center, Rotterdam, Nederländerna, som publicerats inför European Thyroid Associations årliga konferens, rapporteras att behandling med prövningsläkemedlet tiratricol har gynnsamma effekter på flera patientcentrerade utfallsmått vid MCT8-brist.

Stockholm, 28 augusti 2024. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX), meddelade idag innehållet i ett Abstrakt av Matthijs Freund och medförfattare från Erasmus Medical Center, Rotterdam, Nederländerna, publicerat inför European Thyroid Associations årliga konferens, som kommer att hållas i Aten, Grekland, den 7-10 september 2024. Författarna genomförde post-hoc-analyser på vårdnadshavarrapporterade patientcentrerade utfallsmått i Triac Trial I studien (1). I denna kliniska studie avslutade 40 patienter med MCT8-brist ett års behandling med tiratricol. Vid studiens början, under sjukhusbesök och vid studiens slut hölls semistrukturerade intervjuer med vårdnadshavare om komplexa behov och dagliga vårdutmaningar, inklusive motoriska färdigheter, sömnproblem och (epileptisk) anfallsfrekvens. Dessutom ombads föräldrar att rapportera upplevda förändringar i (tyreotoxiska) symtom såsom ökad svettning och minskning av salivflödet.

Enligt Abstraktet rapporterade vårdnadshavare förbättringar vid tiratricolbehandling relaterade till förbättrad interaktion (22/39), större vakenhet (19/39), förbättrade motoriska färdigheter (12/39), förbättrad huvudkontroll (7/39) och förbättrad sömn (8/39). För 1 patient rapporterades även negativa förändringar, särskilt ökad förstoppning och större orolighet. Jämfört med utgångsvärdena rapporterades överdriven svettning mycket mindre (48,6 % mot 8,1 %) och mindre minskning i salivflöde (30,6 % mot 22,2 %) av vårdnadshavarna vid slutbesöket. Anfall och kontinens rapporterades vara oförändrade. Alla föräldrar (40/40) föredrog att fortsätta tiratricolbehandlingen.

Resultat från post-hoc-analysen kommer att presenteras som en muntlig presentation av Dr Matthijs Freund den 9 september 2024 på European Thyroid Associations årliga konferens i Aten, Grekland.

Länk till Abstraktet: [Freund, M. et al. *Effect of the T3 analogue Triac on patient-centered outcome measures in patients with MCT8 deficiency: post-hoc analysis of the international Triac Trial I*](#)

Länk till programmet: <https://apps.m-anage.com/eta2024/en-GB/pag/presentation/673266>

(1) Groeneweg, S. et al. *Lancet Diabetes Endocrinol* (2019) 7(9):695-706

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 säräkemedelsområdet för behandling av allvarliga och sällsynta sjukdomar med betydande medicinska behov.

Emcitate® (tiratricol) 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 den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA i oktober 2023.

Efter dialog med FDA genomför Egetis en bekräftande randomiserad, placebokontrollerad studie på 16 utvärderbara patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Egetis kommer att uppdatera marknaden så snart rekryteringen har slutförts, och vid det tillfället informera om när topline resultat förväntas och när NDA-ansökan därav kan förväntas lämnas in.

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 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 ODD i USA och EU.

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

Bifogade filer

[Ny post-hoc-analys visar effekterna av tiratricol på patientcentrerade utfallsmått hos patienter med MCT8-brist](#)