

Egetis meddelar att FDA accepterar och beviljar prioriterad granskning av NDA för Emcitate® (tiratricol) vid MCT8 brist

- Ansökan om marknadsgodkännande (NDA) för Emcitate® har framgångsrikt validerats av FDA
- Prioriterad granskning har beviljats och PDUFA-datum för beslut har fastställts till den 28 september 2026
- Emcitate® (tiratricol) är berättigad till en Priority Review Voucher (PRV) vid ett godkännande
- Vid ett godkännande skulle Emcitate® (tiratricol) bli den första godkända behandlingen i USA för MCT8-brist

Stockholm den 27 mars 2026. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelade i dag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten, U.S. Food and Drug Administration (FDA), har accepterat Bolagets ansökan om marknadsgodkännande (New Drug Application, NDA) för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist. Egetis slutförde NDA:n i januari 2026. Ansökan har beviljats prioriterad granskning (Priority Review) och tilldelats ett Prescription Drug User Fee Act (PDUFA) datum för beslut till den 28 september 2026.

Nicklas Westerholm, VD för Egetis, kommenterar: "MCT8-brist är en sällsynt, förödande och livsförkortande sjukdom utan någon godkänd behandling i USA. Att vår NDA-ansökan har accepterats med prioriterad granskning utgör ett viktigt steg på vägen mot att göra Emcitate® (tiratricol) tillgängligt för patienter med MCT8-brist i USA. Den prioriterade granskningen understryker också den robusta datan vi har inom denna sällsynta genetiska sjukdom, där NDA:n baseras på resultat från Triac Trial I, Triac Trial II, ReTRIACt, EMC Cohort Study, EMC Survival Study samt det amerikanska Expanded Access-programmet. Vi ser fram emot att samarbeta med FDA under den prioriterade granskningsprocessen och kommer parallellt att fortsätta bygga upp våra medicinska och marknadstillträdesrelaterade kapabiliteter inför en potentiell lansering i USA under fjärde kvartalet i år."

Prioriterad granskning innebär att FDA riktar ökat fokus och resurser till utvärderingen av läkemedelsansökningar som, vid ett godkännande, skulle innebära en betydande förbättring av säkerhet eller effekt vid behandling, diagnostik eller prevention av allvarliga sjukdomar jämfört med standardansökningar. Vid prioriterad granskning är FDA:s målsättning att fatta beslut inom sex månader, jämfört med tio månader vid standardgranskning.

Emcitate® (tiratricol) har tidigare tilldelats sällsynta pediatrika sjukdomar (Rare Pediatric Disease Designation) av FDA och är berättigad till en Priority Review Voucher (PRV) vid ett godkännande. En PRV begärdes därför i samband med inlämningen av NDA:n. Möjligheten att överlåta PRV:er har skapat en aktiv sekundärmarknad, där sådana värdebevis sålts för cirka 150–205 miljoner USD per PRV under 2025/26.

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 2026-03-27 16:42 CET.

Om Egetis Therapeutics AB

Egetis är ett innovativt och integrerat läkemedelsbolag, fokuserat på projekt i sen klinisk utvecklingsfas och kommersialisering inom sällläkemedelsområdet 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 slutförde en rullande New Drug Application (NDA) för Emcitate® (tiratricol) i USA den 29 januari 2026. 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.

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 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 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. 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 meddelar att FDA accepterar och beviljar prioriterad granskning av NDA för Emcitate® \(tiratricol\) vid MCT8 brist](#)