

Egetis uppdaterar om framsteg med utvecklingen av Emcitate® (tiratricol) för MCT8-brist i Japan

Stockholm den 16 februari 2026. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (NASDAQ Stockholm: EGTX) meddelade idag att dess japanska partner Fujimoto Pharmaceuticals, som har en exklusiv licens från Egetis för utveckling och kommersialisering av Emcitate® (tiratricol) för monokarboxylattransportör 8 (MCT8)-brist i Japan, nyligen genomfört ett "Pre-application consultation for drugs"-möte med den japanska läkemedelsmyndigheten PMDA, avseende den regulatoriska vägen och datapaket för ansökan om marknadsgodkännande för Emcitate® i Japan.

Sedan oktober 2024 tillåter nya riktlinjer från det japanska hälsoministeriet (MHLW) godkännande utan kliniska data från japanska patienter för ultrasällsynta sjukdomar, då det är svårt att genomföra kliniska prövningar i Japan, förutsatt att globala studiedata är robusta och att nytta-riskprofilen är positiv. NDA-ansökan i Japan för Emcitate® för behandling av MCT8-brist kommer att baseras på existerande data från det globala kliniska utvecklingsprogrammet. Egetis och Fujimoto utvärderar tidsplanen för inlämning av ansökan om marknadsgodkännande i Japan.

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 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 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 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 uppdaterar om framsteg med utvecklingen av Emcitate® \(tiratricol\) för MCT8-brist i Japan](#)