

FDA:s program för prioriterad granskning av sällsynta pediatriska sjukdomar förlängt till 2029

Stockholm den 4 februari 2026. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (NASDAQ Stockholm: EGTX) noterade idag att den amerikanska läkemedelsmyndighetens (FDA:s) program Rare Pediatric Disease Priority Review har förlängts från det tidigare slutdatumet den 30 september 2026 till den 30 september 2029. Förlängningen var en del av *Mikaela Naylor Give Kids a Chance Act*, som antogs av Kongressen inom ramen för lagförslag H.R. 7148 och undertecknades av presidenten den 3 februari 2026.

Egetis prövningsläkemedel Emcitate® (tiratricol) har beviljats Rare Pediatric Disease Designation av FDA, vilket gör Egetis berättigat att erhålla en Priority Review Voucher (PRV) vid ett eventuellt godkännande. Som tidigare [meddelats](#) slutförde Egetis sin rullande NDA-ansökan den 29 januari 2026 och förväntar sig ett regulatoriskt beslut från FDA i september 2026.

FDA:s PRV-program, etablerat 2012 och förlängt både 2017 och 2020, är utformat för att stimulera utvecklingen av behandlingar för sjukdomar som vanligtvis får begränsade forskningsinvesteringar, inklusive sällsynta pediatriska sjukdomar. Genom programmet tilldelas ett företag som får FDA-godkännande för en berättigad behandling en voucher som kan användas för att erhålla prioriterad granskning av en framtida ansökan för ett nytt läkemedel (NDA) eller biologiskt läkemedel (BLA). Prioriterad granskning förkortar FDA:s granskningstid från tio månader till cirka sex månader. PRV:er är överlåtbara och kan säljas till andra företag, vilket skapar en aktiv andrahandsmarknad för dessa vouchers. År 2025 såldes PRV:er för 150–200 miljoner USD per voucher.

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 sällsläkemedelsområdet 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 sällsläkemedelsstatus ('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

[FDAs program för prioriterad granskning av sällsynta pediatrika sjukdomar förlängt till 2029](#)