

PRESSMEDDELANDE

Egetis Therapeutics AB

Stockholm, 13 december 2021

Egetis planerar att lämna in ansökan om marknadsgodkännande för Emcitate® till den europeiska läkemedelsmyndigheten baserat på befintliga kliniska data

- Egetis konkluderar, baserat på genomförda interaktioner med regulatoriska myndigheter, att existerande data från Triac Trial I och nyligen publicerade långtidsdata är tillräckliga för en ansökan om marknadsgodkännande (Marketing Authorisation Application, MAA) i Europa
- I och med att alla kliniska data därmed redan finns tillgängliga reduceras den kvarvarande risken för Emcitate betydligt
- Uppdaterade tidslinjer för ansökan om marknadsgodkännande kommuniceras när det fullständiga innehållet i den regulatoriska dossiern har bekräftats
- Egetis håller en telefonkonferens idag kl. 15:00 CET

Stockholm, 13 december 2021 - Egetis Therapeutics AB (publ) (Nasdaq Stockholm: EGTX) tillkännagav idag att företaget konkluderat att de befintliga kliniska data från Triac Trial I (Groeneweg et al. 2019), tillsammans med data från långtidsbehandling upp till sex år av 67 patienter (van Geest et al. 2021) med Emcitate (tiratricol) är tillräckliga för en ansökan om marknadsgodkännande till den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA), för behandling av MCT8-brist. Slutsatsen bygger på det möte som genomfördes i förra veckan med berörda europeiska regulatoriska myndigheter (EMA's rapportör och biträdande-rapportör). Alla kliniska data som behövs för en ansökan om marknadsgodkännande och efterföljande regulatorisk granskning är således redan tillgängliga. Den pågående kliniska studien Triac Trial II kommer att fortgå för att ytterligare befästa neurokognitiva effekter av tidig intervention med Emcitate.

"Vi är mycket nöjda med resultatet av den regulatoriska interaktionen, vilket ger oss en tydlig väg till en ansökan om marknadsgodkännande för regulatorisk granskning i Europa baserat på befintliga kliniska data. I och med att alla kliniska data därmed redan finns tillgängliga reduceras den kvarvarande risken för Emcitate betydligt och det skulle potentiellt också kunna möjliggöra att ansökan kan lämnas in tidigare än förväntat. Detta är en stor möjlighet för oss och de patienter i Europa som lider av MCT8-brist. Vi för även parallellt dialoger med regulatoriska myndigheter i andra regioner om deras syn på dessa kliniska data och dess innebörd för ansökningar för marknadsgodkännande i våra ansträngningar att göra Emcitate tillgängligt för patienter så snart som möjligt."
säger Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics.

Mot bakgrund av den reviderade regulatoriska strategin för ansökan om marknadsgodkännande i Europa har ett arbete inletts för att så snabbt som möjligt kunna bekräfta det övriga innehållet i den regulatoriska dossiern. Uppdaterade tidslinjer för ansökan i Europa tillkännages när det arbetet fullbordats.

Resultaten från Triac Trial I (clinicaltrials.gov NCT02060474), som publicerades i *Lancet Diabetes & Endocrinology* 2019 (Groeneweg et al. 2019), visar på kliniskt relevanta och mycket signifikanta resultat på serum T3-koncentrationer och sekundära kliniska effektmått efter ett års behandling med Emcitate hos 46 patienter med MCT8-brist av alla åldrar. De nya kliniska data som publicerades i *Journal of Clinical Endocrinology & Metabolism* i oktober 2021 (van Geest et al. 2021) kommer från en prövarinitierad kohortstudie vid 33 kliniker

EGETIS THERAPEUTICS

utförd av Erasmus Medical Center, Rotterdam, Nederländerna, där effekten och säkerheten av Emcitate undersöktes hos 67 patienter med MCT8-brist som behandlats med Emcitate (tiratricol) i upp till sex år. Det primära effektmåttet, koncentrationen av T3 i serum, minskade signifikant från påbörjad behandling till det senaste besök. Flera kliniskt relevanta och mycket signifikanta förbättringar rapporterades bland sekundära effektmått av kliniska komplikationer som följer av kronisk perifer tyreotoxikos, vilket därmed upprepar resultaten från Triac Trial I och bekräftar behandlingseffekternas långsiktiga varaktighet. Inga allvarliga läkemedelsrelaterade biverkningar rapporterades. Tillsammans kommer dessa två kliniska datakällor att utgöra den primära basen för bedömning av effektivitet och säkerhet av Emcitate i den kommande marknadsansökan.

Triac Trial II (clinicaltrials.gov NCT02396459) är en pågående internationell, öppen, multicenterstudie på barn med MCT8-brist, utförd i både Europa och Nordamerika, som undersöker neurokognitiva effekter av tidig intervention med Emcitate hos mycket unga (<30 månaders ålder) patienter. Den första patienten doserades i december 2020. Rekryteringen pågår och förväntas vara klar i Q1 2022. Triac Trial II kommer att fortgå och förbli viktig för att ytterligare befästa neurokognitiva effekter av tidig intervention med Emcitate.

Egetis arrangerar en telefonkonferens i dag kl 15.00 CET. Inrigningsdetaljer och länkar finns nedan:

Weblink

<https://tv.streamfabriken.com/egetis-therapeutics-audiocast-2021>

För att delta i telefonkonferensen vänligen använd följande nummer:

SE: +46856642705

UK: +443333009265

US: +16467224956

Emcitate innehar särlläkemedelsstatus (*Orphan Drug Designation*, ODD) i både EU och USA och beviljades Rare Pediatric Disease Designation (RPD) i november 2020 och Fast Track-status i oktober 2021 av amerikanska FDA.

Referenser:

van Geest et al. J Clin Endocrinol Metab 2021 <https://doi.org/10.1210/clinem/dgab750>

Groeneweg et al. Lancet Diabetes Endocrinol 2019;7(9):695-706

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics

Tel. +46 (0)73 354 20 62

Epost: nicklas.westerholm@egetis.com

Denna information är sådan information som Egetis Therapeutics AB är skyldigt att offentliggöra i enlighet med EU:s marknadsmissbruksförordning. I Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 2021-12-13, 08:00 CET.

EGETIS THERAPEUTICS

Om Egetis Therapeutics

Egetis Therapeutics är ett innovativt, unikt och integrerat läkemedelsutvecklingsbol ag, fokuserat på projekt i sen klinisk utvecklingsfas inom sär-läkemedelsområdet för behandling av allvarliga och sällsynta sjukdomar med betydande medicinska behov. Emcitate är en 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 samt en prövarinitierad kohortstudie har genomförts med signifikanta och kliniskt relevanta behandlingsresultat. En fas IIb/III studie startades i december 2020 då första patient doserades. Emcitate har sär-läkemedels-status i USA och Europa. Emcitate har beviljats Rare Pediatric Disease-status och Fast Track Designation i USA. Aladote är en "first-in-class" läkemedelskandidat som utvecklas för att reducera akuta leverskador till följd av paracetamolförgiftning. En proof of principle-studie har framgångsrikt avslutats och utformningen av en registreringsgrundande fas II/III-studie med syfte att ansöka om marknadsgodkännande i USA och EU har finaliserats efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna FDA, EMA och MHRA. Aladote har beviljats sär-läkemedelsstatus i USA och förväntas vara berättigad till en sär-läkemedelsstatus i EU, för vilken en ansökan skickats in under Q1 2021. Egetis har en pågående dialog med EMA om lämplig indikation för ODD i EU.

Egetis Therapeutics (STO: EGTX) är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista, sedan 31 oktober 2019. För mer information, se www.egetis.com.

Om MCT8-brist

MCT8-brist är en ovanlig sjukdom som drabbar 1 av 70 000 män med betydande medicinskt behov där det idag inte finns någon behandling. Sköldkörtelhormoner är essentiella för utveckling och kontroll av metabolismen i de flesta typer av vävnader, vilket kräver transport över cellmembran. En av nyckeltransportörerna av sköldkörtelhormon i kroppen över cellmembran är MCT8 (monokarboxylattransportör 8). Mutationer i genen för MCT8, som sitter på X-kromosomen, leder till MCT8-brist, även kallat Allan Herndon Dudley Syndrome (AHDS), vilket enbart drabbar män. MCT8-brist leder till problem med transport av sköldkörtelhormon till olika typer av celler inklusive hjärnan och dess nervceller samt sköldkörtelhormonrubbningar. Avsaknad av sköldkörtelhormon i det centrala nervsystemet leder till kraftigt påverkad neurokognitiv utveckling och funktionsnedsättning. De ökade nivåerna av cirkulerande sköldkörtelhormon är skadligt för andra organ som hjärta, muskler, lever och njurar vilket leder till kraftigt nedsatt kroppsvikt, kardiovaskulär påverkan, sömnbrist och muskelbrist. De flesta patienter med MCT8-brist uppnår inte basala motoriska färdigheter såsom att hålla sitt eget huvud eller sitta. I dagsläget finns inget godkänt läkemedel för MCT8-brist.