

Egetis Therapeutics inleder NDA ansökan i USA för Emcitate® (tiratricol) vid MCT8-brist

Stockholm den 19 december 2025. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (NASDAQ Stockholm: EGTX) meddelade idag att Bolaget har inlett en rullande ('rolling') New Drug Application (NDA)-ansökan till den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA för Emcitate® (tiratricol), bolagets läkemedelskandidat för behandling av MCT8-brist.

Emcitate® (tiratricol) erhöll Breakthrough Therapy Designation av FDA i juli 2025 ([länk till pressmeddelande](#)), och i oktober 2025 beviljade FDA en rullande NDA-ansökan och NDA-granskning ([länk till pressmeddelande](#)) baserat på tillgängliga data. I november meddelade Bolaget positiva topline data från sin randomiserade kontrollerade utsättningsstudie ReTRIACt, vilket var den sista delen i det kliniska programmet ([länk till pressmeddelande](#)). Följdaktligen har Bolaget nu lämnat in de prekliniska samt kvalitetsrelaterade (kemi, tillverkning och kontroller, *chemistry, manufacturing and controls* – CMC) sektionerna i NDA-ansökan till FDA.

En rullande NDA innebär att kompletta sektioner av en NDA kan lämnas in och granskas löpande av FDA, vilket möjliggör tidigare dialog med myndigheten och bidrar till en mer effektiv granskningsprocess.

Parallellt arbetar Egetis med att slutföra de kliniska sektionerna för att inkludera de senaste kliniska data och planerar att slutföra NDA-ansökan i början av 2026, tillsammans med en ansökan om Priority Review, vilket innebär ett förväntat marknadsgodkännande från FDA under tredje kvartalet 2026.

Nicklas Westerholm, VD för Egetis, kommenterade: "Vi är mycket glada över att ha inlett vår NDA-ansökan för Emcitate® (tiratricol) till FDA. Inlämningen av de prekliniska och CMC-sektionerna i NDA-ansökan markerar en betydande milstolpe för Egetis och understryker vårt engagemang att slutföra utvecklingen av Emcitate® (tiratricol) till förmån för patienterna med MCT8-brist.

"Parallellt med den regulatoriska inlämningen accelererar Egetis uppbyggnaden av sin amerikanska organisation för att understödja en förväntad kommersiell lansering senare under året. Bolaget etablerar nu centrala funktioner i USA inom market access, medical affairs och kommersiell verksamhet för att förbereda lansering och föra proaktiva dialoger med viktiga parter på den amerikanska marknaden, inklusive betalare, hälso- och sjukvårdspersonal samt patientorganisationer."

Vid det framgångsrika pre-NDA-möte som hölls den 21 oktober bekräftade FDA att Egetis får lämna in NDA-ansökan för Emcitate® (tiratricol) baserat på tillgängliga data och beviljade en rullande NDA-ansökan och NDA-granskning. NDA-ansökan kommer att baseras på resultat från Triac Trial I, Triac Trial II, ReTRIACt, EMC Cohort Study, EMC Survival Study samt det amerikanska Expanded Access programmet.

Emcitate® (tiratricol) har erhållit ett flertal regulatoriska incitament inklusive Orphan Drug, Fast Track och Breakthrough Therapy, vilket reflekterar läkemedlets potential att behandla ett allvarligt tillstånd med stort medicinskt behov. Emcitate® (tiratricol) har även erhållit så kallad Rare Pediatric Disease Designation och är därmed berättigad till en Priority Review Voucher i samband med godkännande av NDA-ansökan, förutsatt att detta sker före den 1 oktober 2026, eller senare om den amerikanska regeringen förlänger PRV-programmet genom att anta 'Give Kids a Chance Act of 2025' (lagförslag S.932).



PRESSMEDDELANDE

19 december 2025 07:00:00 CET

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 2025-12-19 07:00 CET.

Om Egetis Therapeutics AB

Egetis är ett innovativt och integrerat läkemedelsbolag, fokuserat på projekt i sen klinisk utvecklingsfas för kommersialisering inom sällrökemedelsområdet 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 erhöi 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 har kommit överens med FDA om att lämna in en löpande NDA för Emcitate® (tiratricol), med start i december 2025, med målet att NDA-ansökan ska vara slutförd i början av 2026 så att FDA:s granskningsprocess ska slutföras under det tredje kvartalet 2026.

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 sällrökemedelsstatus ('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: EGTX).

För mer information, se www.egetis.com.

Bifogade filer

[Egetis Therapeutics inleder NDA ansökan i USA för Emcitate® \(tiratricol\) vid MCT8-brist](#)