

Egetis Therapeutics meddelar att amerikanska FDA har godkänt EMCITATE® (tiratricol) för patienter med MCT8-brist

- Första och enda FDA-godkända behandlingen av perifer tyreotoxikos hos vuxna och pediatrika patienter med MCT8-brist i USA
- Egetis lanserar Egetis RareLink™, ett patientstödsprogram för EMCITATE, i samarbete med PANTHERx® Rare
- FDA har tilldelat Egetis en Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher (PRV) i samband med godkännandet
- Egetis kommer att hålla en telefonkonferens och webbsändning för analytiker och investerare tisdagen den 29 september klockan 8:00 CEST

Stockholm den 28 september 2026. – Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTJ) meddelar idag att amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, har godkänt EMCITATE® (tiratricol), en agonist till sköldkörtelhormonreceptorn, för behandling av perifer tyreotoxikos hos vuxna och pediatrika patienter med MCT8-brist (Allan-Herndon-Dudleys syndrom). EMCITATE rekommenderas inte för behandling av primär hypotyreos. EMCITATE är den första FDA-godkända behandlingen för patienter med MCT8-brist i USA.

MCT8-brist är en sällsynt, allvarlig och livsbegränsande sjukdom som framför allt drabbar pojkar (X-kromosombunden) och som orsakas av mutationer i *SLC16A2*-genen. Dessa mutationer försämrar funktionen hos MCT8, ett viktigt transportprotein på cellytan som ansvarar för transport av sköldkörtelhormoner i vissa celler, inklusive hjärnans celler. Som en följd av detta får patienterna en störd signalering av sköldkörtelhormoner, kännetecknad av otillräcklig sköldkörtelhormonaktivitet i centrala nervsystemet och en överexponering för det aktiva sköldkörtelhormonet trijodtyronin (T3) i perifera vävnader. Detta leder till en komplex sjukdomsbild som kännetecknas av svår neurologisk påverkan och kvarstående perifer tyreotoxikos. Patienter med MCT8-brist har en rapporterad medianlivslängd på cirka 35 år. För ytterligare information, se avsnittet "Om MCT8-brist" nedan.

FDA:s godkännande av EMCITATE baserades på ett omfattande kliniskt utvecklingsprogram som utvärderade EMCITATE hos patienter med MCT8-brist, i ReTRIAct, Triac Trial I, Triac Trial II, Erasmus Medical Center (EMC) Cohort Study, EMC Survival Study, samt det amerikanska Expanded Access-programmet

"Godkännandet markerar en vändpunkt för patienter som lever med MCT8-brist och deras närstående, som länge väntat på ett godkänt behandlingsalternativ i USA. Vårt främsta fokus är att säkerställa att patienter får tillgång till EMCITATE så snabbt som möjligt," säger Nicklas Westerholm, vd för Egetis Therapeutics. "Vi är mycket tacksamma mot de patienter, anhörigvårdare, prövare, kliniker och patientorganisationer vars samarbete och målmedvetenhet möjliggjort denna framgång. Jag vill också tacka alla Egetis medarbetare och våra samarbetspartners för deras förträffliga engagemang och hårda arbete. Godkännandet markerar också en avgörande milstolpe för Egetis när vi nu tar nästa steg i utvecklingen av läkemedel som adresserar allvarliga medicinska behov för patienter med sällsynta sjukdomar".

"Genom min erfarenhet av att vårda patienter med MCT8-brist har jag på nära håll sett den djupgående påverkan som denna komplexa och livsbegränsande sjukdom kan ha på patienter och deras familjer. Tidig diagnos är avgörande för att patienterna ska kunna utredas på ett korrekt sätt, få kontakt med specialister och få en samordnad multidisciplinär vård. FDA:s godkännande av EMCITATE ger läkare i USA det första godkända behandlingsalternativet för berättigade patienter och utgör ett viktigt framsteg för dem som drabbats," säger Andrew J. Bauer, M.D., pediatrik endokrinolog, expert på sköldkörtelhormonrelaterade sjukdomar samt huvudprövare i ReTRIAct och Triac Trial II, där EMCITATE utvärderades i patienter med MCT8-brist.

"FDA:s godkännande av EMCITATE är en historisk milstolpe för dem som lever med MCT8-brist och ett viktigt steg för att säkerställa att patienter får tillgång till behandling. Vi är tacksamma mot Egetis samt de forskare, kliniker, patienter, familjer och patientförespråkare vars engagemang bidrog till att göra denna behandling möjlig. Godkännandet är ett bevis på vad som är möjligt när människor samlas kring ett gemensamt mål om att förbättra vården. Vi ser fram emot att fortsätta verka för patienternas bästa och stödja insatser som ökar medvetenheten om MCT8-brist, förbättrar tillgången till behandling och utökar behandlingsmöjligheterna för människor som lever med sjukdomen världen över", säger patientorganisation MCT8-AHDS Foundation i ett uttalande.

Lansering av Egetis RareLink™: omfattande patientstödsprogram för EMCITATE

Egetis är engagerat i att hjälpa patienter att få snabb tillgång till EMCITATE. Bolaget förväntar sig att EMCITATE blir kommersiellt tillgängligt i USA inom åtta till tio veckor efter godkännandet. Genom **Egetis RareLink**, bolagets dedikerade patientstödsprogram, har Egetis etablerat den infrastruktur som krävs för patienttillgång, inklusive specialiserad distribution och dedikerade stödresurser, för att säkerställa en smidig upplevelse för patienter, anhöriga och hälso- och sjukvårdspersonal från dag ett. Som en del av kommersialiseringsstrategin i USA har Egetis ingått ett samarbete med PANTHERx® Rare för att stödja tillgången till läkemedel, utbildning, vårdkoordinering och kontinuerlig behandling.

För mer information om Egetis RareLink, ring 1-844-4EGETIS (1-844-434-3847).

Priority Review Voucher beviljad

I samband med godkännandet av EMCITATE beviljade FDA Egetis en Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher (PRV). Bolaget avser att utvärdera möjligheter att monetarisera PRV:n, vilket potentiellt skulle kunna ske under det fjärde kvartalet 2026, förutsatt rådande marknadsförhållanden.

Telefonkonferens och webbsändning

Egetis kommer att hålla en telefonkonferens och webbsändning för analytiker och investerare tisdagen den 29 september klockan 8:00 CEST.

Länk till webbsändningen: <https://live.events.inderes.com/fda-approval-sep-2026>

Länk till telefonkonferensen: <https://events.inderes.com/live/fda-approval-sep-2026/dial-in>

Efter registrering till telefonkonferensen erhålls telefonnummer och konferens-ID som ger tillgång till konferensen. Frågor kan ställas muntligt via telefonkonferensen. En inspelning av webbsändningen kommer att finnas tillgänglig via länken till webbsändningen ovan.

Om MCT8-brist

MCT8-brist, även känd som Allan-Herndon-Dudleys syndrom (AHDS), är en sällsynt, allvarlig och livsförkortande X-kromosombunden sjukdom som orsakas av sjukdomsframkallande mutationer i SLC16A2-genen. Dessa mutationer försämrar funktionen hos MCT8, en viktig transportör på cellernas yta som ansvarar för transport av sköldkörtelhormon i vissa celler, inklusive i hjärnan.

Som en följd av detta får patienterna en störd signalering av sköldkörtelhormon, kännetecknad av otillräcklig aktivitet av sköldkörtelhormon i det centrala nervsystemet och överexponering för det aktiva sköldkörtelhormonet trijodtyronin (T3) i perifera vävnader. Detta leder till en komplex sjukdomsbild som präglas av svår neurologisk utvecklingsstörning och kvarstående perifer tyreotoxikos.

De förhöjda T3-nivåerna i perifera vävnader kan orsaka ett kroniskt hypermetaboliskt tillstånd som påverkar flera organ, inklusive hjärta, muskler, lever och njurar. Kliniska manifestationer kan omfatta otillräcklig tillväxt, kardiovaskulär belastning, muskelförtvinning, metabol obalans samt ökad mottaglighet för infektioner. Dessa systemiska konsekvenser av ihållande tyreotoxikos anses bidra väsentligt till den ökade sjukligheten och den förkortade livslängden som är förknippad med sjukdomen. Patienter med MCT8-brist har en rapporterad medianöverlevnad på cirka 35 år.

För mer information om MCT8-brist, besök <https://www.mct8deficiency.com> eller <https://www.lifewithmct8deficiency.com/>

INDICATION AND USAGE

EMCITATE is a thyroid hormone receptor agonist indicated for the treatment of peripheral thyrotoxicosis in adults and pediatric patients with monocarboxylate transporter 8 (MCT8) deficiency (Allan–Herndon–Dudley syndrome).

Limitation of use: EMCITATE is not recommended for the treatment of primary hypothyroidism.

IMPORTANT SAFETY INFORMATION

BOXED WARNING

NOT FOR TREATMENT OF OBESITY OR FOR WEIGHT LOSS

CONTRAINDICATIONS

Primary hyperthyroidism

WARNINGS AND PRECAUTIONS

Thyrotoxicosis: Signs and symptoms of thyrotoxicosis (e.g., increased heart rate, elevated blood pressure, diarrhea, hyperhidrosis, irritability, insomnia, nightmares) have occurred with EMCITATE during treatment initiation and dose titration. Monitor and adjust the EMCITATE dose as indicated.

Laboratory Test Interference for T3 Measurement: Tiratricol can cross-react with immunoassays for T3 leading to unreliable T3 results and cause an overestimation of T3.

ADVERSE REACTIONS

Most common adverse reactions ($\geq 5\%$): diarrhea, vomiting, rash, and hyperhidrosis.

To report SUSPECTED ADVERSE REACTIONS, contact Egetis Therapeutics US Inc. at 1-844-4EGETIS (1-844-434-3847) or FDA at 1-800-FDA-1088 or www.fda.gov/medwatch.

Please see full Prescribing Information here:

<https://www.egetis.com/wp-content/uploads/emcitate-full-prescribing-information.pdf>

Om Egetis Therapeutics

Egetis Therapeutics är ett läkemedelsbolag i kommersiell fas med fokus på att utveckla och tillhandahålla innovativa behandlingar för patienter med sällsynta sjukdomar där det finns betydande medicinska behov.

Genom att kombinera vetenskaplig och klinisk expertis med integrerade kompetenser inom sen klinisk utveckling, regulatoriska processer, kommersialisering och tillverkning är Egetis engagerat i att tillhandahålla behandlingar och dedikerat stöd till patientgrupper med stora medicinska behov och begränsade behandlingsalternativ.

Bolagets ledande produkt, EMCITATE® (tiratricol), är den första och enda godkända behandlingen för MCT8-brist, en sällsynt och livsförkortande genetisk sjukdom, med marknadsgodkännande i EU och i USA.

Med huvudkontor i Stockholm och verksamhet i USA och Europa bygger Egetis ett hållbart globalt läkemedelsbolag inom sällsynta sjukdomar.

För mer information, besök [egetis.com](https://www.egetis.com) och följ bolaget på LinkedIn.

About PANTHERx Rare

PANTHERx Rare makes rare disease care more hyper-personalized and less overwhelming by focusing relentlessly on each patient and each therapy. PANTHERx experts develop deep personal relationships with patients, prescribers, and pharmaceutical partners, serving as trusted advocates to ensure seamless collaboration and exceptional care. Since its founding in a garage in Pittsburgh, PA in 2011, PANTHERx has grown into the largest independent rare pharmacy in the U.S., leveraging established-company resources while maintaining small-company responsiveness, innovation, and attention to detail.

PANTHERx is licensed in all 50 states and U.S. territories and was the first national pharmacy to achieve dual accreditations in rare disease from the Accreditation Commission for Health Care (ACHC) and Utilization Review Accreditation Commission (URAC).

PANTHERx is also the nine-time winner of the prestigious MMIT Patient Choice Award for patient satisfaction, including the 2026 honor.

For more information, please email TheRareSP@pantherxrare.com or visit www.pantherxrare.com

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Nicklas Westerholm, vd

+46 (0) 733 542 062

nicklas.westerholm@egetis.com

Karl Hård, Head of Investor Relations, Communications & 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 2026-09-28 23:45 CEST.

Framåtblickande uttalanden

Detta pressmeddelande innehåller framåtblickande uttalanden i den mening som avses i tillämplig värdepapperslagstiftning, inklusive uttalanden avseende kommersialiseringen och tillgängligheten av Emcitate® (tiratricol) i USA, tidpunkten för och utfallet av en eventuell monetisering av Priority Review Voucher för sällsynta pediatrika sjukdomar (Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher), den förväntade kapaciteten i Bolagets infrastruktur för patientåtkomst och distribution, de förväntade fördelarna med Emcitate för patienter med MCT8-brist samt Bolagets övergripande strategiska planer för utveckling och kommersialisering av behandlingar för sällsynta sjukdomar. Framåtblickande uttalanden kan i allmänhet identifieras genom ord såsom "förväntar", "bedömer", "avser", "anser", "uppskattar", "planerar", "kommer att", "kan", "skulle kunna", "potentiell" eller liknande uttryck, även om inte alla framåtblickande uttalanden innehåller sådana ord.

Dessa uttalanden baseras på Bolagets nuvarande förväntningar, antaganden och bedömningar per dagen för detta pressmeddelande och är föremål för risker, osäkerhetsfaktorer och andra omständigheter som kan medföra att faktiska resultat avviker väsentligt från dem som uttryckligen eller underförstått anges i uttalandena. Sådana faktorer omfattar, men är inte begränsade till, risker relaterade till den kommersiella lanseringen av och marknadsacceptansen för Emcitate i USA, Bolagets förmåga att etablera och upprätthålla en ändamålsenlig kommersiell infrastruktur, inklusive distributions-, patientstöds- och ersättningslösningar, tidpunkten för och villkoren för en eventuell monetisering av Priority Review Voucher, vilken är beroende av marknadsförhållanden och tillgången på intresserade köpare, eventuella krav eller begränsningar efter marknadsgodkännande som kan komma att införas av den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA, Bolagets förmåga att upprätthålla regulatoriska godkännanden i USA och Europeiska unionen, konkurrens från befintliga eller framtida behandlingar, Bolagets möjlighet att säkerställa tillräcklig finansiering för sin verksamhet och sina kommersiella aktiviteter samt allmänna ekonomiska, marknadsmässiga och affärsmässiga förhållanden.

För en närmare beskrivning av risker och osäkerhetsfaktorer som kan påverka Bolagets verksamhet och resultat hänvisas till Bolagets senaste årsredovisning samt övriga handlingar som getts in till relevanta tillsynsmyndigheter och som finns tillgängliga på www.egetis.com.

Bolaget åtar sig inte någon skyldighet att offentligt uppdatera eller revidera framåtblickande uttalanden, vare sig till följd av ny information, framtida händelser eller av andra skäl, annat än vad som följer av tillämplig lag eller regelverk.

Bifogade filer

[Egetis Therapeutics meddelar att amerikanska FDA har godkänt EMCITATE® \(tiratricol\) för patienter med MCT8-brist](#)