



Amolyt Pharma annonce les résultats positifs de la première cohorte dans l'essai de phase 2a évaluant l'AZP-3601 dans le traitement de l'hypoparathyroïdie.

Lyon (France) et Cambridge, Massachusetts (États-Unis), le 1er juin 2022 — Amolyt Pharma, société spécialisée dans le développement de peptides thérapeutiques ciblant les maladies endocriniennes rares, a annoncé ce jour les résultats positifs de la première cohorte de son étude clinique de preuve de concept de l'AZP-3601 pour le traitement de l'hypoparathyroïdie. Les données démontrent que l'AZP-3601 a été bien toléré et que son administration quotidienne a permis d'arrêter le traitement standard des patients tout en maintenant la calcémie moyenne dans les valeurs cibles. Les données détaillées de la cohorte 1 seront présentées plus tard cette année lors d'une conférence médicale, tandis que les données complètes sont attendues à l'automne 2022.

Cette cohorte est la première d'un essai de phase 2a en cours, composé de deux cohortes consécutives. Dans cette première cohorte, 12 patients souffrant d'hypoparathyroïdie ont reçu pendant quatre semaines une dose fixe d'AZP-3601 tandis que la supplémentation orale en calcium et en vitamine D active a été progressivement supprimée, suivie d'une période d'extension de deux mois pendant laquelle la titration individuelle a été permise.

Conclusions principales :

- L'AZP-3601 a été bien toléré sans problème de sécurité. Aucun événement indésirable grave ou sérieux n'a été rapporté.
- L'administration quotidienne de l'AZP-3601 aux patients souffrant d'hypoparathyroïdie a permis d'arrêter le traitement standard (supplémentation orale en calcium et en vitamine D active) tout en maintenant la calcémie moyenne dans les valeurs cibles.
- De plus, conformément à son mode d'action, l'AZP-3601 a induit une réduction et une normalisation rapides, profondes et durables de l'excrétion urinaire de calcium sur 24 heures chez tous les patients de la cohorte, ainsi qu'une augmentation légère et physiologique des biomarqueurs osseux.

« Outre son efficacité sur la calcémie, les données obtenues dans l'essai sur ces premiers patients atteints d'hypoparathyroïdie démontrent que l'AZP-3601 a permis de normaliser rapidement l'excrétion urinaire de calcium sur 24 heures chez tous les patients et en particulier chez ceux présentant un calcium urinaire de base élevé », souligne Soraya Allas, M.D., Ph. D., vice-présidente senior du développement clinique et des affaires réglementaires chez Amolyt Pharma. « Ces résultats sont importants, car les patients atteints d'hypoparathyroïdie ont un risque de calculs rénaux et de maladies rénales chroniques environ 5 fois plus élevé que la normale. Les données sur les biomarqueurs osseux de cette étude sont très encourageantes, car elles suggèrent

la reprise d'un processus de renouvellement osseux davantage physiologique sans résorption osseuse excessive. Cet élément est essentiel si l'on considère que 17 % des patients atteints d'hypoparathyroïdie souffrent d'ostéopénie ou d'ostéoporose et que 53 % sont des femmes péri- et post-ménopausées à risque de développer de l'ostéoporose. Nous attendons avec intérêt les résultats de la deuxième cohorte afin de mieux caractériser la relation dose-réponse du traitement et de finaliser le design de notre essai pivot. »

Et Thierry Aribat, Ph.D., fondateur et PDG d'Amolyt Pharma, de conclure : « Nous sommes très satisfaits des résultats de la première cohorte de cette étude importante. Non seulement l'AZP-3601 semble atteindre l'objectif thérapeutique primaire de contrôle de la calcémie et de suppression de la supplémentation en calcium et vitamine D activée, mais ses effets sur l'excrétion urinaire de calcium et les biomarqueurs osseux étayent également l'hypothèse d'un effet protecteur à long terme sur la santé rénale et osseuse. C'est précisément le profil de produit cible que nous visons : un produit qui repose sur un mécanisme d'action novateur, ayant une action plus sélective sur la réabsorption du calcium par le rein sans impact négatif sur le métabolisme osseux. »

À propos de l'hypoparathyroïdie

L'hypoparathyroïdie se caractérise par un déficit en parathormone (PTH) qui engendre une hypocalcémie et des taux élevés de phosphore dans le sang. Environ 80 000 personnes aux États-Unis et 110 000 en Europe souffrent d'hypoparathyroïdie, dont 80 % de femmes. Malgré les traitements disponibles, les patients souffrent de symptômes persistants et graves. Ils développent souvent des complications et des comorbidités qui affectent leur qualité de vie, et représentent ainsi des segments de population avec des besoins cliniques spécifiques. Les manifestations cliniques varient et peuvent concerner de nombreux tissus et organes, plus particulièrement les reins et les os. 17 % des patients atteints d'hypoparathyroïdie souffrent d'ostéopénie ou d'ostéoporose et 53 % sont des femmes péri- ou post-ménopausées qui sont susceptibles de développer de l'ostéoporose. On estime également que 26 % des patients atteints d'hypoparathyroïdie souffrent de maladies rénales chroniques ou d'insuffisance rénale, ce qui justifie le besoin thérapeutique de réduire l'excrétion urinaire du calcium.

À propos de AZP-3601

AZP-3601 est un peptide thérapeutique expérimental qui agit sélectivement sur une conformation spécifique du récepteur de la parathormone (PTH) pour induire un effet prolongé sur le métabolisme du calcium et contrôler ainsi les symptômes de l'hypoparathyroïdie. Son action pourrait également limiter l'excrétion urinaire du calcium en restaurant la réabsorption de calcium par le rein, dans le but de prévenir les maladies rénales chroniques. De plus, le mode d'action unique de l'AZP-3601 et sa demi-vie courte devraient préserver l'intégrité osseuse, un bénéfice majeur compte tenu du fait que la majorité des patients atteints d'hypoparathyroïdie sont des femmes péri- ou post-ménopausées, souvent à risque d'ostéoporose.

A propos d'Amolyt Pharma

Amolyt Pharma, société de biotechnologie au stade clinique, s'appuie sur le savoir-faire et l'expérience de son équipe dans le domaine des peptides thérapeutiques pour développer des

traitements visant à améliorer la vie des patients atteints de maladies endocriniennes rares. Son portefeuille de développement comprend l'AZP3601, un traitement potentiel de l'hypoparathyroïdie, et l'AZP-3813, un traitement potentiel de l'acromégalie. Amolyt Pharma entend poursuivre la construction de son portefeuille de produits en s'appuyant sur son réseau mondial dans le domaine de l'endocrinologie, et avec le soutien de son syndicat d'investisseurs internationaux. Pour en savoir plus, rendez-vous sur <https://amolytpharma.com/> ou suivez-nous sur Twitter @AmolytPharma.

Amolyt :

Média :

Zuri McClelland

LifeSci Communications

zmcclelland@lifescicomms.com

Relations investisseurs :

Ashley Robinson

LifeSci Advisors, LLC

arr@lifesciadvisors.com

+1 617 430.7577