

## **Amolyt Pharma présente les résultats positifs d'efficacité et de sécurité de l'AZP-3601 dans la première cohorte de son étude de phase 2a chez des patients atteints d'hypoparathyroïdie au congrès annuel 2022 de l'American Society for Bone and Mineral Research**

LYON (France) et Cambridge, Massachusetts (États-Unis) , 12 septembre 2022 — Amolyt Pharma, société spécialisée dans le développement de peptides thérapeutiques ciblant les maladies endocriniennes rares, a présenté ce jour les résultats positifs d'efficacité et de sécurité de l'AZP-3601 dans la première cohorte de son étude de phase 2a en cours chez des patients atteints d'hypoparathyroïdie, lors du congrès annuel 2022 de l'American Society for Bone and Mineral Research (ASBMR). Le congrès s'est tenu du 9 au 12 septembre à Austin, Texas.

Durant les 3 mois de traitement à l'AZP-3601, la calcémie moyenne a été maintenue dans les valeurs cibles, et la supplémentation orale en calcium et en vitamine D active a été arrêtée chez la plupart des patients. L'excrétion urinaire de calcium a été normalisée chez tous les patients, en particulier ceux qui présentaient une hypercalciurie au départ, et le rétablissement d'une activité de résorption/formation osseuse équilibrée a été observé. L'AZP-3601 a été bien toléré et a démontré un profil de sécurité favorable.

« Nous sommes très satisfaits des résultats concluants obtenus sur la première cohorte de patients de cette étude en cours », s'est réjoui Mark Sumeray, M.D., directeur médical d'Amolyt Pharma. « Les données montrent que le design rationnel de l'AZP-3601 pour le traitement de l'hypoparathyroïdie pourrait se traduire par des bienfaits cliniques importants pour tous les patients, en particulier pour ceux atteints d'hypercalciurie, d'ostéopénie ou d'ostéoporose, qui représentent la majorité des patients souffrant de cette maladie. Nous attendons avec intérêt les résultats de la cohorte 2, qui permettra d'affiner la conception d'un essai de phase 3 et de faire progresser ce peptide thérapeutique prometteur vers un plan de développement de stade avancé. »

### **Principaux résultats**

- À la fin de la période de traitement, la supplémentation orale en calcium et vitamine D active a été arrêtée respectivement chez 80 % et 90 % des patients, alors que la calcémie moyenne était maintenue dans les valeurs cibles.
- L'excrétion urinaire de calcium sur 24 h a été normalisée rapidement dans tous les cas, y compris chez tous les patients atteints d'hypercalciurie au départ.
- Les marqueurs biologiques de renouvellement osseux P1NP et CTX ont légèrement augmenté après deux semaines de traitement et sont restés dans le milieu de la fourchette moyenne normale jusqu'à la fin de l'étude, ce qui est cohérent avec une augmentation équilibrée du renouvellement osseux.
- L'AZP-3601 a été bien toléré, sans aucun effet indésirable grave et seuls des effets indésirables légers à modérés ont été signalés.

Il s'agissait d'une étude ouverte multicentrique de trois mois. Après une période d'optimisation allant jusqu'à huit semaines durant laquelle la supplémentation en calcium et en vitamine D active a été ajustée pour atteindre une calcémie corrigée pour l'albumine (AdsCa) comprise dans la fourchette de 7,8 à 9,0 mg/dL, les patients ont reçu une administration sous-cutanée (sc) quotidienne de 20 µg d'AZP-3601 pendant 28 jours, avec une réduction parallèle de leur supplémentation en calcium et de vitamine D active. Par la suite, une augmentation de la dose jusqu'à un maximum de 60 µg/dL a été autorisée si nécessaire par titration individuelle pour maintenir une calcémie AdsCa dans les valeurs cibles durant la période d'extension de 2 mois.

Thierry Aribat, Ph.D., fondateur et PDG d'Amolyt Pharma, a ajouté : « L'hypothèse clé sous-jacente du programme AZP-3601 est que l'administration intermittente de cet analogue de la parathormone (PTH) ciblant la conformation R<sup>0</sup> du récepteur de la PTH induirait un effet durable sur la calcémie, principalement grâce à un effet de réabsorption du calcium (Ca) puissant et soutenu au niveau rénal, tout en normalisant le métabolisme osseux préservant ainsi la minéralité osseuse. Ces résultats valident cette hypothèse et dessinent un profil clinique potentiellement nouveau, que nous estimons idéal pour répondre aux besoins des patients atteints d'hypoparathyroïdie. »

#### **Détails de la présentation orale :**

**Titre :** Efficacy and Safety of AZP-3601, a Novel Investigational Long-Acting PTH Analog for Treatment of Hypoparathyroidism. Results From the First Cohort of a 3-Month Multi-Center Open Label Phase 2a Study.

Format : présentation orale

Date : Lundi 12 septembre 2022 Heure de la session : 11 h 30 - 12 h 45 CT (12 h 30 - 13 h 45 ET)

Heure de la présentation : 11 h 30 - 12 h 45 CT (12 h 30 - 13 h 45 ET) Auteur/Présentateur : Istvan Takács, M.D. (Semmelweis University, Budapest, Hungary), investigateur principal de l'étude

#### **Webinaire à l'attention des investisseurs**

Lundi 12 septembre 2022 à 13h30 CT (14h30 ET/ 20h30 CET), Amolyt animera un webinaire avec des leaders d'opinion pour discuter plus en détail des résultats de la phase 2a. Les personnes intéressées peuvent s'inscrire à ce webinaire [ici](#).

#### **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.

### **À 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 et [LinkedIn](#).

### **Média :**

Cherilyn Cecchini, M.D.  
LifeSci Communications  
[ccecchini@lifescicomms.com](mailto:ccecchini@lifescicomms.com)  
+1 646 876.5196

### **Relations investisseurs :**

Ashley Robinson  
LifeSci Advisors, LLC  
[arr@lifesciadvisors.com](mailto:arr@lifesciadvisors.com)  
+1 617 430.7577