

Amolyt Pharma obtient la désignation Fast Track de la FDA pour l'énéboparatide dans le traitement de l'hypoparathyroïdie

Cette désignation atteste de la gravité de la maladie et du potentiel de l'énéboparatide pour faire face au besoin urgent de nouvelles options thérapeutiques répondant aux objectifs clés du traitement de l'hypoparathyroïdie

Lyon (France) et Cambridge, Massachusetts (États-Unis), le 2 mai 2024 — Amolyt Pharma, société internationale spécialisée dans le développement de peptides thérapeutiques ciblant les maladies endocriniennes rares, a annoncé ce jour que l'énéboparatide, son candidat peptide thérapeutique en phase 3 de développement pour le traitement de l'hypoparathyroïdie, a obtenu la désignation Fast Track par la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis. Le processus Fast Track de la FDA vise à faciliter le développement de nouveaux médicaments destinés au traitement d'affections graves chez des patients avec des besoins médicaux non satisfaits et d'accélérer leur examen, afin de pouvoir proposer plus rapidement de nouvelles options de traitement.

« L'octroi de la désignation Fast Track pour l'énéboparatide est une reconnaissance de la FDA des besoins importants encore non satisfaits pour les patients souffrant d'hypoparathyroïdie », a déclaré Thierry Abribat, Ph.D., fondateur et PDG d'Amolyt Pharma. « Nous allons poursuivre un dialogue constructif avec le FDA avec pour objectif d'apporter de l'espoir aux patients souffrant de cette maladie endocrinienne rare et sévère. »

« Le traitement standard actuel, la supplémentation orale en calcium et en vitamine D, parvient rarement à contrôler les symptômes persistants et graves et les complications liés à l'hypoparathyroïdie, et de nombreux patients présentent un risque de déclin de la fonction rénale et une réduction de la qualité des os », a déclaré Mark Sumeray, M.D., directeur médical. « Les études menées à ce jour ont démontré que l'énéboparatide normalise la calcémie moyenne et l'excrétion urinaire de calcium, tout en rétablissant un renouvellement osseux équilibré. Sur la base des résultats prometteurs de notre essai clinique de phase 2, nous exécutons avec diligence notre étude Calypso de phase 3, dont nous attendons les résultats en 2025. »

À propos de l'étude clinique Calypso de phase 3 sur l'énéboparatide

Calypso est une étude de phase 3 multicentrique, randomisée, contrôlée par placebo et en double aveugle, conçue pour évaluer l'efficacité et l'innocuité de l'énéboparatide chez les patients atteints d'hypoparathyroïdie chronique. Environ 165 patients sous traitement de référence seront randomisés selon un ratio de 2:1 entre l'énéboparatide et le placebo. Le critère principal d'évaluation de l'efficacité est la proportion de patients qui maintiennent une calcémie normale corrigée pour l'albumine sans être dépendants du traitement de référence après 24 semaines de traitement. Les principaux critères secondaires d'évaluation de l'efficacité comprennent, d'une part, la normalisation de l'excrétion urinaire sur 24 heures chez les patients hypercalciuriques, et, d'autre part l'évaluation des symptômes associés aux fonctions physiques et cognitives rapportés par le patient, ainsi que l'impact sur la qualité de vie. D'autres critères exploratoires mesurent la quantité et la qualité des os par densitométrie DXA et par tomodensitométrie périphérique quantitative à haute résolution. Après la période initiale de 24 semaines contrôlée par placebo, tous les patients seront traités avec de l'énéboparatide, dans

le cadre d'une phase d'extension ouverte de 28 semaines supplémentaires. L'étude Calypso est actuellement menée dans plus de 50 centres aux États-Unis, en Europe, au Canada et au Royaume-Uni.

À propos de la désignation Fast Track

Un médicament qui reçoit la désignation Fast Track de la FDA est éligible à tout ou partie des éléments suivants¹ :

- Des réunions plus régulières avec la FDA pour discuter du plan de développement et assurer la collecte des données appropriées nécessaires à l'approbation du médicament ;
- Des communications écrites plus fréquentes de la FDA sur des sujets tels que la conception des essais cliniques proposés et l'utilisation de biomarqueurs ;
- L'admissibilité de la demande d'approbation accélérée et d'examen prioritaire, si les critères pertinents sont remplis ;
- Une évaluation en continu, ce qui signifie qu'une société pharmaceutique peut soumettre des sections finalisées de sa demande de licence de produit biologique (BLA) ou de sa demande d'autorisation de mise sur le marché (NDA) pour examen par la FDA, au lieu d'attendre que toutes les sections de la demande NDA soient achevées avant que le dossier complet puisse être examiné.

À propos de l'hypoparathyroïdie

L'hypoparathyroïdie est une maladie rare qui 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.

Plus de la moitié des patientes sont ménopausées, et donc susceptibles de développer de l'ostéoporose. Dans une étude prospective menée chez 101 patients adultes atteints d'hypoparathyroïdie inscrits au registre national canadien de l'hypoparathyroïdie, 56,3 % de femmes ménopausées ont reçu un diagnostic d'ostéopénie ou d'ostéoporose, et 20,8 % souffraient de fractures de fragilité. 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 l'énéboparatide

L'énéboparatide est un peptide thérapeutique expérimental qui se lie avec une haute affinité à 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

¹ <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/fast-track>

réabsorption de calcium par le rein, dans le but de prévenir le déclin progressif des fonctions rénales et le développement de maladies rénales chroniques. De plus, le mode d'action unique de l'énéboparatide et sa demi-vie courte devraient préserver l'intégrité osseuse, un bénéfice potentiel 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 pour développer des traitements visant à améliorer la vie des patients atteints de maladies endocriniennes rares. Son portefeuille de développement comprend l'énéboparatide (AZP-3601), un agoniste du récepteur PTH1 à action prolongée comme traitement potentiel de l'hypoparathyroïdie, et l'AZP-3813, un antagoniste du récepteur de l'hormone de croissance pour le 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](#) et sur [LinkedIn](#).

Relations médias :

Kristin Politi
LifeSci Communications
kpoliti@lifescicomms.com

Relations investisseurs :

Ashley Robinson
LifeSci Advisors, LLC
arr@lifesciadvisors.com
+1.617.430.7577