



Amolyt Pharma annonce la première administration d'AZP-3601, analogue de la parathormone en développement dans l'hypoparathyroïdie, dans son essai clinique de phase 1

Lyon (France) et Newton, Massachusetts (Etats-Unis) – Amolyt Pharma, société spécialisée dans le développement de peptides thérapeutiques ciblant les maladies endocriniennes et métaboliques rares, annonce aujourd'hui que le premier sujet de son essai clinique de phase 1 a reçu une administration d'AZP-3601, actuellement en développement pour le traitement de l'hypoparathyroïdie, une maladie endocrinienne rare et potentiellement invalidante. AZP-3601 est un analogue de la parathormone (PTH) qui cible une conformation spécifique du récepteur de la PTH, induisant ainsi une augmentation prolongée de la calcémie (taux de calcium dans le sang).

« Il s'agit d'une étape importante du développement d'AZP-3601, notre programme phare », souligne Thierry Abribat, PDG d'Amolyt Pharma. « Les traitements disponibles pour l'hypoparathyroïdie ne parviennent pas, non seulement à contrôler efficacement les symptômes et à réguler la calcémie sur 24h, mais également à normaliser le calcium urinaire, responsable à terme des complications rénales. AZP-3601 est un analogue de la PTH conçu pour cibler une conformation spécifique du récepteur de la PTH, dans le but de rétablir la calcémie à des valeurs normales, de contrôler de façon adéquate les symptômes de l'hypoparathyroïdie, et de réduire l'excrétion urinaire de calcium. De plus, grâce à son mécanisme d'action unique, il est attendu qu'AZP-3601 préserve l'intégrité osseuse, un atout majeur pour cette molécule puisque l'hypoparathyroïdie affecte de façon disproportionnée les femmes en péri- ou post-ménopause à risque d'ostéoporose. Nous mettons en œuvre un programme de phase 1 ambitieux, conçu pour apporter une preuve de concept et mettre rapidement AZP-3601 à la disposition des patients. »

Le programme clinique de phase 1 a pour but d'évaluer la sécurité, la tolérance, la pharmacocinétique, la pharmacodynamique et l'efficacité préliminaire d'AZP-3601 après administrations uniques ou répétées de doses croissantes chez des sujets sains et des patients souffrant d'hypoparathyroïdie. Les cohortes de volontaires sains seront suivies au sein d'une unité clinique de phase 1, et les cohortes de patients seront suivies dans plusieurs sites hospitaliers européens spécialisés dans l'hypoparathyroïdie. Amolyt Pharma prévoit de recruter au total jusqu'à 130 sujets sains et patients.

A propos de l'hypoparathyroïdie

L'hypoparathyroïdie se caractérise par une insuffisance en parathormone (PTH) qui engendre une hypocalcémie et des taux élevés de phosphore dans le sang. Les manifestations cliniques varient et peuvent concerner de nombreux tissus et organes, tels que les muscles, le cerveau, le cœur et les reins. Malgré les traitements disponibles, les patients souffrent de symptômes persistants et graves, qui affectent significativement leur qualité de vie. Ils développent également plus fréquemment des affections rénales chroniques et leurs os présentent une architecture anormale. Environ 80 000 personnes aux Etats-Unis et 110 000 en Europe souffrent d'hypoparathyroïdie, dont 80% de femmes. Plus des deux tiers des femmes atteintes d'hypoparathyroïdie sont en péri-ménopause ou ménopausées, et donc susceptibles de développer de l'ostéoporose, une pathologie qui se caractérise par des os fragiles et cassants avec un risque accru de fractures. On estime également que 25% 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.

A propos d'AZP-3601

AZP-3601 est un peptide thérapeutique qui agit sélectivement sur une conformation spécifique du récepteur de la parathormone (PTH) pour activer le métabolisme du calcium et permettre de contrôler les symptômes de l'hypoparathyroïdie. L'action sélective de l'AZP-3601 sur cette conformation distincte du récepteur de la PTH pourrait limiter l'excrétion urinaire en stimulant de façon continue la réabsorption de calcium par le rein, prévenant ainsi les maladies rénales chroniques. De plus, le mode d'action unique d'AZP-3601 devrait préserver l'intégrité osseuse, un bénéfice majeur étant donné que la majorité des patients atteints d'hypoparathyroïdie sont des femmes péri- ou post-ménopausées, souvent à risque d'ostéopore.

A propos d'Amolyt Pharma

Amolyt Pharma s'appuie sur l'expertise de son équipe en matière de peptides thérapeutiques pour développer des traitements visant à changer la vie des patients atteints de maladies endocriniennes et métaboliques rares. La société dispose dans son portefeuille de l'AZP-3601, un traitement potentiel de l'hypoparathyroïdie et de l'AZP-3404, dont les indications cliniques potentielles sont en cours d'évaluation. 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.

www.amolytpharma.com et suivez-nous sur Twitter [@AmolytPharma](https://twitter.com/AmolytPharma)

Contact medias et analystes

Andrew Lloyd & Associates

Emilie Chouinard - Juliette Schmitt-dos Santos

emilie@ala.com / juliette@ala.com

+33 (0)1 56 54 07 00

@ALA_Group