



Amolyt Pharma annonce que la Commission européenne a accordé la désignation de médicament orphelin pour l'AZP-3601 dans le traitement de l'hypoparathyroïdie

Les résultats de l'étude clinique en cours chez des patients atteints d'hypoparathyroïdie sont attendus mi-2022

LYON (France) et Cambridge, Massachusetts (États-Unis), le 1^{er} mars 2022 — Amolyt Pharma, société spécialisée dans le développement de peptides thérapeutiques ciblant les maladies endocriniennes rares, a annoncé ce jour qu'elle a obtenu le statut de médicament orphelin par la Commission européenne pour l'AZP-3601 dans le traitement de l'hypoparathyroïdie. La Food and Drug Administration aux États-Unis avait accordé ce statut à Amolyt Pharma pour l'AZP-3601 et pour la même indication en [janvier 2021](#).

« Nous sommes très heureux d'avoir obtenu le statut de médicament orphelin aux États-Unis et maintenant en Europe, qui reflète le besoin de nouvelles options de traitement de l'hypoparathyroïdie » a déclaré Thierry Abribat, fondateur et PDG d'Amolyt Pharma. « Cette décision indique que l'AZP-3601 pourrait apporter des bénéfices cliniques importants aux patients par rapport aux traitements disponibles, en particulier un effet stable et soutenu sur 24 heures sur la calcémie, et une réduction du risque d'hypercalciurie, un facteur contribuant au développement de maladies rénales.

De plus, comme l'ont montré les résultats des biomarqueurs osseux de notre essai clinique de phase 1 chez des volontaires sains, nous pensons que le mécanisme d'action unique de l'AZ-3601 pourrait permettre de préserver l'intégrité osseuse. Ces bénéfices cliniques combinés répondent aux besoins de nombreux patients atteints d'hypoparathyroïdie, en particulier les 26 % souffrant de maladies rénales chroniques, les patients à risque et les 17 % de patients souffrant d'ostéopénie ou d'ostéoporose. Nous poursuivons le développement clinique de l'AZP-3601 sur la base d'un plan ambitieux, et comptons annoncer en milieu d'année les résultats d'une étude en cours de preuve de concept d'efficacité chez des patients. »

En se basant sur un avis favorable du Comité des médicaments orphelins (COMP), la Commission européenne reconnaît comme médicament orphelin des traitements potentiels visant des maladies mortelles ou invalidantes et dont la prévalence ne dépasse pas cinq cas sur dix mille. Ce statut offre plusieurs avantages aux sponsors, notamment l'assistance à l'élaboration de protocoles, une réduction des frais réglementaires, l'accès à la procédure centralisée d'autorisation de mise sur le marché et l'exclusivité commerciale pendant 10 ans.

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 % sont des femmes. Malgré



les traitements disponibles, les patients souffrent de symptômes persistants et graves. Ils développent également des complications et des comorbidités qui affectent leur santé et leur qualité de vie, représentant des segments de population avec des besoins cliniques très 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, et donc 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 l'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 comprend l'AZP3601, un traitement potentiel de l'hypoparathyroïdie, l'AZP-3813, un traitement potentiel de l'acromégalie et 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. Pour en savoir plus, rendez-vous sur <https://amolytpharma.com/> ou suivez-nous sur Twitter [@AmolytPharma](https://twitter.com/AmolytPharma).

Média :

Cherilyn Cecchini, M.D.
LifeSci Communications
cecchini@lifescicomms.com
+1 646 876.5196

Relations investisseurs :

Ashley Robinson
LifeSci Advisors, LLC
arr@lifesciadvisors.com
+1 617 430.7577