

Amolyt Pharma annonce l'essai clinique de phase 3 de l'énéboparatide dans le traitement de l'hypoparathyroïdie après des interactions positives de fin de Phase 2 avec la FDA

L'étude Calypso devrait être la plus grande étude de phase 3 jamais conduite dans l'hypoparathyroïdie et les premières données devraient être disponibles fin 2024

Outre le contrôle de la calcémie et l'arrêt du traitement standard, l'étude évaluera la normalisation du calcium urinaire en tant que critère secondaire clé d'évaluation de l'efficacité

L'effet de l'énéboparatide sur la quantité et la qualité des os sera également évalué

L'étude Calypso s'appuie sur les résultats de l'étude de phase 2a sur le contrôle de la calcémie, l'arrêt du traitement standard, la normalisation de l'hypercalciurie, et le rétablissement d'un renouvellement osseux équilibré

Lyon, France, et Cambridge, MA, le 2 mai 2023 — Amolyt Pharma, société spécialisée dans le développement de peptides thérapeutiques ciblant les maladies endocriniennes rares, a annoncé ce jour le lancement de l'étude clinique de phase 3 de l'énéboparatide, un agoniste à action prolongée du récepteur PTH1 de la parathormone, chez des patients atteints d'hypoparathyroïdie, après la réception des recommandations de fin de Phase 2 de la FDA (Food and Drug Administration).

« Nous avons apprécié les commentaires constructifs de la FDA pendant la réunion de fin de Phase 2, et nous avons conçu notre étude de Phase 3 en tenant compte de ses recommandations. Nous pensons que l'étude Calypso sera le plus grand essai clinique prospectif randomisé jamais conduit dans l'hypoparathyroïdie. Il s'agit d'un jalon majeur, pour les patients atteints d'hypoparathyroïdie comme pour Amolyt Pharma », a déclaré Thierry Abrisat, Ph.D., fondateur et PDG d'Amolyt Pharma. « Nous avons hâte de poursuivre l'évaluation du potentiel clinique de l'énéboparatide pour la prise en charge des besoins cliniques clés de l'hypoparathyroïdie. Dans la continuité du financement de série C de 130 millions d'euros que nous avons récemment annoncé, nous allons mettre toutes nos ressources en œuvre pour conduire cette étude, notre objectif étant de communiquer les premières données d'ici fin 2024. »

Mark Sumeray, M.D., directeur médical d'Amolyt Pharma, a ajouté : « Le traitement de référence actuel, des doses élevées de suppléments en calcium et en vitamine D, ne parvient souvent pas à normaliser la calcémie et exacerbe l'hypercalciurie, entraînant un dysfonctionnement des reins et une insuffisance rénale progressive en raison des dépôts de calcium et des calculs rénaux. Dans cette étude de phase 3, nous évaluerons l'efficacité de l'énéboparatide dans le contrôle de la calcémie, l'arrêt du traitement de référence et l'amélioration des symptômes. La normalisation de l'excrétion urinaire de calcium chez les patients hypercalciuriques sera le premier critère secondaire clé d'évaluation de l'efficacité. Nous avons également inclus des critères exploratoires

évaluant la quantité et la qualité des os, car de nombreux patients atteints d'hypoparathyroïdie présentent, ou sont à risque de développer une ostéopénie ou une ostéoporose. »

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 sans être dépendants du traitement de référence après 24 semaines de traitement. Les 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 tomодensitométrie 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 s'appuie sur les résultats de notre étude de phase 2a, qui a démontré que, chez la plupart des patients, l'énéboparatide a maintenu la calcémie moyenne dans la fourchette cible en permettant l'arrêt de la supplémentation orale chez 93% des patients, a induit une augmentation équilibrée des biomarqueurs osseux cohérente avec le rétablissement d'un renouvellement osseux plus physiologique, et a normalisé rapidement l'excrétion urinaire de calcium chez tous les patients, sauf un.

L'étude Calypso sera menée dans plus de 50 centres aux États-Unis, en Europe, au Canada et au Royaume-Uni.

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, et 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 l'énéboparatide

L'énéboparatide 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'énéboparatide 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 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 :

Jordyn Temperato

LifeSci Communications

jtemperato@lifescicomms.com

Relations investisseurs :

Ashley Robinson

LifeSci Advisors, LLC

arr@lifesciadvisors.com

+1 617 430 7577