aTyr Pharma Presents Additional Findings from Phase 3 EFZO-FIT™ Study in Late-Breaking Oral Abstract at the European Respiratory Society (ERS) Congress 2025

September 30, 2025

Clinical benefit for efzofitimod across multiple disease-related health outcomes reported.

Improvement in Fatigue Assessment Scale Total Score at week 48 observed in the 5.0 mg/kg efzofitimod treatment group vs placebo (p=0.0226).

Improvement in King's Sarcoidosis Questionnaire-General Health score at week 48 observed in the 5.0 mg/kg efzofitimod treatment group vs placebo (p=0.0197).

SAN DIEGO, Sept. 30, 2025 (GLOBE NEWSWIRE) -- aTyr Pharma, Inc. (Nasdaq: ATYR) ("aTyr" or the "Company"), a clinical stage biotechnology company engaged in the discovery and development of first-in-class medicines from its proprietary tRNA synthetase platform, today presented additional findings from the Phase 3 EFZO-FIT™ study of efzofitimod in 268 patients with pulmonary sarcoidosis, a major form of interstitial lung disease, in a late-breaking oral abstract presentation by Daniel Culver, D.O., Chair of the Department of Pulmonary Medicine at the Cleveland Clinic and principal investigator of the study, at the European Respiratory Society (ERS) Congress 2025 in Amsterdam, Netherlands.

"Building on the positive data we presented in the topline results for the King's Sarcoidosis Questionnaire (KSQ)-Lung score, the clinical improvements in the Fatigue Assessment Scale (FAS) and KSQ-General Health scores presented at ERS are compelling because these directly address critical symptoms and quality of life measures that profoundly impact pulmonary sarcoidosis patients," said Sanjay S. Shukla, M.D., M.S., President and Chief Executive Officer of aTyr Pharma. "Crucially, the improvements observed for the KSQ-Lung, FAS and KSQ-General Health scores were achieved rapidly and sustained robustly throughout the study. Despite missing the primary endpoint of the study, efzofitimod has clearly demonstrated the potential to durably improve multiple disease-related health outcomes, including cough, shortness of breath, fatigue and general health. These consistent clinical benefits reinforce our belief in efzofitimod's potential to meaningfully improve quality of life and reduce reliance on chronic steroids for pulmonary sarcoidosis patients."

The ERS presentation included analyses of additional pre-specified outcomes that demonstrated clinical improvements in mean change from baseline in the FAS Total Score (p=0.0226) and KSQ-General Health score (p=0.0197) in patients treated with 5.0 mg/kg efzofitimod vs placebo. Treatment with efzofitimod was also associated with a trend toward a greater proportion of patients achieving steroid-free status for at least six months.

As previously reported in the topline results, the study did not meet its primary endpoint of change from baseline in mean daily oral corticosteroid dose at week 48. However, clinical benefit for 5.0 mg/kg efzofitimod was observed across multiple study efficacy parameters at week 48 compared to placebo, including complete steroid withdrawal and KSQ-Lung score improvement (p=0.0196), improvement in KSQ-Lung score change from baseline (p=0.0479), preservation of forced vital capacity and a well-tolerated safety profile.

Note, the study's statistical analysis plan was designed on a hierarchical assessment basis. Since the primary endpoint was not met, all subsequent statistical testing is reported as nominal findings.

Details of the ERS presentation are as follows:

Title: EFZO-FIT: The Largest Ever Interventional Trial in Pulmonary Sarcoidosis
Authors: Daniel Culver, Francesco Bonella, Lisa Carey, Pavithra Ramesh, Abhijeeth Chandrasekaran, Nelson Kinnersley, Vis Niranjan, Robert Baughman
Presenter: Daniel Culver, D.O., Chair of the Department of Pulmonary Medicine, Cleveland Clinic
Presentation Number: RCT5337
Session: 436 Clinical Trials Session, ALERT 3: Interstitial Lung Disease, Pulmonary Hypertension and Intensive Care Unit

The corresponding abstract is available on the ERS conference website for registered attendees. The ERS presentation will be available on the aTyr website once presented.

About Pulmonary Sarcoidosis

Pulmonary sarcoidosis is an inflammatory disease characterized by the formulation of granulomas, clumps of inflammatory cells, in one or more organs of the body. Approximately 200,000 Americans live with pulmonary sarcoidosis and the prognosis ranges from benign and self-limiting to chronic, debilitating disease, permanent loss of lung function and death. Current treatment options include corticosteroids and other immunosuppressive therapies, which have limited efficacy and are associated with serious side-effects that many patients cannot tolerate long-term.

About Efzofitimod

Efzofitimod is a first-in-class biologic immunomodulator in clinical development for the treatment of interstitial lung disease (ILD), a group of immune-mediated disorders that can cause inflammation and fibrosis, or scarring, of the lungs. Efzofitimod is a tRNA synthetase derived therapy that selectively modulates activated myeloid cells through neuropilin-2 to resolve inflammation without immune suppression and potentially prevent the progression of fibrosis. In addition to the global Phase 3 EFZO-FIT™ study of efzofitimod in patients with pulmonary sarcoidosis, a major form of ILD, efzofitimod is also being investigated in the Phase 2 EFZO-CONNECT™ study in patients with systemic sclerosis (SSc, or scleroderma)-related ILD. These forms of ILD have limited therapeutic options and there is a need for safer and more effective, disease-modifying treatments that improve outcomes.

About aTyr

aTyr is a clinical stage biotechnology company leveraging evolutionary intelligence to translate tRNA synthetase biology into new therapies for fibrosis and inflammation. tRNA synthetases are ancient, essential proteins that have evolved novel domains that regulate diverse pathways extracellularly in humans. aTyr's discovery platform is focused on unlocking hidden therapeutic intervention points by uncovering signaling pathways driven by its proprietary library of domains derived from all 20 tRNA synthetases. aTyr's lead therapeutic candidate is efzofitimod, a first-in-class biologic immunomodulator in clinical development for the treatment of interstitial lung disease, a group of immune-mediated disorders that can cause inflammation and progressive fibrosis, or scarring, of the lungs. For more information, please visit www.atyrpharma.com.

Forward-Looking Statements

This press release contains forward-looking statements within the meaning of the Private Securities Litigation Reform Act of 1995. Forward-looking statements are usually identified by the use of words such as "anticipate," "believes," "can," "could," "designed," "expects," "intends," "may," "plans," "potential," "upcoming," "will," and variations of such words or similar expressions. We intend these forward-looking statements to be covered by such safe harbor provisions for forward-looking statements and are making this statement for purposes of complying with those safe harbor provisions. These forward-looking statements include, among others, statements regarding the potential therapeutic benefits and applications of efzofitimod; the potential for efzofitimod to improve multiple disease related health outcomes and reduce reliance on chronic steroids for treatment; timelines and plans with respect to certain development activities (such as the timing of data from clinical trials); and certain development goals. These forward-looking statements also reflect our current views about our plans, intentions, expectations, strategies and prospects, which are based on the information currently available to us and on assumptions we have made. Although we believe that our plans, intentions, expectations, strategies and prospects, as reflected in or suggested by these forward-looking statements, are reasonable, we can give no assurance that the plans, intentions, expectations, strategies or prospects will be attained or achieved. All forward-looking statements are based on estimates and assumptions by our management that, although we believe to be reasonable, are inherently uncertain. Furthermore, actual results may differ materially from those described in these forward-looking statements and will be affected by a variety of risks and factors that are beyond our control including, without limitation, uncertainty regarding geopolitical and macroeconomic events, risks associated with the discovery, development and regulation of efzofitimod, the risk that we or our partners may cease or delay preclinical or clinical development activities for efzofitimod for a variety of reasons (including difficulties or delays in patient enrollment in planned clinical trials), the possibility that existing collaborations could be terminated early, and the risk that we may not be able to raise the additional funding required for our business and product development plans, as well as those risks set forth in our most recent Annual Report on Form 10-K, Quarterly Reports on Form 10-Q and in our other SEC filings. Except as required by law, we assume no obligation to update publicly any forward-looking statements, whether as a result of new information, future events or otherwise.

Contact:
Ashlee Dunston
Sr. Director, Investor Relations and Public Affairs
adunston@atyrpharma.com

Source: aTyr Pharma, Inc.

Übersetzt von Englisch nach Deutsch - www.onlinedoctranslator.com

aTyr Pharma präsentiert weitere Ergebnisse der Phase-3-Studie EFZO-FIT™ in einem aktuellen mündlichen Abstract auf dem Kongress 2025 der European Respiratory Society (ERS)

30. September 2025

Klinischer Nutzen von Efzofitimod hinsichtlich mehrerer krankheitsbezogener Gesundheitsergebnisse berichtet.

In der mit 5,0 mg/kg Efzofitimod behandelten Gruppe wurde in Woche 48 eine Verbesserung des Gesamtscores der Fatigue Assessment Scale im Vergleich zu Placebo beobachtet (p=0,0226).

Verbesserung des King's Sarcoidosis Questionnaire-General Health Score in Woche 48 in der 5,0 mg/kg Efzofitimod-Behandlungsgruppe im Vergleich zu Placebo beobachtet (p=0,0197).

SAN DIEGO, 30. September 2025 (GLOBE NEWSWIRE) – aTyr Pharma, Inc. (Nasdaq: ATYR) („aTyr“ oder das „Unternehmen“), ein Biotechnologieunternehmen im klinischen Stadium, das sich mit der Entdeckung und Entwicklung erstklassiger Medikamente auf Basis seiner proprietären tRNA-Synthetase-Plattform beschäftigt, präsentierte heute weitere Ergebnisse der Phase-3-Studie EFZO-FIT™ zu Efzofitimod bei 268 Patienten mit pulmonaler Sarkoidose, einer wichtigen Form der interstitiellen Lungenerkrankung, in einer brandaktuellen mündlichen Abstract-Präsentation von Daniel Culver, DO, Leiter der Abteilung für Lungenheilkunde an der Cleveland Clinic und leitender Prüfarzt der Studie, auf dem Kongress der European Respiratory Society (ERS) 2025 in Amsterdam, Niederlande.

„Aufbauend auf den positiven Daten, die wir in den Topline-Ergebnissen für den King's Sarcoidosis Questionnaire (KSQ)-Lung-Score präsentiert haben, sind die klinischen Verbesserungen bei den Fatigue Assessment Scale (FAS)- und KSQ-General Health-Scores, die bei ERS vorgestellt wurden, überzeugend, da diese sich direkt auf kritische Symptome und Lebensqualitätsmaße beziehen, die Patienten mit pulmonaler Sarkoidose stark beeinträchtigen“, sagte Sanjay S. Shukla, MD, MS, Präsident und Chief Executive Officer von aTyr Pharma. Entscheidend ist, dass die Verbesserungen der KSQ-Lunge-, FAS- und KSQ-Allgemeingesundheitswerte schnell erreicht wurden und während der gesamten Studie stabil anhielten. Obwohl der primäre Endpunkt der Studie verfehlt wurde, hat Ezofitimod eindeutig das Potenzial bewiesen, mehrere krankheitsbedingte Gesundheitsprobleme wie Husten, Kurzatmigkeit, Müdigkeit und den allgemeinen Gesundheitszustand dauerhaft zu verbessern. Diese anhaltenden klinischen Vorteile bestärken uns in unserem Glauben an das Potenzial von Ezofitimod, die Lebensqualität von Patienten mit pulmonaler Sarkoidose deutlich zu verbessern und die Abhängigkeit von chronischen Steroiden zu reduzieren.“

Die ERS-Präsentation umfasste Analysen weiterer vorab festgelegter Ergebnisse, die klinische Verbesserungen der mittleren Veränderung vom Ausgangswert im FAS-Gesamtscore (p=0,0226) und im KSQ-General Health Score (p=0,0197) bei Patienten zeigten, die mit 5,0 mg/kg Efzofitimod im Vergleich zu Placebo behandelt wurden. Die Behandlung mit Efzofitimod war zudem mit einer Tendenz verbunden, dass ein größerer Anteil der Patienten mindestens sechs Monate lang steroidfrei war.

Wie bereits in den Topline-Ergebnissen berichtet, hat die Studie ihren primären Endpunkt, nämlich die Veränderung der durchschnittlichen täglichen oralen Kortikosteroiddosis gegenüber dem Ausgangswert in Woche 48, nicht erreicht. Dennoch konnte in Woche 48 ein klinischer Nutzen von 5,0 mg/kg Efzofitimod im Vergleich zu Placebo hinsichtlich mehrerer Wirksamkeitsparameter der Studie beobachtet werden, darunter ein vollständiges Absetzen des Steroids und eine Verbesserung des KSQ-Lungen-Scores (p=0,0196), eine Verbesserung der Veränderung des KSQ-Lungen-Scores gegenüber dem Ausgangswert (p=0,0479), der Erhalt der forcierten Vitalkapazität und ein gut verträgliches Sicherheitsprofil.

Beachten Sie, dass der statistische Analyseplan der Studie auf einer hierarchischen Bewertungsbasis erstellt wurde. Da der primäre Endpunkt nicht erreicht wurde, werden alle nachfolgenden statistischen Tests als nominale Ergebnisse gemeldet.

Einzelheiten der ERS-Präsentation sind wie folgt:

Titel:EFZO-FIT: Die bisher größte interventionelle Studie zur pulmonalen Sarkoidose
Autoren: Daniel Culver, Francesco Bonella, Lisa Carey, Pavithra Ramesh, Abhijeeth Chandrasekaran, Nelson Kinnersley, Vis Niranjan, Robert Baughman
Moderator: Daniel Culver, DO, Leiter der Abteilung für Lungenheilkunde, Cleveland Clinic
Präsentationsnummer:RCT5337
Sitzung:436. Sitzung zu klinischen Studien, ALARM 3: Interstitielle Lungenerkrankung, pulmonale Hypertonie und Intensivstation

Das entsprechende Abstract steht registrierten Teilnehmern auf der ERS-Konferenzwebsite zur Verfügung. Die ERS-Präsentation wird nach ihrer Veröffentlichung auf der aTyr-Website verfügbar sein.

Über pulmonale Sarkoidose

Die pulmonale Sarkoidose ist eine entzündliche Erkrankung, die durch die Bildung von Granulomen, Ansammlungen von Entzündungszellen, in einem oder mehreren Organen des Körpers gekennzeichnet ist. Rund 200.000 Amerikaner leiden an pulmonaler Sarkoidose. Die Prognose reicht von einer gutartigen und selbstlimitierenden Erkrankung bis hin zu einer chronischen, schwächenden Erkrankung mit dauerhaftem Verlust der Lungenfunktion und Tod. Zu den aktuellen Behandlungsmöglichkeiten gehören Kortikosteroide und andere immunsuppressive Therapien, die jedoch nur begrenzt wirksam sind und mit schweren Nebenwirkungen einhergehen, die viele Patienten langfristig nicht tolerieren.

Über Efzofitimod

Efzofitimod ist ein erstklassiger biologischer Immunmodulator in der klinischen Entwicklung zur Behandlung der interstitiellen Lungenerkrankung (ILD), einer Gruppe immunvermittelter Erkrankungen, die Entzündungen und Fibrose bzw. Vernarbung der Lunge verursachen können. Efzofitimod ist eine von der tRNA-Synthetase abgeleitete Therapie, die aktivierte myeloide Zellen selektiv über Neuropilin-2 moduliert, um Entzündungen ohne Immunsuppression zu beseitigen und so möglicherweise das Fortschreiten der Fibrose zu verhindern. Neben der globalen Phase-3-Studie EFZO-FIT™ zu Efzofitimod bei Patienten mit pulmonaler Sarkoidose, einer wichtigen Form der ILD, wird Efzofitimod auch in der Phase-2-Studie EFZO-CONNECT™ an Patienten mit ILD im Zusammenhang mit systemischer Sklerose (SSc oder Sklerodermie) untersucht. Für diese Formen der ILD stehen nur begrenzte Therapiemöglichkeiten zur Verfügung und es besteht Bedarf an sichereren und wirksameren krankheitsmodifizierenden Behandlungen, die die Ergebnisse verbessern.

Über aTyr

aTyr ist ein Biotechnologieunternehmen im klinischen Stadium, das evolutionäre Intelligenz nutzt, um die Biologie der tRNA-Synthetasen in neue Therapien gegen Fibrose und Entzündungen zu übersetzen. tRNA-Synthetasen sind uralte, essentielle Proteine, die neuartige Domänen entwickelt haben, die verschiedene Signalwege extrazellulär im Menschen regulieren. Die Forschungsplattform von aTyr konzentriert sich darauf, verborgene therapeutische Ansatzpunkte zu erschließen, indem sie Signalwege aufdeckt, die von der proprietären Bibliothek von Domänen aller 20 tRNA-Synthetasen gesteuert werden. Der führende Therapiekandidat von aTyr ist Efzofitimod, ein erstklassiger biologischer Immunmodulator in der klinischen Entwicklung zur Behandlung interstitieller Lungenerkrankungen, einer Gruppe immunvermittelter Erkrankungen, die Entzündungen und fortschreitende Fibrose bzw. Vernarbung der Lunge verursachen können. Weitere Informationen finden Sie unterwww.atyrpharma.com.

Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Pressemitteilung enthält vorausschauende Aussagen im Sinne des Private Securities Litigation Reform Act von 1995. Vorausschauende Aussagen sind üblicherweise an der Verwendung von Wörtern wie „voraussehen“, „glauben“, „können“, „könnten“, „entworfen“, „erwarten“, „beabsichtigen“, „könnten“, „planen“, „potenziell“, „bevorstehend“, „werden“ und Abwandlungen dieser Wörter oder ähnlichen Ausdrücken zu erkennen. Wir beabsichtigen, dass diese vorausschauenden Aussagen unter die Safe-Harbor-Bestimmungen für vorausschauende Aussagen fallen und geben diese Erklärung ab, um diese Safe-Harbor-Bestimmungen einzuhalten. Diese vorausschauenden Aussagen umfassen unter anderem Aussagen über den potenziellen therapeutischen Nutzen und die Anwendungsmöglichkeiten von Efzofitimod; das Potenzial von Efzofitimod, mehrere krankheitsbedingte Gesundheitsergebnisse zu verbessern und die Abhängigkeit von chronischen Steroiden zur Behandlung zu reduzieren; Zeitpläne und Pläne in Bezug auf bestimmte Entwicklungsaktivitäten (wie den Zeitpunkt der Daten aus klinischen Studien); und bestimmte Entwicklungsziele. Diese zukunftsgerichteten Aussagen spiegeln auch unsere aktuellen Ansichten zu unseren Plänen, Absichten, Erwartungen, Strategien und Aussichten wider, die auf den uns derzeit zur Verfügung stehenden Informationen und unseren Annahmen beruhen. Obwohl wir davon überzeugt sind, dass unsere Pläne, Absichten, Erwartungen, Strategien und Aussichten, wie sie in diesen zukunftsgerichteten Aussagen zum Ausdruck kommen oder angedeutet werden, angemessen sind, können wir nicht garantieren, dass diese Pläne, Absichten, Erwartungen, Strategien oder Aussichten auch tatsächlich erreicht werden. Alle zukunftsgerichteten Aussagen basieren auf Schätzungen und Annahmen unseres Managements, die wir zwar für angemessen halten, aber grundsätzlich unsicher sind. Darüber hinaus können die tatsächlichen Ergebnisse erheblich von den in diesen zukunftsgerichteten Aussagen beschriebenen abweichen und unterliegen einer Vielzahl von Risiken und Faktoren, die außerhalb unserer Kontrolle liegen, einschließlich, aber nicht beschränkt auf Unsicherheiten hinsichtlich geopolitischer und makroökonomischer Ereignisse, Risiken im Zusammenhang mit der Entdeckung, Entwicklung und Regulierung von Efzofitimod, das Risiko, dass wir oder unsere Partner die präklinischen oder klinischen Entwicklungsaktivitäten für Efzofitimod aus verschiedenen Gründen einstellen oder verzögern (einschließlich Schwierigkeiten oder Verzögerungen bei der Patientenrekrutierung für geplante klinische Studien), die Möglichkeit, dass bestehende Kooperationen vorzeitig beendet werden, und das Risiko, dass wir nicht in der Lage sind, die für unsere Geschäfts- und Produktentwicklungspläne erforderlichen zusätzlichen Mittel aufzubringen, sowie die in unserem letzten Jahresbericht auf Formblatt 10-K, unseren Quartalsberichten auf Formblatt 10-Q und unseren anderen bei der SEC eingereichten Unterlagen dargelegten Risiken. Sofern nicht gesetzlich vorgeschrieben, übernehmen wir keine Verpflichtung, zukunftsgerichtete Aussagen öffentlich zu aktualisieren, sei es aufgrund neuer Informationen, zukünftiger Ereignisse oder aus anderen Gründen.

Kontakt:
Ashlee Dunston
Leitender Direktor, Investor Relations und Public Affairs
adunston@atyrpharma.com

Quelle: aTyr Pharma, Inc.