



aTyr Pharma Completes Enrollment in Global Pivotal Phase 3 EFZO-FIT™ Study of Efzofitimid in Pulmonary Sarcoidosis

July 22, 2024

Study enrolled 268 patients, exceeding target enrollment.

Largest interventional study ever to be conducted in pulmonary sarcoidosis.

Topline data are expected in the third quarter of 2025.

SAN DIEGO, July 22, 2024 (GLOBE NEWSWIRE) -- aTyr Pharma, Inc. (Nasdaq: ATYR), a clinical stage biotechnology company engaged in the discovery and development of first-in-class medicines from its proprietary tRNA synthetase platform, today announced that it has completed enrollment in its global pivotal Phase 3 EFZO-FIT™ study of its lead therapeutic candidate, efzofitimid, in patients with pulmonary sarcoidosis, a major form of interstitial lung disease with limited treatment options. The study enrolled 268 patients at 85 centers in 9 countries, exceeding target enrollment. Topline data from the study are expected in the third quarter of 2025.

“Completing enrollment in this landmark study is an important milestone that brings us one step closer to delivering a potentially groundbreaking treatment to address the significant unmet need for pulmonary sarcoidosis patients,” said Sanjay S. Shukla, M.D., M.S., President and Chief Executive Officer of aTyr. “We are grateful to all of the patients and their caregivers, our principal investigators and their teams, our many advocacy partners and our partner Kyorin Pharmaceutical Co., Ltd., who helped make this accomplishment possible. The historic number of patients enrolled in this study signifies the strong patient demand for a new treatment option such as efzofitimid.”

“This is a monumental achievement for the sarcoidosis community. It is by far the largest interventional study ever to be conducted in sarcoidosis. We expect the results of this trial to yield valuable insights that will inform sarcoidosis research and treatment in the years to come,” said Daniel A. Culver, D.O., Chair of the Division of Pulmonary Medicine at The Cleveland Clinic and Lead Primary Investigator of the study. “We are optimistic based on the positive Phase 1b/2a results that efzofitimid could be a potentially transformative therapy for sarcoidosis patients, which is greatly needed. We look forward to the readout from this study in 2025.”

Efzofitimid 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. Efzofitimid has received orphan drug designation in the U.S., E.U. and Japan for sarcoidosis and Fast Track designation in the U.S. for pulmonary sarcoidosis.

About the EFZO-FIT™ Study

The EFZO-FIT™ study is a global Phase 3 randomized, double-blind, placebo-controlled study to evaluate the efficacy and safety of efzofitimid in patients with pulmonary sarcoidosis. This is a 52-week study consisting of three parallel cohorts randomized equally to either 3.0 mg/kg or 5.0 mg/kg of efzofitimid or placebo dosed intravenously once a month for a total of 12 doses. The study enrolled 268 subjects with pulmonary sarcoidosis at multiple centers in the United States, Europe, Japan and Brazil. The trial design incorporates a forced steroid taper. The primary endpoint of the study is steroid reduction. Secondary endpoints include measures of lung function and sarcoidosis symptoms. More information on the EFZO-FIT™ study is available at www.clinicaltrials.gov (NCT05415137) and www.efzofit.com.

About Efzofitimid

Efzofitimid 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. Efzofitimid 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. aTyr is currently investigating efzofitimid in the global Phase 3 EFZO-FIT™ study in patients with pulmonary sarcoidosis, a major form of ILD, and 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 efzofitimid, 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,” “designed,” “can,” “expects,” “intends,” “may,” “plans,” “potential,” “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 clinical development for efzofitimid, including the potential benefits and therapeutic application of efzofitimid, timelines and plans with respect to certain development activities (such as the timing of data from clinical trials), the potential

benefits of the EFZO-FIT TM study results to other research and treatment 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 efzofitmod, risks associated with clinical trials and their resulting data generally, the risk that we or our partners may cease or delay preclinical or clinical development activities for efzofitmod 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

Director, Investor Relations and Public Affairs

adunston@atyrpharma.com

aTyr Pharma schliesst Rekrutierung in der globalen Pivotalstudie der Phase 3 EFZO-FIT™ für Efzofitimod bei Lungensarkoidose ab

22. Juli 2024

Studie umfasst 268 Patienten und übertrifft damit die angestrebte Rekrutierung.

Größte jemals durchgeführte Interventionsstudie bei pulmonaler Sarkoidose.

Topline-Daten werden im dritten Quartal 2025 erwartet.

SAN DIEGO, 22. Juli 2024 (GLOBE NEWSWIRE) -- aTyr Pharma, Inc. (Nasdaq: ATYR), ein Biotechnologieunternehmen in der klinischen Phase, das sich mit der Entdeckung und Entwicklung von erstklassigen Arzneimitteln auf der Grundlage seiner firmeneigenen tRNA-Synthetase-Plattform befasst, gab heute bekannt, dass es die Rekrutierung in seiner globalen, zulassungsrelevanten Phase-3-EFZO-FIT™-Studie für seinen führenden therapeutischen Kandidaten, Efzofitimod, bei Patienten mit pulmonaler Sarkoidose, einer schweren Form der interstitiellen Lungenerkrankung mit begrenzten Behandlungsmöglichkeiten, abgeschlossen hat. An der Studie nahmen 268 Patienten an 85 Zentren in 9 Ländern teil, womit die angestrebte Teilnehmerzahl übertroffen wurde. Die ersten Daten aus der Studie werden für das dritte Quartal 2025 erwartet.

"Der Abschluss der Rekrutierung in dieser wegweisenden Studie ist ein wichtiger Meilenstein, der uns einen Schritt näher an die Bereitstellung einer potenziell bahnbrechenden Behandlung bringt, um den erheblichen ungedeckten Bedarf von Patienten mit Lungensarkoidose zu decken", sagte Sanjay S. Shukla, M.D., M.S., President und Chief Executive Officer von aTyr. "Wir sind allen Patienten und ihren Betreuern, unseren leitenden Prüfarzten und ihren Teams, unseren zahlreichen Partnern und unserem Partner Kyorin Pharmaceutical Co. Ltd. dankbar, die diese Leistung möglich gemacht haben. Die historische Anzahl von Patienten, die in diese Studie aufgenommen wurden, zeigt, wie groß die Nachfrage der Patienten nach einer neuen Behandlungsmöglichkeit wie Efzofitimod ist."

"Dies ist ein monumentaler Erfolg für die Sarkoidosegemeinschaft. Es handelt sich um die bei weitem größte Interventionsstudie, die jemals bei Sarkoidose durchgeführt wurde. Wir erwarten, dass die Ergebnisse dieser Studie wertvolle Erkenntnisse liefern werden, die die Sarkoidoseforschung und -behandlung in den kommenden Jahren beeinflussen werden", sagte Daniel A. Culver, D.O., Vorsitzender der Abteilung für Lungenheilkunde an der Cleveland Clinic und leitender Prüfarzt der Studie. "Wir sind aufgrund der positiven Ergebnisse der Phase 1b/2a optimistisch, dass Efzofitimod eine potenziell transformative Therapie für Sarkoidosepatienten sein könnte, die dringend benötigt wird. Wir freuen uns auf die Ergebnisse dieser Studie im Jahr 2025."

Efzofitimod ist eine von der tRNA-Synthetase abgeleitete Therapie, die selektiv aktivierte myeloische Zellen über Neuropilin-2 moduliert, um die Entzündung ohne Immunsuppression zu beheben und möglicherweise das Fortschreiten der Fibrose zu verhindern. Efzofitimod hat in den USA, der EU und Japan den Orphan-Drug-Status für Sarkoidose und in den USA den Fast-Track-Status für pulmonale Sarkoidose erhalten.

Über die EFZO-FIT™-Studie

Die EFZO-FIT™-Studie ist eine globale randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Phase-3-Studie zur Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von Efzofitimod bei Patienten mit pulmonaler Sarkoidose. Es handelt sich um eine 52-wöchige Studie, die aus drei parallelen Kohorten besteht, die zu gleichen Teilen auf entweder 3,0 mg/kg oder 5,0 mg/kg Efzofitimod oder Placebo randomisiert wurden, die einmal im Monat intravenös verabreicht wurden, insgesamt 12 Dosen. An der Studie nahmen 268 Patienten mit Lungensarkoidose in mehreren Zentren in den Vereinigten Staaten, Europa, Japan und Brasilien teil. Das Studiendesign sieht einen forcierten Steroid-Taper vor. Der primäre Endpunkt der Studie ist die Reduzierung der Steroide. Zu den sekundären Endpunkten gehören Messungen der Lungenfunktion und der Sarkoidose-Symptome. Weitere Informationen über die EFZO-FIT™-Studie finden Sie unter www.clinicaltrials.gov (NCT05415137) und www.efzofit.com.

Über Efzofitimod

Efzofitimod ist der erste biologische Immunmodulator seiner Klasse, der sich in der klinischen Entwicklung für die Behandlung der interstitiellen Lungenerkrankung (ILD) befindet, einer Gruppe immunvermittelter Erkrankungen, die zu Entzündungen und Fibrose oder Narbenbildung in der Lunge führen können. Efzofitimod ist eine von der tRNA-Synthetase abgeleitete Therapie, die selektiv aktivierte myeloische Zellen über Neuropilin-2 moduliert, um Entzündungen ohne Immunsuppression zu beheben und möglicherweise das Fortschreiten der Fibrose zu

verhindern. aTyr untersucht derzeit Efzofitimid in der globalen Phase-3-Studie EFZO-FIT™ bei Patienten mit Lungensarkoidose, einer schweren Form von ILD, und in der Phase-2-Studie EFZO-CONNECT™ bei Patienten mit systemischer Sklerose (SSc oder Sklerodermie), die mit ILD in Zusammenhang steht. Für diese Formen der ILD gibt es nur begrenzte therapeutische Möglichkeiten, und es besteht ein Bedarf an sichereren und wirksameren, krankheitsmodifizierenden Behandlungen, die die Ergebnisse verbessern.

Über aTyr

aTyr ist ein Biotechnologieunternehmen in der klinischen Phase, das sich die evolutionäre Intelligenz zunutze macht, um die Biologie der tRNA-Synthetasen in neue Therapien für Fibrose und Entzündungen zu übersetzen. tRNA-Synthetasen sind uralte, essenzielle Proteine, die neuartige Domänen entwickelt haben, die verschiedene extrazelluläre Stoffwechselwege im Menschen regulieren. Die Entdeckungsplattform von aTyr konzentriert sich darauf, verborgene therapeutische Interventionspunkte zu erschließen, indem Signalwege aufgedeckt werden, die durch die firmeneigene Bibliothek von Domänen aus allen 20 tRNA-Synthetasen angetrieben werden. Der führende therapeutische Kandidat von aTyr ist efzofitimid, ein biologischer Immunmodulator der ersten Klasse, der sich in der klinischen Entwicklung für die Behandlung von interstitiellen Lungenerkrankungen befindet, einer Gruppe von immunvermittelten Erkrankungen, die zu Entzündungen und fortschreitender Fibrose oder Narbenbildung in der Lunge führen können. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.atyrpharma.com.

Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Pressemitteilung enthält zukunftsgerichtete Aussagen im Sinne des Private Securities Litigation Reform Act von 1995. Zukunftsgerichtete Aussagen sind in der Regel durch die Verwendung von Wörtern wie "antizipieren", "glauben", "planen", "können", "erwarten", "beabsichtigen", "können", "planen", "potenziell", "werden" und Abwandlungen solcher Wörter oder ähnlicher Ausdrücke gekennzeichnet. Wir beabsichtigen, dass diese zukunftsgerichteten Aussagen unter die Safe-Harbor-Bestimmungen für zukunftsgerichtete Aussagen fallen, und geben diese Erklärung ab, um diese Safe-Harbor-Bestimmungen zu erfüllen. Diese zukunftsgerichteten Aussagen beinhalten unter anderem Aussagen über die klinische Entwicklung von Efzofitimid, einschließlich des potenziellen Nutzens und der therapeutischen Anwendung von Efzofitimid, Zeitpläne und Pläne in Bezug auf bestimmte Entwicklungsaktivitäten (z. B. die zeitliche Planung von Daten aus klinischen Studien), den potenziellen Nutzen der EFZO-FIT™-Studienergebnisse für andere Forschungs- und Behandlungsbereiche und bestimmte Entwicklungsziele. Diese zukunftsgerichteten Aussagen spiegeln auch unsere derzeitigen Ansichten über unsere Pläne, Absichten, Erwartungen, Strategien und Aussichten wider, die auf den uns derzeit zur Verfügung stehenden Informationen und den von uns getroffenen Annahmen beruhen. Obwohl wir glauben, dass unsere Pläne, Absichten, Erwartungen, Strategien und Aussichten, wie sie in diesen zukunftsgerichteten Aussagen zum Ausdruck kommen, angemessen sind, können wir nicht garantieren, dass die Pläne, Absichten, Erwartungen, Strategien oder Aussichten erreicht oder verwirklicht werden. Alle zukunftsgerichteten Aussagen beruhen auf Schätzungen und Annahmen unserer Geschäftsleitung, die wir zwar für angemessen halten, die aber von Natur aus unsicher sind. Darüber hinaus können die tatsächlichen Ergebnisse erheblich von den in diesen zukunftsgerichteten Aussagen beschriebenen abweichen und werden von einer Vielzahl von Risiken und Faktoren beeinflusst, die sich unserer Kontrolle entziehen, einschließlich, aber nicht beschränkt auf die Ungewissheit geopolitischer und makroökonomischer Ereignisse, Risiken im Zusammenhang mit der Entdeckung, Entwicklung und Regulierung von Efzofitimid, Risiken im Zusammenhang mit klinischen Studien und den daraus resultierenden Daten im Allgemeinen, das Risiko, dass wir oder unsere Partner die präklinischen oder klinischen Entwicklungsaktivitäten für Efzofitimid aus verschiedenen Gründen einstellen oder verzögern (einschließlich Schwierigkeiten oder Verzögerungen bei der Patientenrekrutierung in geplanten klinischen 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 Finanzmittel aufzubringen, sowie die in unserem jüngsten Jahresbericht auf Formblatt 10-K, den Quartalsberichten auf Formblatt 10-Q und in 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.