

Logo



News Releases

aTyr Pharma Announces Expanded Access Program (EAP) for EFZO-FIT™ Clinical Trial Participants

Feb 21, 2024

Individual Patient EAP allows access to efzofitimod for patients who complete the Phase 3 EFZO-FIT™ study in pulmonary sarcoidosis.

Company initiating program based on blinded EFZO-FIT™ study investigator and patient participant feedback.

SAN DIEGO, Feb. 21, 2024 (GLOBE NEWSWIRE) -- aTyr Pharma, Inc. (Nasdaq: LIFE) (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 announced plans to initiate an Individual Patient Expanded Access Program (EAP) for its lead therapeutic candidate, efzofitimod, for patients with pulmonary sarcoidosis. The Individual Patient EAP is intended to allow access for patients who complete the Phase 3 EFZO-FIT™ study and wish to receive treatment with efzofitimod outside of the clinical trial.

“We are pleased to make efzofitimod available to patients beyond the duration of the EFZO-FIT™ clinical trial through this Individual Patient EAP,” said Sanjay S. Shukla, M.D., M.S., President and Chief Executive Officer of aTyr. “Based on interest from Principal Investigators (PIs) and patients who have or are in the process of completing the EFZO-FIT™ study, we have decided to implement this program in part to continue to support those patients who have dedicated their time and entrusted us with their health by participating in this important study. This program reflects our ongoing commitment to the sarcoidosis community as we work to develop a safe and effective treatment for a condition that has a high unmet medical need.”

EAPs are designed to provide access to potential therapies before they are approved by the U.S. Food and Drug Administration (FDA). Sometimes called “compassionate use,” Expanded Access is a pathway for a patient with a serious or immediately life-threatening disease or condition to gain access to an investigational medical product (drug, biologic or medical device) for treatment outside of clinical trials when no satisfactory alternative therapy options are available.

By implementing the EAP, the Company does not anticipate any risk to its efzofitimod drug supply, which it believes to be adequate for its two ongoing clinical trials, or expect a significant impact to its financial resources. The administration of efzofitimod as part of the Individual Patient EAP will occur independent of the EFZO-FIT™ study protocol, and the Company, PIs and patients will

remain blinded to the treatment that occurred as part of the EFZO-FIT™ study. As this EAP will occur independent of the EFZO-FIT™ study, this program is not an open-label extension (OLE) and no long-term data will be collected by the Company.

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 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 intends to enroll up to 264 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 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 implementation, timing, availability and protocols of an Individual Patient EAP for patients with pulmonary sarcoidosis, the benefits patients may derive from the Individual Patient EAP, and anticipated effects of the Individual

Patient EAP on the Company's efzofitimod drug supply, its ongoing clinical trials and its financial resources. 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, possible unavailability of, or unexpected results in, the Individual Patient EAP, unanticipated effects on the Company's efzofitimod drug supply, 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

Director, Investor Relations and Public Affairs

adunston@atyrpharma.com

Source: aTyr Pharma, Inc.

© 2007 - 2024 aTyr Pharma. [Legal](#) [Privacy Policy](#)

UNLIZENSIERTE ÜBERSETZUNG

Pressemitteilungen

aTyr Pharma kündigt erweitertes Zugangsprogramm (EAP) für Teilnehmer der klinischen EFZO-FIT™-Studie an

21. Februar 2024

Individuelles Patienten-EAP ermöglicht Zugang zu Efzofitimod für Patienten, die die Phase-3-Studie EFZO-FIT™ bei pulmonaler Sarkoidose abschließen.

Das Unternehmen initiiert das Programm auf der Grundlage des Feedbacks von verblindeten Prüfern und Patiententeilnehmern der EFZO-FIT™-Studie.

SAN DIEGO, 21. Februar 2024 (GLOBE NEWSWIRE) -- aTyr Pharma, Inc. (Nasdaq: LIFE) (aTyr oder das Unternehmen), 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 Pläne bekannt, ein Individual Patient

Expanded Access Program (EAP) für seinen führenden therapeutischen Kandidaten, Efzofitimid, für Patienten mit pulmonaler Sarkoidose zu initiieren. Das Individual Patient EAP soll Patienten, die die Phase-3-Studie EFZO-FIT™ abschließen und eine Behandlung mit Efzofitimid außerhalb der klinischen Studie wünschen, den Zugang ermöglichen.

"Wir freuen uns, efzofitimid für Patienten über die Dauer der klinischen EFZO-FIT™-Studie hinaus durch diesen Individual Patient EAP verfügbar zu machen", sagte Sanjay S. Shukla, M.D., M.S., Präsident und Chief Executive Officer von aTyr. "Aufgrund des Interesses von Prüfern und Patienten, die an der EFZO-FIT™-Studie teilgenommen haben oder dabei sind, diese abzuschließen, haben wir uns entschlossen, dieses Programm einzuführen, um die Patienten, die uns ihre Zeit gewidmet und uns ihre Gesundheit anvertraut haben, indem sie an dieser wichtigen Studie teilgenommen haben, weiterhin zu unterstützen. Dieses Programm spiegelt unser fortwährendes Engagement für die Sarkoidose-Gemeinschaft wider, während wir daran arbeiten, eine sichere und wirksame Behandlung für eine Erkrankung zu entwickeln, für die es einen hohen medizinischen Bedarf gibt."

EAPs sollen den Zugang zu potenziellen Therapien ermöglichen, bevor diese von der US-Arzneimittelbehörde (FDA) zugelassen werden. Expanded Access" wird manchmal auch als "compassionate use" bezeichnet und ist ein Weg für Patienten mit einer schweren oder unmittelbar lebensbedrohlichen Krankheit oder einem solchen Zustand, Zugang zu einem medizinischen Prüfpräparat (Medikament, Biologikum oder medizinisches Gerät) für die Behandlung außerhalb von klinischen Studien zu erhalten, wenn keine zufriedenstellenden alternativen Therapieoptionen zur Verfügung stehen.

Durch die Umsetzung des EAP erwartet das Unternehmen kein Risiko für die Versorgung mit dem Medikament Efzofitimid, das es für seine beiden laufenden klinischen Studien für ausreichend hält, und auch keine wesentlichen Auswirkungen auf seine finanziellen Ressourcen. Die Verabreichung von Efzofitimid im Rahmen des EAP für einzelne Patienten erfolgt unabhängig vom EFZO-FIT™-Studienprotokoll, und das Unternehmen, die Prüfer und die Patienten bleiben gegenüber der Behandlung, die im Rahmen der EFZO-FIT™-Studie erfolgt, verblindet. Da dieses EAP unabhängig von der EFZO-FIT™-Studie durchgeführt wird, handelt es sich bei diesem Programm nicht um eine Open-Label-Erweiterung (OLE) und das Unternehmen wird keine Langzeitdaten erheben.

Über Efzofitimid

Efzofitimid 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 bzw. Vernarbung der Lunge führen können. Efzofitimid 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 Optionen, und es besteht ein Bedarf an sichereren und wirksameren, krankheitsmodifizierenden Behandlungen, die die Ergebnisse verbessern.

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 Efzofitimid bei Patienten mit

Lungensarkoidose. Es handelt sich um eine 52-wöchige Studie, die aus drei parallelen Kohorten besteht, die zu gleichen Teilen entweder 3,0 mg/kg oder 5,0 mg/kg Efzofitimid oder Placebo erhalten, die einmal im Monat intravenös verabreicht werden, insgesamt 12 Dosen. In die Studie sollen bis zu 264 Probanden mit Lungensarkoidose an mehreren Zentren in den Vereinigten Staaten, Europa, Japan und Brasilien aufgenommen werden. 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 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 Wege extrazellulär 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. Zu diesen zukunftsgerichteten Aussagen gehören unter anderem Aussagen über die klinische Entwicklung von Efzofitimid, einschließlich der Einführung, des Zeitplans, der Verfügbarkeit und der Protokolle eines individuellen Patienten-EAP für Patienten mit pulmonaler Sarkoidose, der Vorteile, die Patienten aus dem individuellen Patienten-EAP ziehen könnten, und der erwarteten Auswirkungen des individuellen Patienten-EAP auf die Efzofitimid-Arzneimittelversorgung des Unternehmens, seine laufenden klinischen Studien und seine finanziellen Ressourcen. 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 diese Pläne, Absichten, Erwartungen, Strategien oder Aussichten auch tatsächlich erreicht 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 mögliche Nichtverfügbarkeit oder unerwartete Ergebnisse des Individual Patient EAP, unerwartete Auswirkungen auf die Efzofitimid-Arzneimittelversorgung des Unternehmens, Ungewissheit

hinsichtlich geopolitischer und makroökonomischer Ereignisse, Risiken im Zusammenhang mit der Entdeckung, Entwicklung und Regulierung von Efavirenz, das Risiko, dass wir oder unsere Partner die präklinischen oder klinischen Entwicklungsaktivitäten für Efavirenz 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 Risiken, die in unserem jüngsten Jahresbericht auf Formblatt 10-K, den Quartalsberichten auf Formblatt 10-Q und in unseren anderen bei der SEC eingereichten Unterlagen aufgeführt sind. 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

Direktor, Investor Relations und Öffentlichkeitsarbeit

adunston@atyrpharma.com

Quelle: aTyr Pharma, Inc.

© 2007 - 2024 aTyr Pharma