

<https://alteritytherapeutics.com/investor-centre/news/2022/04/27/alterity-therapeutics-announces-regulatory-authorization-to-proceed-with-ath434-phase-2-clinical-trial-in-the-united-kingdom/>

2022-04-27



Alterity
THERAPEUTICS

Alterity Therapeutics est autorisé à procéder à l'essai clinique de phase 2 de l'ATH434 au Royaume-Uni

27 avril 2022 Alterity Therapeutics

Alterity Therapeutics (ASX : ATH, NASDAQ : ATHE) (« Alterity » ou « la Société ») a annoncé aujourd'hui que l'Agence britannique de réglementation des médicaments et des produits de santé (MHRA) avait accepté la demande d'autorisation d'essai clinique (CTA) d'Alterity pour mener un essai clinique de phase 2 de l'ATH434 dans l'atrophie multi-systématisée (AMS), une maladie parkinsonienne rare et très invalidante.

"L'approbation par la MHRA au Royaume-Uni est une autre étape importante pour notre programme de développement clinique ATH434", a déclaré David Stamler, M.D., PDG d'Alterity. « Nous prévoyons d'ouvrir notre premier site d'essai clinique de phase 2 en Nouvelle-Zélande ce trimestre, puis d'étendre l'essai à l'échelle mondiale au Royaume-Uni, dans d'autres pays européens, en Australie et aux États-Unis. Nous sommes impatients de proposer cette thérapie potentielle aux personnes atteintes de MSA qui ne disposent actuellement d'aucun traitement pour traiter la pathologie sous-jacente de leur maladie. »

L'essai clinique de phase 2 est une étude randomisée, en double aveugle et contrôlée par placebo sur l'ATH434 chez des patients atteints d'AMS à un stade précoce. L'étude explorera l'effet du traitement ATH434 sur l'imagerie et les biomarqueurs protéiques tels que l'agrégation de l' α -synucléine et l'excès de fer, qui sont des contributeurs importants à la pathologie AMS. Les paramètres cliniques et d'autres biomarqueurs permettront une évaluation complète de l'efficacité de l'ATH434 ainsi que la caractérisation de l'innocuité et de la pharmacocinétique. Les patients recevront un traitement pendant 12 mois, ce qui leur donnera l'occasion de détecter des changements dans les paramètres d'efficacité afin d'optimiser la conception d'une étude définitive de phase 3.

À propos d'ATH434

Le candidat phare d'Alterity, ATH434, est le premier d'une nouvelle génération de petites molécules conçues pour inhiber l'agrégation des protéines pathologiques impliquées dans la neurodégénérescence. Il a été démontré en préclinique que l'ATH434 réduit la pathologie de l' α -synucléine et préserve les cellules nerveuses en rétablissant l'équilibre normal du fer dans le cerveau. De cette façon, il a un excellent potentiel pour traiter la maladie de Parkinson ainsi que diverses formes de parkinsonisme atypique telles que l'atrophie multi-systématisée (AMS). ATH434 a terminé avec succès un essai clinique de phase 1 démontrant que l'agent est bien toléré, biodisponible par voie orale et atteint des niveaux cérébraux comparables aux niveaux efficaces dans les modèles animaux de

MSA, dans le but de restaurer la fonction chez les patients atteints de MSA et d'autres troubles parkinsoniens.

ATH434 a reçu la désignation orpheline pour le traitement de l'AMS par la FDA américaine et la Commission européenne.

À propos de l'atrophie multisystématisée

L'atrophie multisystématisée (AMS) est une maladie neurodégénérative rare caractérisée par une défaillance du système nerveux autonome et une altération des mouvements. Les symptômes reflètent la perte progressive de fonction et la mort de différents types de cellules nerveuses dans le cerveau et la moelle épinière. Il s'agit d'une maladie qui évolue rapidement et entraîne une invalidité profonde. L'AMS est un trouble parkinsonien caractérisé par une combinaison variable de mouvements ralentis et/ou de rigidité, d'instabilité autonome qui affecte les fonctions involontaires telles que le maintien de la pression artérielle et le contrôle de la vessie, et d'un équilibre et/ou d'une coordination altérés qui prédisposent aux chutes. Une caractéristique pathologique de la MSA est l'accumulation de la protéine α -synucléine dans la glie, les cellules de soutien du système nerveux central, et la perte de neurones dans plusieurs régions du cerveau. L'AMS touche environ 15 000 personnes aux États-Unis, et bien que certains des symptômes de l'AMS puissent être traités avec des médicaments, il n'existe actuellement aucun médicament capable de ralentir la progression de la maladie et il n'existe aucun remède.¹

¹National Institute of Health : Troubles neurologiques et accidents vasculaires cérébraux, fiche d'information sur l'atrophie multi-systématisée [Multiple System Atrophy Fact Sheet](#)

À propos d'Alterity Therapeutics Limited

Alterity Therapeutics est une société de biotechnologie au stade clinique dédiée à la création d'un avenir alternatif pour les personnes atteintes de maladies neurodégénératives. L'actif principal de la Société, ATH434, a le potentiel de traiter divers troubles parkinsoniens. Alterity dispose également d'une large plateforme de découverte de médicaments générant des composés chimiques brevetables pour intervenir dans les processus pathologiques. La société est basée à Melbourne, en Australie, et à San Francisco, en Californie, aux États-Unis. Pour plus d'informations, veuillez visiter le site Web de la société à l'adresse www.alteritytherapeutics.com.

Autorisation et informations supplémentaires

Cette annonce a été autorisée par David Stamler, PDG d'Alterity Therapeutics Limited.

Alterity Therapeutics Announces Regulatory Authorization to Proceed with ATH434 Phase 2 Clinical Trial in the United Kingdom

April 27, 2022 [Alterity Therapeutics](#)

Alterity Therapeutics (ASX: ATH, NASDAQ: ATHE) (“Alterity” or “the Company”) today announced that the United Kingdom Medicines & Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) has accepted Alterity’s clinical trial authorization (CTA) request to conduct its Phase 2 clinical trial for ATH434 in Multiple System Atrophy (MSA), a rare and highly debilitating Parkinsonian disorder.

“Approval by the MHRA in the UK is another important step forward for our ATH434 clinical development program,” said David Stamler, M.D., Chief Executive Officer, Alterity. “We expect to open our first Phase 2 clinical trial site in New Zealand this quarter and then expand the trial globally in the UK, other European countries, Australia and the United States. We look forward to bringing this potential therapy to individuals with MSA who currently have no treatments to address the underlying pathology of their disease.”

The Phase 2 clinical trial is a randomized, double-blind, placebo-controlled investigation of ATH434 in patients with early-stage MSA. The study will explore the effect of ATH434 treatment on imaging and protein biomarkers such as aggregating α -synuclein and excess iron, which are important contributors to MSA pathology. Clinical endpoints and other biomarkers will permit comprehensive assessment of ATH434 efficacy along with characterization of safety and pharmacokinetics. Patients will receive treatment for 12 months which will provide an opportunity to detect changes in efficacy endpoints to optimize design of a definitive Phase 3 study.

About ATH434

Alterity’s lead candidate, ATH434, is the first of a new generation of small molecules designed to inhibit the aggregation of pathological proteins implicated in neurodegeneration. ATH434 has been shown preclinically to reduce α -synuclein pathology and preserve nerve cells by restoring normal iron balance in the brain. In this way, it has excellent potential to treat Parkinson’s disease as well as various forms of atypical Parkinsonism such as Multiple System Atrophy (MSA). ATH434 has successfully completed a Phase 1 clinical trial demonstrating the agent is well tolerated, orally bioavailable, and achieved brain levels comparable to efficacious levels in animal models of MSA, with the objective of restoring function in patients with MSA and other Parkinsonian disorders.

ATH434 has been granted Orphan designation for the treatment of MSA by the U.S. FDA and the European Commission.

About Multiple System Atrophy

Multiple System Atrophy (MSA) is a rare, neurodegenerative disease characterized by failure of the autonomic nervous system and impaired movement. The symptoms reflect the progressive

loss of function and death of different types of nerve cells in the brain and spinal cord. It is a rapidly progressive disease and causes profound disability. MSA is a Parkinsonian disorder characterized by a variable combination of slowed movement and/or rigidity, autonomic instability that affects involuntary functions such as blood pressure maintenance and bladder control, and impaired balance and/or coordination that predisposes to falls. A pathological hallmark of MSA is the accumulation of the protein α -synuclein within glia, the support cells of the central nervous system, and neuron loss in multiple brain regions. MSA affects approximately 15,000 individuals in the U.S., and while some of the symptoms of MSA can be treated with medications, currently there are no drugs that are able to slow disease progression and there is no cure.¹

¹National Institute of Health: Neurological Disorders and Stroke, [Multiple System Atrophy Fact Sheet](#)

About Alterity Therapeutics Limited

Alterity Therapeutics is a clinical stage biotechnology company dedicated to creating an alternate future for people living with neurodegenerative diseases. The Company's lead asset, ATH434, has the potential to treat various Parkinsonian disorders. Alterity also has a broad drug discovery platform generating patentable chemical compounds to intercede in disease processes. The Company is based in Melbourne, Australia, and San Francisco, California, USA. For further information please visit the Company's web site at www.alteritytherapeutics.com.

Authorisation & Additional information

This announcement was authorized by David Stamler, CEO of Alterity Therapeutics Limited.