

2019-05-06

Premières données sur l'essai clinique de phase 1 de Alterity Therapeutics publiées lors de la réunion annuelle de l'American Academy of Neurology

MELBOURNE, Australie ET SAN FRANCISCO - (BUSINESS WIRE) -

Alterity Therapeutics Limited (ASX: ATH, NASDAQ: ATHE) («Alterity» ou «la Société») publie aujourd'hui les premiers résultats de son programme **d'essais cliniques de phase 1** pour son médicament expérimental PBT434 lors de la réunion annuelle de l'American Academy of Neurology à Philadelphie, ETATS-UNIS.

Le diaporama intitulé : « *Une première dans l'étude chez l'homme de PBT434, un nouvel inhibiteur de l'agrégation de la α -synucléine, à base de petites molécules* », [voir le pdf] est présenté par David Stamler, MD, médecin en chef et vice-président principal « Développement clinique ». La réunion annuelle de l'American Academy of Neurology est l'un des plus grands rassemblements de cliniciens et de chercheurs spécialisés dans le domaine de la neurologie dans le monde.

L'étude devrait s'achever à la mi-2019, mais Alterity a été invitée à présenter des données intermédiaires sur les quatre cohortes initiales à une dose unique et les trois cohortes initiales à doses multiples. Les données publiées indiquent que le PBT434 était bien toléré, avec des taux d'événements indésirables comparables à ceux d'un placebo et d'une exposition systémique dépendante de la dose après administration orale.

Fait important, les résultats indiquent que le PBT434 non seulement franchit la barrière hémato-encéphalique chez l'homme, ce qui confirme les précédentes observations chez l'animal, mais que les doses testées cliniquement atteignent dans le cerveau des concentrations supérieures à celles associées à l'efficacité dans le modèle animal.

Aucun événement indésirable grave n'a été rapporté et aucun sujet n'a interrompu l'administration de PBT434 en raison d'effets indésirables.

Le Dr David Stamler a déclaré: «*Cette étude a permis de constater que le PBT434 pénètre dans le cerveau humain et atteint des concentrations potentiellement pertinentes sur le plan clinique à des doses bien tolérées chez des volontaires en bonne santé. Nous sommes très encouragés par ces résultats, qui représentent une étape importante dans l'avancement du PBT434. Nous sommes impatients de fournir les données définitives lors d'une conférence médicale plus tard cette année.* »

PBT434 est un médicament candidat oral à petite molécule susceptible de traiter des synucléinopathies telles que la maladie de Parkinson et l'atrophie multi-systématisée, un trouble neurologique rare et progressivement évolutif qui affecte les adultes.

L'essai clinique de phase 1 sur PBT434 a débuté en 2018 en Australie et a recruté des volontaires sains adultes (≥ 65 ans) en bonne santé dont le principal objectif était d'évaluer l'innocuité et la tolérabilité du PBT434 après administration d'une ou de plusieurs doses orales. Les objectifs

secondaires incluent l'évaluation des mesures pharmacocinétiques qui permettront à Alterity de comprendre comment le PBT434 est absorbé et métabolisé par le corps.

PBT434 est la première d'une nouvelle génération de petites molécules conçues pour bloquer l'accumulation et l'agrégation de l' α -synucléine. L' α -synucléine présente un grand intérêt car les formes agrégées de la protéine sont considérées comme une caractéristique pathologique des affections parkinsoniennes et constituent une cible thérapeutique reconnue pour les neuroscientifiques et les cliniciens.

Note de fin

Le 8 avril 2019, la société a changé de nom et est passée de Prana Biotechnology Limited à **Alterity Therapeutics Limited (ASX: ATH, NASDAQ: ATHE)**.

Questions des investisseurs IR@alteritytherapeutics.com

À propos d'Alterity Therapeutics Limited

Le candidat principal d'Alterity, PBT434, est la première d'une nouvelle génération de petites molécules conçues pour inhiber l'agrégation des protéines pathologiques impliquées dans la neurodégénérescence. **Il a été démontré que PBT434 réduisait l'accumulation anormale de protéines α -synucléine et tau dans des modèles animaux de maladie en rétablissant l'équilibre normal du fer dans le cerveau.** De cette manière, il a un excellent potentiel pour traiter diverses formes de parkinsonisme atypique, telles que l'atrophie multisystémique (MSA) et la paralysie supranucléaire progressive (PSP).

Pour plus d'informations, veuillez consulter le site Web de la société à l'adresse www.alteritytherapeutics.com.

Initial Data for Alterity Therapeutics Phase 1 Clinical Trial Released at American Academy of Neurology Annual Meeting

MELBOURNE, Australia AND SAN FRANCISCO--(BUSINESS WIRE)--

Alterity Therapeutics Limited (ASX: ATH, NASDAQ: ATHE) ("Alterity" or "the Company") is today releasing interim clinical data of its Phase 1 clinical trial program for its investigative drug PBT434 at the American Academy of Neurology Annual Meeting in Philadelphia, USA.

The Platform Presentation titled: [*A First in Human Study of PBT434, a Novel Small Molecule Inhibitor of \$\alpha\$ -Synuclein Aggregation*](#) is being delivered by David Stamler, MD, Chief Medical Officer & Senior VP Clinical Development. The American Academy of Neurology Annual Meeting is one of the largest gatherings of clinicians and researchers focusing on neurology in the world.

The study is expected to complete mid-2019, however Alterity has been invited to present interim data from the initial four single dose cohorts and the initial three multiple dose cohorts. The data being released indicate that PBT434 was well tolerated with adverse event rates comparable to placebo and dose dependent systemic exposure following oral administration.

Importantly, the results indicate that PBT434 not only crosses the blood brain barrier in humans, confirming previous observations in animal studies, but that clinically tested doses achieve concentrations in the brain that exceed those associated with efficacy in animal models of disease.

No serious adverse events were reported and no subject discontinued dosing with PBT434 due to adverse events.

Dr David Stamler said: “The notable finding from this study is that PBT434 penetrates into the human brain and achieves concentrations that are potentially clinically relevant at doses that were well tolerated in healthy volunteers. We are very encouraged by these results which represent an important step in the advancement of PBT434. We look forward to providing final data at a medical conference later this year.”

PBT434 is an oral small molecule drug candidate with potential for treating synucleinopathies such as Parkinson’s Disease and Multiple System Atrophy, a rare and rapidly progressive neurological disorder that affects adults.

The Phase 1 Clinical Trial for PBT434 commenced in 2018 in Australia, recruiting healthy adult and older adult (≥ 65) volunteers with the primary goals of assessing the safety and tolerability of PBT434 after single and multiple oral dose administration. Secondary goals include evaluating pharmacokinetic measures that will allow Alterity understand how PBT434 is absorbed and metabolised by the body.

PBT434 is the first of a new generation of small molecules designed to block the accumulation and aggregation of α -synuclein. α -synuclein is of great interest because aggregated forms of the protein are considered a pathological hallmark of Parkinsonian conditions and are a recognised therapeutic target by neuroscientists and clinicians

End Note

The Company changed its name on 8 April 2019 from Prana Biotechnology Limited to Alterity Therapeutics Limited, (ASX: ATH, NASDAQ:ATHE).

Investor enquiries IR@alteritytherapeutics.com

About Alterity Therapeutics Limited

Alterity’s lead candidate, PBT434, is the first of a new generation of small molecules designed to inhibit the aggregation of pathological proteins implicated in neurodegeneration. PBT434 has been shown to reduce abnormal accumulation of α -synuclein and tau proteins in animal models of disease by restoring normal iron balance in the brain. In this way, it has excellent potential to treat various forms of atypical Parkinsonism such as Multiple System Atrophy (MSA) and Progressive Supranuclear Palsy (PSP).

For further information please visit the Company’s web site at www.alteritytherapeutics.com

View source version on businesswire.com:

<https://www.businesswire.com/news/home/20190506005289/en/>