

<https://alteritytherapeutics.com/investor-centre/news/2020/10/27/alterity-commences-enrolling-multiple-system-atrophy-patients-in-biomuse-study/>

Alterity commence à recruter des patients atteints d'atrophie multi-systématisée dans l'étude bioMUSE

27 octobre 2020 Alterity Therapeutics

Alterity Therapeutics a annoncé aujourd'hui qu'elle avait commencé à recruter des patients atteints d'atrophie multisystémique (AMS) dans son étude bioMUSE aux États-Unis.

BioMUSE est une étude d'histoire naturelle qui vise à suivre la progression des patients atteints d'AMS, un trouble parkinsonien sans traitement approuvé. L'étude est menée en collaboration avec le centre médical de l'Université Vanderbilt aux États-Unis sous la direction de Daniel Claassen, MD, professeur agrégé de neurologie et chercheur principal. Les études d'histoire naturelle sont importantes pour caractériser la progression de la maladie dans certaines populations de patients. L'étude fournira des informations vitales sur les patients atteints d'AMS à un stade précoce afin d'optimiser la conception de l'étude de phase 2 d'Alterity dans l'AMS. L'étude éclairera également la sélection de biomarqueurs appropriés pour évaluer l'engagement de la cible et l'efficacité préliminaire.

Le principal composé d'Alterity, ATH434, a déjà terminé avec succès l'essai clinique de phase 1 et progresse vers un essai clinique de phase 2.

Le Dr Claassen a déclaré: *«Il s'agit d'une étude importante pour élargir notre compréhension de la MSA. Nous recrutons des patients à un stade précoce qui sont susceptibles de tirer le meilleur parti des traitements de fond. J'ai hâte de travailler avec Alterity sur ce projet et j'espère qu'il pourra fournir la base pour faire progresser des traitements tels que ATH434 dans la clinique. »*

L'AMS est une maladie neurodégénérative avec des sources majeures d'incapacité résultant de symptômes moteurs caractéristiques de la maladie de Parkinson et d'une capacité réduite à maintenir une tension artérielle, une fonction intestinale et un contrôle de la vessie normaux. Le traitement actuel comprend des médicaments et des changements de mode de vie pour aider à gérer les symptômes, mais il n'y a aucun traitement de la cause sous-jacente et aucun remède.

L'étude recrute des patients atteints d'AMS à un stade précoce et suivra les changements dans les mesures cliniques et les biomarqueurs jusqu'à un an. Au cours de l'étude, les patients subiront une évaluation complète avec un examen neurologique détaillé et des échelles d'évaluation clinique des symptômes moteurs, autonomes et des activités de la vie quotidienne, ainsi qu'une neuroimagerie spécialisée et une évaluation des biomarqueurs protéiques dans divers échantillons biologiques.

Les données de bioMUSE seront également utilisées pour informer la sélection des patients dans le prochain essai clinique de phase 2 d'Alterity sur ATH434, son principal candidat clinique pour le

traitement de la MSA. La FDA américaine a encouragé Alterity à utiliser les données de l'étude bioMUSE pour aider au développement de critères d'efficacité pour l'étude de phase 2.

Le centre médical de l'université Vanderbilt est l'un des plus grands centres médicaux universitaires du sud-est des États-Unis et gère plus de 2 millions de patients chaque année. Le programme de recherche biomédicale de l'École de médecine figure parmi les 10 meilleurs du pays en termes de financement d'examen par les pairs des National Institutes of Health.

Le Dr David Stamler, Chief Medical Officer, a ajouté: *«Alors que nous nous préparons pour notre étude de phase 2, les données de bioMUSE fourniront des informations clés pour nous aider à optimiser la conception de l'étude. Le lancement de cette étude nous rapproche de la recherche de nouveaux traitements pour cette maladie dévastatrice.»*

Alterity commences enrolling Multiple System Atrophy patients in bioMUSE Study

October 27, 2020 [Alterity Therapeutics](#)

Alterity Therapeutics today announced it has commenced enrolling patients with Multiple System Atrophy (MSA) in its bioMUSE Study in the United States.

BioMUSE is a natural history study that aims to track the progression of patients with MSA, a Parkinsonian disorder without approved therapy. The study is being conducted in collaboration with Vanderbilt University Medical Center in the US under the direction of Daniel Claassen, MD, Associate Professor of Neurology and Principal Investigator. Natural history studies are important for characterizing disease progression in selected patient populations. The study will provide vital information on early stage MSA patients to optimize the design of Alterity's Phase 2 study in MSA. The study will also inform the selection of biomarkers suitable to evaluate target engagement and preliminary efficacy.

Alterity's lead compound ATH434 has already successfully completed Phase 1 clinical trial and is advancing toward a Phase 2 clinical trial.

Dr. Claassen said: "This is an important study to expand our understanding of MSA. We are enrolling early stage patients who stand to gain the most from disease modifying treatments. I look forward to working with Alterity on this project and I hope it can provide the foundation for advancing treatments such as ATH434 into the clinic."

MSA is a neurodegenerative disease with major sources of disability resulting from motor symptoms characteristic of Parkinson's disease and impaired ability to maintain normal blood pressure, bowel function and bladder control. Current treatment includes medications and lifestyle changes to help manage symptoms, but there is no treatment of the underlying cause and no cure.

The study is enrolling early stage MSA patients and will track changes in clinical measures and biomarkers for up to one year. Over the course of the study, patients will undergo comprehensive evaluation with detailed neurological examination and clinical rating scales of motor, autonomic and activities-of-daily-living symptoms along with specialized neuroimaging and assessment of protein biomarkers in diverse biological specimens.

Data from bioMUSE will also be used to inform patient selection in Alterity's upcoming Phase 2 clinical trial of ATH434, its lead clinical candidate for the treatment of MSA. The US FDA has encouraged Alterity to utilize data from the bioMUSE study to aid in the development of efficacy endpoints for the Phase 2 study.

Vanderbilt University Medical Centre is one of the largest academic medical centres in the southeast US managing more than 2 million patients each year. The School of Medicine's biomedical research program is among the nation's top 10 in terms of National Institutes of Health peer review funding.

Dr David Stamler, Chief Medical Officer, added: "As we prepare for our Phase 2 study, the data from bioMUSE will provide key information to help us optimize the study design. Starting this study brings us one step closer to finding novel treatments for this devastating condition."