

<https://www.thesentiment.com.au/alterity-confirms-fda-development-pathway-for-multiple-system-atrophy-treatment/>

Alterity confirme la piste de développement proposée par la FDA pour le traitement de l'atrophie multisystématisée

• 30 juin 2020

Après avoir rencontré la Food and Drug Administration, la société biopharmaceutique Alterity Therapeutics (ASX: ATH) a confirmé les plans d'essais cliniques de phase II pour son composé ATH434 dans le traitement de l'atrophie multisystématisée (AMS), un trouble parkinsonien incurable sans traitement de fond. La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a encouragé Alterity à utiliser les données d'une étude d'histoire naturelle qu'Alterity a planifiée avec des experts cliniques et en neuroimagerie de la Vanderbilt University Medical Centre.

Comme il n'y a pas de traitement approuvé pour l'AMS, ATH434 a reçu la désignation de médicament orphelin par la FDA et la Commission européenne. Ces labellisations, réservées au traitement, à la prévention ou au diagnostic des maladies rares et / ou incurables, permettent un financement spécial en raison du peu d'attention qui leur est accordée de la part des grandes sociétés pharmaceutiques.

«La FDA reconnaît clairement la gravité de l'AMS et la nécessité de nouveaux traitements pour lutter contre cette maladie orpheline dévastatrice», a déclaré le Dr David Stamler, directeur médical d'Alterity. «Notre réunion pré-IND (nouveau médicament d'investigation) a été très collégiale et j'ai hâte de collaborer à nouveau avec la Division de neurologie pour déterminer la meilleure voie de développement de l'ATH434 aux États-Unis. Grâce aux informations obtenues lors de cette réunion, nous avons une voie claire à suivre pour mener notre étude de phase 2 à MSA.»

L'étude d'histoire naturelle qui sera menée recrutera des patients AMS à un stade précoce et suivra les changements dans les paramètres cliniques et les biomarqueurs pendant un an maximum. Au cours de l'année, l'étude fournira des informations vitales pour optimiser la conception des essais cliniques et guider la sélection de biomarqueurs pour évaluer l'engagement cible des candidats-médicaments.

L'ATH434 est le premier d'une nouvelle génération de petites molécules conçues pour inhiber l'agrégation des protéines pathologiques impliquées dans la neurodégénérescence. Testé sur des animaux, il a montré qu'il redistribuait le fer labile au cerveau lui donnant le potentiel de traiter l'AMS. Sans cause ni traitement connus, l'AMS est un trouble neurologique rare et rapidement évolutif dont le début a tendance à commencer après l'âge de 50 ans, mis en évidence initialement par des symptômes de déficience motrice. Les personnes atteintes d'AMS peuvent également subir une perte de capacité à coordonner les mouvements volontaires et une régulation altérée des fonctions corporelles involontaires telles que la pression artérielle, le contrôle des intestins et de la vessie.

Alterity confirms FDA development pathway for Multiple System Atrophy treatment

- June 30, 2020

After meeting with the FDA, biopharmaceuticals company Alterity Therapeutics (ASX: ATH) has confirmed Phase II clinical trial plans for their ATH434 compound in the treatment of Multiple System Atrophy (MSA), an incurable Parkinsonian disorder with no regulatory precedent.

Due to the unique scenario where there are no accepted efficacy endpoints, guidance has been provided by the U.S Food and Drug Administration (FDA) encouraging Alterity to use data from a natural history study that Alterity has planned with clinical and neuroimaging experts at Vanderbilt University Medical Center.

As there is no approved treatment for MSA, ATH434 has been assigned Orphan Drug designation by the FDA and European Commission. This is reserved for treatment, prevention or diagnosis of rare and/or incurable diseases which enable special funding due to their lack of attention from larger pharmaceutical companies.

“The FDA clearly recognizes the seriousness of MSA and the need for new treatments to address this devastating Orphan disease,” said Alterity Chief Medical Officer, Dr David Stamler.

“Our pre-IND (investigative new drug) meeting was very collegial, and I look forward to again collaborating with the Division of Neurology to determine the best development path for ATH434 in the US.

“With the information obtained from this meeting, we have a clear path forward for conducting our Phase 2 study in MSA.”

The natural history study to be conducted will enroll early stage MSA patients and track changes in clinical parameters and biomarkers for up to one year. Over the course of the year, the study will provide vital information to optimise clinical trial design and inform the selection of biomarkers to evaluate target engagement of drug candidates.

ATH434 is the first in a new generation of small molecules designed to inhibit the aggregation of pathological proteins implicated in neurodegeneration. Tested on animals, it has shown to redistribute labile iron to the brain giving it the potential to treat MSA.

With no known cause or treatment, MSA is a rare and rapidly progressive neurological disorder where onset tends to commence after age 50, evidenced initially by motor impairment symptoms. Individuals with MSA may also experience loss of ability to coordinate voluntary movements and impaired regulation of involuntary body functions such as blood pressure, bowel and bladder control.