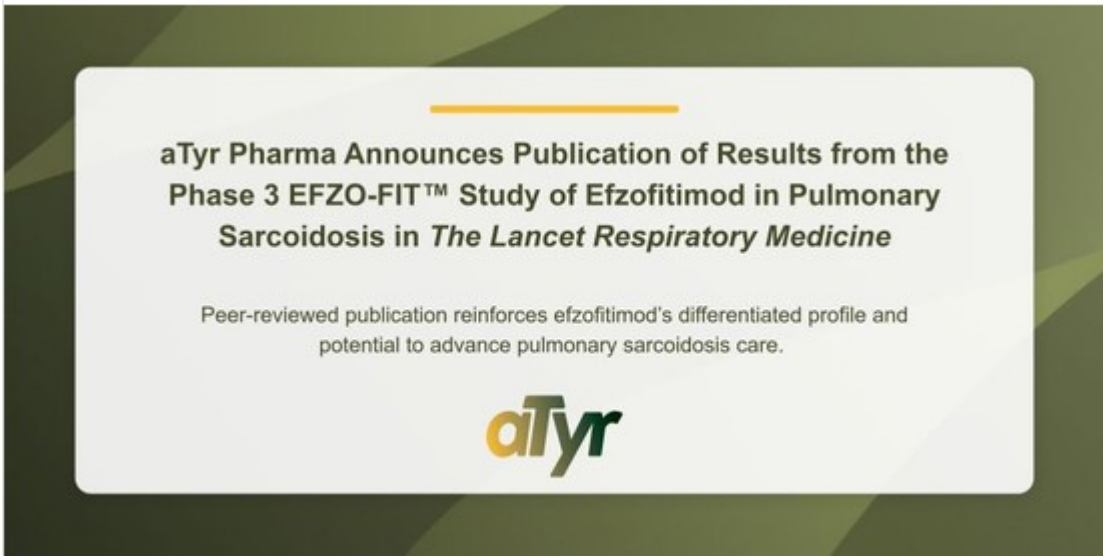
We are pleased to announce that the results from the Phase 3 EFZO-FIT™ study of efzofitimod in patients with pulmonary sarcoidosis have been published in The Lancet Respiratory Medicine. This peer-reviewed publication reinforces efzofitimod's differentiated profile and its potential to advance pulmonary sarcoidosis care.

The publication is available on the journal's website at: **https://bit.ly/3UTMuDy**

For more information, read here: **https://bit.ly/4Bx16Jp**

Übersetzung anzeigen



Hier ist die deutsche Übersetzung der Pressemitteilung:

Pressemitteilung

aTyr Pharma gibt Publikation der Ergebnisse der Phase-3-Studie EFZO-FIT™ zu Efzofitimod bei pulmonaler Sarkoidose in The Lancet Respiratory Medicine bekannt

29. Oktober 2026

Die peer-reviewte Publikation untermauert das differenzierte Profil von Efzofitimod und dessen Potenzial, die Versorgung bei pulmonaler Sarkoidose zu verbessern.

SAN DIEGO, 29. Oktober 2026 (GLOBE NEWSWIRE) – aTyr Pharma, Inc. (Nasdaq: ATYR) („aTyr" oder das „Unternehmen"), ein Biotechnologieunternehmen in der klinischen Phase, das auf der Entdeckung und Entwicklung erster-in-ihrer-Klasse-Medikamente aus seiner proprietären tRNA-Synthetase-Plattform spezialisiert ist, gab heute die Publikation der Ergebnisse der Phase-3-Studie EFZO-FIT™ seines führenden therapeutischen Kandidaten Efzofitimod bei Patientinnen und Patienten mit pulmonaler Sarkoidose, einer Hauptform der interstitiellen Lungenerkrankung (ILD), in The Lancet Respiratory Medicine bekannt. Die Publikation mit dem Titel „Efzofitimod versus Placebo bei Patientinnen und Patienten mit pulmonaler Sarkoidose (EFZO-FIT): eine multizentrische, randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Phase-3-Studie" ist auf der Website des Journals verfügbar unter: https://www.thelancet.com/journals/lanres/article/PIIS2213-2600(26)00283-3/abstract.

EFZO-FIT™ war eine globale Phase-3-interventionelle Studie an 268 Patientinnen und Patienten mit moderater bis schwerer pulmonaler Sarkoidose, die entwickelt wurde, um die Bedürfnisse von Patientinnen/Patienten und Ärztinnen/Ärzten zu adressieren, indem die Auswirkungen von Efzofitimod auf Steroidreduktion und wichtige patientenberichtete Endpunkte (PROs) durch ein protokollgeführtes Steroid-Tapering untersucht wurden.

Die Studie zeigte, dass ein großer Anteil aller Patientinnen und Patienten in der Studie für die Dauer der Intervention mit deutlich niedrigeren Steroiddosen behandelt werden konnte. Obwohl die Behandlung mit Efzofitimod im Vergleich zu Placebo keine statistisch signifikante Steroidreduktion bewirkte, verbesserte es dennoch mehrere PRO-Messgrößen, die für Patientinnen und Patienten mit Sarkoidose prioritäre Endpunkte darstellen, und wurde allgemein gut vertragen.

„Die Erkenntnisse aus dieser größten jemals durchgeführten interventionalen, randomisierten, kontrollierten Studie bei pulmonaler Sarkoidose stellen einen wichtigen Fortschritt in unserem Verständnis darüber dar, wie Patientinnen und Patienten angemessen mit Steroiden behandelt werden können, und dürften zu einem Paradigmenwechsel in der Art führen, wie wir Sarkoidose-Patientinnen und -Patienten behandeln und neue Therapien für diese Patientengruppe in der Zukunft bewerten", sagte Daniel Culver, D.O., Leiter der Abteilung für Lungenheilkunde am Cleveland Clinic und leitender Autor der Publikation. „Es besteht ein dringender Bedarf an sicheren, wirksamen und gut verträglichen Behandlungen für Sarkoidose, die einen positiven Einfluss auf die Lebensqualität der Patientinnen und Patienten haben. Die Studie zeigte nicht nur, dass eine starke Reduktion von Steroiden bei allen Patientinnen und Patienten in der Studie möglich war, sondern bemerkenswerterweise verbesserte Efzofitimod mehrere PRO-Messgrößen, einschließlich solcher, die spezifisch für Sarkoidose sind, und rechtfertigt weitere Untersuchungen in dieser Patientengruppe."

„Die Publikation der EFZO-FIT™-Ergebnisse stärkt die Evidenz für Efzofitimod und bringt sein differenziertes klinisches Profil stärker zur Geltung", sagte Sanjay S. Shukla, M.D., M.S., Präsident und Chief Executive Officer von aTyr Pharma. „Die Verbesserungen über mehrere PROs hinweg, zusammen mit erhaltener Lungenfunktion und einem günstigen Sicherheitsprofil, untermauern unser Vertrauen in das Potenzial von Efzofitimod und bieten eine solide Grundlage für seine weitere Entwicklung bei pulmonaler Sarkoidose."

Über die EFZO-FIT™-Studie

EFZO-FIT™ war eine globale Phase-3-interventionelle Studie an 268 Patientinnen und Patienten mit moderater bis schwerer pulmonaler Sarkoidose, die die Wirksamkeit und Sicherheit von Efzofitimod in Dosen von 3,0 mg/kg und 5,0 mg/kg gegenüber Placebo nach 48 Wochen Behandlung verglich, welche ein protokollgeführtes Steroid-Tapering in den ersten 12 Wochen der Studie beinhaltete, gefolgt von weiterem Tapering oder Rescue-Therapie bis Woche 48. Während die Studie ihren primären Endpunkt der Veränderung gegenüber dem Ausgangswert in der durchschnittlichen täglichen oralen Kortikosteroid-Dosis in Woche 48 nicht erreichte, wurde für 5,0 mg/kg Efzofitimod über mehrere vorab festgelegte PROs hinweg in Woche 48 im Vergleich zu Placebo ein klinischer Nutzen beobachtet, einschließlich des King's Sarcoidosis Questionnaire (KSQ)-Lung Score, Fatigue Assessment Scale Score, KSQ-General Health Score und komplettem Steroidentzug mit Verbesserung des KSQ-Lung Scores. Zusätzlich erhielt die Behandlung mit Efzofitimod die Lungenfunktion gemessen an der forcierten Exspiratorischen Vitalkapazität (FVC) und wurde gut vertragen mit einem Sicherheitsprofil, das mit bisher durchgeführten Studien konsistent ist.

Über pulmonale Sarkoidose

Pulmonale Sarkoidose ist eine entzündliche Erkrankung, die durch die Bildung von Granulomen, Ansammlungen von Entzündungszellen, in einem oder mehreren Organen des Körpers gekennzeichnet ist. Ungefähr 160.000 Amerikanerinnen und Amerikaner erhalten jährlich eine Diagnose für pulmonale

Sarkoidose, und die Prognose reicht von benign und selbstlimitierend bis chronisch, behindernder Erkrankung, dauerhaftem Verlust der Lungenfunktion und Tod. Aktuelle Behandlungsoptionen umfassen Kortikosteroide und andere immunsuppressive Therapien, die eine begrenzte Wirksamkeit haben und mit schweren Nebenwirkungen verbunden sind, die viele Patientinnen und Patienten langfristig nicht vertragen können.

Über Efzofitimod

Efzofitimod ist ein neuartiges biologisches Immunmodulator, das sich in der klinischen Entwicklung zur Behandlung der interstitiellen Lungenerkrankung (ILD) befindet, einer Gruppe von immunvermittelten Störungen, die Entzündungen und Fibrose, oder Vernarbung, der Lunge verursachen können. Efzofitimod ist eine von tRNA-Synthetasen abgeleitete Therapie, die aktivierte myeloische Zellen selektiv über Neuropilin-2 moduliert, um Entzündungen ohne Immunsuppression zu lösen und möglicherweise das Fortschreiten der Fibrose zu verhindern. Efzofitimod wird derzeit in der Phase-2-Studie EFZO-CONNECT™ bei Patientinnen und Patienten mit ILD im Zusammenhang mit systemischer Sklerose (SSc oder Sklerodermie) untersucht, und aTyr hat kürzlich studiennahe Aktivitäten für eine globale Phase-3-Studie von Efzofitimod bei Patientinnen und Patienten mit pulmonaler Sarkoidose, einer Hauptform der ILD, initiiert. Diese Formen der ILD haben begrenzte therapeutische Optionen, und es besteht ein Bedarf an sichereren und wirksameren, krankheitsmodifizierenden Behandlungen, die die Ergebnisse verbessern.

Über aTyr

aTyr ist ein Biotechnologieunternehmen in der klinischen Phase, das evolutionäre Intelligenz nutzt, um tRNA-Synthetase-Biologie in neue Therapien für Fibrose und Entzündungen zu übersetzen. tRNA-Synthetasen sind alte, essentielle Proteine, die neuartige Domänen entwickelt haben, die diverse Signalwege extrazellulär beim Menschen regulieren. Die Entdeckungsplattform von aTyr konzentriert sich darauf, versteckte therapeutische Eingriffspunkte zu erschließen, indem Signalwege aufgedeckt werden, die von seiner proprietären Bibliothek von Domänen angetrieben werden, die von allen 20 tRNA-Synthetasen stammen. Der führende therapeutische Kandidat von aTyr ist Efzofitimod, ein neuartiger biologischer Immunmodulator, der sich in der klinischen Entwicklung zur Behandlung der interstitiellen Lungenerkrankung befindet, einer Gruppe von immunvermittelten Störungen, die Entzündungen und fortschreitende Fibrose, oder Vernarbung, der Lunge verursachen können. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.atyrpharma.com.

Aussagen zur zukünftigen Entwicklung

Diese Pressemitteilung enthält zukunftsgerichtete Aussagen im Sinne des Private Securities Litigation Reform Act von 1995. Zukunftsgerichtete Aussagen werden üblicherweise durch die Verwendung von Wörtern wie „voranschreiten", „glaubt", „kann", „könnte", „entwickelt", „erwartet", „möglicherweise", „plant", „möglich", „Potenzial", „wird" identifiziert sowie Variationen solcher Wörter oder ähnlicher Ausdrücke. Wir beabsichtigen, dass diese zukunftsgerichteten Aussagen von solchen Safe-Harbor-Bestimmungen für zukunftsgerichtete Aussagen erfasst werden, und wir geben diese Erklärung ab, um diesen Safe-Harbor-Bestimmungen zu entsprechen. Zu diesen zukunftsgerichteten Aussagen gehören unter anderem Aussagen bezüglich der potenziellen therapeutischen Vorteile und Anwendungen von Efzofitimod; Zeitpläne und Erwartungen hinsichtlich der weiteren Entwicklung von Efzofitimod bei Patientinnen und Patienten mit pulmonaler Sarkoidose mit restriktiver Lungenerkrankung; das Potenzial dafür, dass die Ergebnisse der EFZO-FIT™-Studie zu einem Paradigmenwechsel in der Art führen, wie Sarkoidose-Patientinnen und -Patienten behandelt werden, einschließlich der Verwaltung der Erkrankung mit deutlich niedrigeren Steroiddosen für die Dauer der Intervention, Fortschritten in der Standardversorgung und wie neue Therapien für diese Patientengruppe in der Zukunft bewertet werden; das Potenzial von Efzofitimod, mehrere PRO-Messgrößen zu verbessern, einschließlich solcher, die spezifisch für Sarkoidose sind, und Lungenfunktion zu erhalten; die erwarteten Vorteile aus der Publikation der EFZO-FIT™-Ergebnisse; und bestimmte Entwicklungsziele. Diese zukunftsgerichteten Aussagen spiegeln auch unsere aktuellen Ansichten zu unseren Plänen, Absichten, Erwartungen, Strategien und Perspektiven wider, die auf den uns derzeit verfügbaren Informationen und auf Annahmen basieren, die wir getroffen haben. Obwohl wir glauben, dass unsere Pläne, Absichten, Erwartungen, Strategien und Perspektiven, wie in oder durch diese zukunftsgerichteten Aussagen gespiegelt oder angedeutet, vernünftig sind, können wir keine Garantie geben, dass die Pläne, Absichten, Erwartungen, Strategien oder Perspektiven erreicht werden. Alle zukunftsgerichteten Aussagen basieren auf Schätzungen und Annahmen unseres Managements, die, obwohl wir sie für vernünftig halten, inhärent unsicher sind. Darüber hinaus können tatsächliche Ergebnisse erheblich von denen in diesen zukunftsgerichteten Aussagen beschriebenen abweichen und werden von verschiedenen Risiken und Faktoren beeinflusst, die außerhalb unserer Kontrolle liegen, einschließlich, ohne

Einschränkung, Unsicherheit bezüglich Interaktionen mit der FDA im Allgemeinen, Risiken, dass nachfolgende Studienergebnisse und Befunde früheren Studienergebnissen und Befunden widersprechen oder diese nicht unterstützen können oder die in dieser Pressemitteilung diskutierten Ergebnisse nicht unterstützen könnten, Risiken, dass die Ergebnisse der vorgeschlagenen Phase-3-Studie möglicherweise nicht die FDA-Zulassung von Efzofitimod bei pulmonaler Sarkoidose unterstützen, Unsicherheit bezüglich geopolitischer und makroökonomischer Ereignisse, Risiken im Zusammenhang mit der Entdeckung, Entwicklung und Regulierung von Efzofitimod, die Risiken im Zusammenhang mit der Zielsetzung einer begrenzteren Patientengruppe in der vorgeschlagenen Phase-3-Studie von Efzofitimod bei pulmonaler Sarkoidose, das Risiko, dass wir oder zukünftige Partner präklinische oder klinische Entwicklungsaktivitäten für Efzofitimod aus verschiedenen Gründen einstellen oder verzögern könnten (einschließlich Schwierigkeiten oder Verzögerungen bei der Patienteneinschreibung in geplanten klinischen Studien), die Möglichkeit, dass zukünftige Zusammenarbeit frühzeitig beendet werden könnte, und das Risiko, dass wir möglicherweise nicht in der Lage sein werden, die zusätzliche Finanzierung für unsere Geschäfts- und Produktentwicklungspläne aufzubringen, sowie die Risiken, die in unserem jüngsten Jahresbericht auf Form 10-K, Quartalsberichten auf Form 10-Q und in unseren anderen SEC-Einreichungen dargelegt sind. Soweit gesetzlich erforderlich, übernehmen wir keine Verpflichtung, zukunftsgerichtete Aussagen öffentlich zu aktualisieren, sei es infolge neuer Informationen, zukünftiger Ereignisse oder anderweitig.

Hier folgt der öffentlich lesbare Lancet Artikel:

THE LANCET
Respiratory Medicine

ArticlesOnline firstOctober 26, 2026

Efzofitimod versus placebo in patients with pulmonary sarcoidosis (EFZO-FIT): a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial

Daniel A Culver, DOa Send email to culverd@ccf.org · Prof Francesco Bonella, MDb · Prof Rohit Gupta, MBBSc · Prof Paolo Spagnolo, MDd · Marcel Veltkamp, MDe,f · Paolo Cameli, MDg · et al. Show more

Summary

Background

Oral corticosteroids are currently standard-of-care therapy for pulmonary sarcoidosis, but they are associated with substantial toxicity and reduced health-related quality of life (HRQoL). The EFZO-FIT trial aimed to assess the efficacy and safety of efzofitimod, a novel immunomodulatory fusion protein targeting the neuropilin 2 receptor, as a steroid-sparing agent in pulmonary sarcoidosis.

Methods

In this multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial, adults aged 18–75 years with pulmonary sarcoidosis requiring treatment were enrolled at 85 study centres across nine countries (Brazil, France, Germany, Italy, Japan, Netherlands, Spain, UK, and USA). Participants were randomly assigned 1:1:1 using stratified block randomisation to receive monthly intravenous infusions of efzofitimod 3 mg/kg, efzofitimod 5 mg/kg, or placebo over a 48-week treatment period, including a 12-week oral corticosteroid taper targeting 0 mg per day (starting on day 15). Oral corticosteroid dose could be adjusted

upwards in the event of worsening sarcoidosis. The primary endpoint was change from baseline in mean daily oral corticosteroid dose at week 48. Outcome and safety analyses were done in participants who received at least one dose of the study drug and had at least one post-baseline efficacy assessment. This study was registered with ClinicalTrials.gov (NCT05415137) and is complete.

Findings

Between Sept 22, 2022, and Aug 14, 2025, 331 patients were screened for inclusion. 63 were excluded and 268 participants were randomly assigned to receive placebo (n=91), efzofitimod 3 mg/kg (n=89), or efzofitimod 5 mg/kg (n=88). Four patients were excluded after random assignment (one in the placebo group and three in the efzofitimod 3 mg/kg group). 264 patients who received at least one dose of study treatment and had at least one post-baseline assessment were included in the outcome analysis and safety population (90 in the placebo group, 86 in the efzofitimod 3 mg/kg group, and 88 in the efzofitimod 5 mg/kg group). Among the 264 participants, the mean age was 53·8 years (SD 10·6); 114 (43%) of 264 patients were female and 150 (57%) were male. 168 (64%) identified as White. Mean steroid dose was 10·7 mg per day (SD 4·4) at baseline and 2·9 mg per day (4·5) at week 48. No difference was seen in the magnitude of oral corticosteroid taper between the active and placebo dose groups; the placebo-adjusted change from baseline was 0·02 mg per day in the efzofitimod 3 mg/kg group (95% CI –1·49 to 1·52, p=0·98) and –0·73 mg per day in the efzofitimod 5 mg/kg group (–2·21 to 0·75, p=0·33). The percentage of participants with serious treatment-emergent adverse events was similar between groups. Malaise was more common in the placebo group (five [6%] of 90 patients *vs* zero in both efzofitimod groups). TEAEs that were more common in the efzofitimod groups included headache (17 [19%] of 88 patients in the efzofitimod 5 mg/kg group, 11 [13%] of 86 patients in the efzofitimod 3 mg/kg group, and four [4%] of 90 patients in the placebo group), sinusitis (nine [10%], six [7%], and two [2%] patients, respectively), wheezing (seven [8%], two [2%], and zero patients, respectively), and aspartate aminotransferase (AST) increased (five [6%], one [1%], and zero patients, respectively). Most adverse events were grade 1 or 2. Two participants died, both in the efzofitimod 3 mg/kg group (one respiratory failure and one incarceration of a pre-existing inguinal hernia). Neither event was considered to be causally related to the treatment.

Interpretation

Efzofitimod was well tolerated but did not result in lower steroid doses at week 48 compared with placebo. The results from steroid tapering indicate that oral corticosteroid doses can be more aggressively reduced in many patients with pulmonary sarcoidosis.

Funding

aTyr and Kyorin.