

## **Ipsen et Inspiration Biopharmaceuticals annoncent que l'OBI-1 a reçu la désignation de Fast Track (procédure accélérée) de la FDA dans le traitement de l'hémophilie acquise de type A**

### **Dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) aux Etats-Unis prévu au premier semestre 2013**

**Paris (France) et Cambridge, Mass. (USA), 20 novembre 2012** – Ipsen (Euronext: IPN, ADR: IPSEY) et Inspiration Biopharmaceuticals, Inc. (Inspiration) ont annoncé aujourd'hui qu'Inspiration a reçu la désignation de "Fast Track" (procédure de revue accélérée) par les agences réglementaires américaines (FDA) pour l'OBI-1 dans le traitement de l'hémophilie acquise de type A. OBI-1, un facteur VIII (FVIII) porcin recombinant administré par voie intraveineuse, est évalué dans le traitement de patients atteints d'hémophilie acquise de type A ayant développé des anticorps inhibiteurs à leur propre facteur VIII.

La procédure accélérée est une désignation que la FDA réserve aux médicaments destinés au traitement des maladies graves pouvant répondre à un besoin médical non satisfait. La procédure accélérée est conçue pour faciliter le développement et accélérer l'examen des nouveaux médicaments. La demande d'autorisation de mise sur le marché dans le cadre d'une procédure accélérée peut faire l'objet d'une évaluation prioritaire («priority review»), ce qui implique un délai d'examen ramené à huit mois. Inspiration prévoit de déposer la demande d'autorisation de mise sur le marché à la FDA aux Etats-Unis au premier semestre 2013.

OBI-1 a reçu le statut de médicament orphelin par la FDA en mars 2004 et par l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) en octobre 2010.

#### **A propos de la première étude de phase III en hémophilie acquise de type A**

En Novembre 2010, Inspiration a lancé la première étude pivotale avec OBI-1 dans le traitement des épisodes de saignements graves chez des personnes souffrant d'une hémophilie acquise de type A. L'étude clinique pivotale de phase III est un essai ouvert, non randomisé et prospectif, dont l'objectif est d'évaluer l'efficacité d'OBI-1 dans le traitement des épisodes de saignements graves chez des personnes souffrant d'une hémophilie acquise causée par le développement d'anticorps inhibiteurs au facteur VIII humain. Les épisodes graves de saignements incluent ceux qui constituent une menace pour la vie, les organes vitaux ou les membres des patients, ou qui nécessitent une transfusion sanguine. Des informations complémentaires sur cette étude pivotale réalisée avec OBI-1 dans le traitement de personnes souffrant d'hémophilie acquise sont disponibles sur <http://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01178294>.

Les résultats concernant les 12 premiers patients de cette étude clinique ont été présentés lors de la réunion de la Fédération Mondiale de l'Hémophilie (World Federation of Hemophilia) en juillet 2012. Le recrutement pour l'étude clinique avec l'OBI-1 dans le traitement de l'hémophilie acquise de type A est en cours.

### **A propos de l'OBI-1**

Au quatrième trimestre 2010, OBI-1 est entré dans la dernière phase des essais cliniques chez les patients atteints d'hémophilie acquise, une maladie rare entraînant des saignements potentiellement mortels et qui, à l'inverse de l'hémophilie congénitale, touche majoritairement des adultes plus âgés, des hommes aussi bien que des femmes. De plus, Inspiration a lancé une seconde étude clinique pivotale chez les patients atteints d'hémophilie congénitale de type A qui développent des inhibiteurs au FVIII humain. OBI-1 procure aux médecins une solution unique et alternative pour répondre aux besoins des patients qui ont développé des inhibiteurs au FVIII, qui est accueillie avec enthousiasme par la communauté médicale.

### **A propos de l'hémophilie**

L'hémophilie correspond à un ensemble de troubles de la coagulation causés par le faible niveau ou l'absence de protéines, les facteurs de coagulation, essentiels pour la coagulation sanguine. Les deux formes les plus courantes de l'hémophilie sont de type A et B. L'hémophilie A se caractérise par une carence en facteur VIII et se produit dans environ 1 naissance de garçon sur 5 000. L'hémophilie acquise de type A, une pathologie rare, est causée par la formation d'anticorps au propre facteur VIII du patient, souvent causée par une autre pathologie sous-jacente chez les personnes âgées. L'hémophilie B se caractérise par un déficit de coagulation de facteur IX et se produit dans environ 1 naissance de garçon sur 30000. Dans environ 60% des cas, l'hémophilie est une maladie grave entraînant des épisodes fréquents de saignements spontanés et de saignements graves après des blessures. Le marché mondial des traitements de l'hémophilie représente une valeur d'environ 8 milliards de dollars par an.

### **À propos de l'accord de partenariat entre Inspiration et Ipsen et du portefeuille de produits**

En janvier 2010, Ipsen et Inspiration ont signé un accord stratégique visant à tirer profit de la mise en commun de leur expertise et de leurs ressources pour développer un large portefeuille de produits en hémophilie et deux produits en phase III. L'IB1001, traitement expérimental par facteur IX recombinant (rFIX) administré par voie intraveineuse pour le traitement et la prévention des saignements chez les patients atteints d'hémophilie B et l'OBI-1, traitement expérimental par facteur VIII recombinant d'origine porcine (rpFVIII) administré par voie intraveineuse pour le traitement des patients atteints i) d'hémophilie A acquise et ii) d'hémophilie A congénitale ayant développé des inhibiteurs contre le facteur humain FVIII.

En août 2011, Ipsen et Inspiration ont annoncé l'extension de leur partenariat afin de créer une Business Unit Hémophilie appelée à devenir l'agent commercial exclusif pour la commercialisation de tous les médicaments contre l'hémophilie de la marque Inspiration en Europe.

Le 21 août 2012, Ipsen et Inspiration ont renégocié leur accord de partenariat signé en 2010. Cet accord a pour objectif de définir une structure efficace dans laquelle Ipsen obtient les droits commerciaux sur des territoires-clés. Inspiration reste responsable du développement de l'OBI-1 et de l'IB1001 au niveau mondial. Ipsen a versé à Inspiration un montant de 30 millions de dollars pour ces droits, laissant ainsi le temps à Inspiration de trouver un financement externe et à Ipsen d'évaluer les pistes potentielles.

Le 31 août 2012, Ipsen a versé 7,5 millions de dollars à Inspiration et a reçu un warrant représentant 15% du capital d'Inspiration ; Ipsen a abandonné ce warrant en octobre 2012.

Ipsen avait accepté de verser 12,5 millions de dollars supplémentaires à Inspiration si celle-ci parvenait à lever un financement externe avant l'échéance contractuelle du 30 septembre 2012. Inspiration n'est pas parvenue à trouver ce financement externe avant cette échéance.

Le 30 octobre 2012, Inspiration a initié un plan de réorganisation volontaire de ses activités sous le régime du Chapitre 11 du code des faillites américain. Inspiration cherche un acheteur stratégique dans le cadre d'un processus de vente formel. Ipsen joindra à la vente les droits commerciaux

obtenus d'Inspiration en août 2012 ainsi que le site industriel de Milford (Massachusetts, États-Unis) où OBI-1 est produit.

## **A propos d'Ipsen**

Ipsen est un groupe pharmaceutique de spécialité à vocation mondiale qui a affiché en 2011 des ventes supérieures à 1,1 milliard d'euros. L'ambition d'Ipsen est de devenir un leader dans le traitement des maladies invalidantes. Sa stratégie de développement s'appuie sur 4 franchises : neurologie / Dysport<sup>®</sup>, endocrinologie / Somatuline<sup>®</sup>, uro-oncologie / Décapeptyl<sup>®</sup> et l'hémophilie. Par ailleurs, le Groupe a une politique active de partenariats. La R&D d'Ipsen est focalisée sur ses plateformes technologiques différenciées et innovantes en peptides et en toxines. En 2011, les dépenses de R&D ont atteint plus de 250 millions d'euros, soit plus de 21 % du chiffre d'affaires. Le Groupe rassemble près de 4 500 collaborateurs dans le monde. Les actions Ipsen sont négociées sur le compartiment A d'Euronext Paris (mnémonique : IPN, code ISIN : FR0010259150) et sont éligibles au SRD (« Service de Règlement Différé »). Le Groupe fait partie du SBF 120. Ipsen a mis en place un programme d'American Depositary Receipt (ADR) sponsorisé de niveau I. Les ADR d'Ipsen se négocient de gré à gré aux Etats-Unis sous le symbole IPSEY. Le site Internet d'Ipsen est [www.ipsen.com](http://www.ipsen.com).

## **Avertissement Ipsen**

Les déclarations prospectives et les objectifs contenus dans cette présentation sont basés sur la stratégie et Les déclarations prospectives et les objectifs contenus dans cette présentation sont basés sur la stratégie et les hypothèses actuelles de la Direction. Ces déclarations et objectifs dépendent de risques connus ou non, et d'éléments aléatoires qui peuvent entraîner une divergence significative entre les résultats, performances ou événements effectifs et ceux envisagés dans ce communiqué. Ces risques et éléments aléatoires pourraient affecter la capacité du Groupe à atteindre ses objectifs financiers qui sont basés sur des conditions macroéconomiques raisonnables, provenant de l'information disponible à ce jour.

De plus, les prévisions mentionnées dans ce document sont établies en dehors d'éventuelles opérations futures de croissance externe qui pourraient venir modifier ces paramètres. Ces prévisions sont notamment fondées sur des données et hypothèses considérées comme raisonnables par le Groupe et dépendent de circonstances ou de faits susceptibles de se produire à l'avenir et dont certains échappent au contrôle du Groupe, et non pas exclusivement de données historiques. Les résultats réels pourraient s'avérer substantiellement différents de ces objectifs compte tenu de la matérialisation de certains risques ou incertitudes, et notamment qu'un nouveau produit peut paraître prometteur au cours d'une phase préparatoire de développement ou après des essais cliniques, mais n'être jamais commercialisé ou ne pas atteindre ses objectifs commerciaux, notamment pour des raisons réglementaires ou concurrentielles. Le Groupe doit faire face ou est susceptible d'avoir à faire face à la concurrence des produits génériques qui pourrait se traduire par des pertes de parts de marché.

En outre, le processus de recherche et développement comprend plusieurs étapes et, lors de chaque étape, le risque est important que le Groupe ne parvienne pas à atteindre ses objectifs et qu'il soit conduit à renoncer à poursuivre ses efforts sur un produit dans lequel il a investi des sommes significatives. Aussi, le Groupe ne peut être certain que des résultats favorables obtenus lors des essais pré cliniques seront confirmés ultérieurement lors des essais cliniques ou que les résultats des essais cliniques seront suffisants pour démontrer le caractère sûr et efficace du produit concerné. Le Groupe dépend également de tierces parties pour le développement et la commercialisation de ses produits, qui pourraient potentiellement générer des redevances substantielles ; ces partenaires pourraient agir de telle manière que cela pourrait avoir un impact négatif sur les activités du Groupe

ainsi que sur ses résultats financiers. Le Groupe ne peut être certain que ses partenaires tiendront leurs engagements. A ce titre, le Groupe pourrait ne pas être en mesure de bénéficier de ces accords. Une défaillance d'un de ses partenaires pourrait engendrer une baisse imprévue de revenus. De telles situations pourraient avoir un impact négatif sur l'activité du Groupe, sa situation financière ou ses résultats.

Sous réserve des dispositions légales en vigueur, le Groupe ne prend aucun engagement de mettre à jour ou de réviser les déclarations prospectives ou objectifs visés dans le présent communiqué afin de refléter les changements qui interviendraient sur les événements, situations, hypothèses ou circonstances sur lesquels ces déclarations sont basées. L'activité du Groupe est soumise à des facteurs de risques qui sont décrits dans ses documents d'information enregistrés auprès de l'Autorité des Marchés Financiers.

**Pour plus d'informations :**

**Ipsen**

**Médias**

**Didier Véron**

Vice-Président, Affaires Publiques et Communication

Tel.: +33 (0)1 58 33 51 16

Fax: +33 (0)1 58 33 50 58

E-mail: didier.veron@ipsen.com

**Communauté financière**

**Pierre Kemula**

Vice-Président Corporate Finance, Trésorerie et Marchés Financiers

Tel.: +33 (0)1 58 33 60 08

Fax: +33 (0)1 58 33 50 63

E-mail: pierre.kemula@ipsen.com

**Stéphane Durant des Aulnois**

Investor Relations Manager

Tel.: +33 (0)1 58 33 60 09

Fax: +33 (0)1 58 33 50 63

E-mail: stephane.durant.des.aulnois@ipsen.com

**Inspiration**

John Butler

Directeur Général

+1 617 588 1818

jbutler@inspirationbio.com