

Ipsen et Blueprint Medicines annoncent un accord exclusif de licence pour le développement et la commercialisation de BLU-782 dans le traitement de la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP)

- Ipsen agrandit son portefeuille en Maladies Rares grâce à BLU-782, un inhibiteur hautement sélectif du récepteur ALK2 en développement clinique, pour le traitement de la FOP --*
- Ipsen accélérera le développement international de BLU-782 grâce à son expertise clinique dans les maladies rares et ses infrastructures mondiales --*
- Blueprint Medicines est éligible au versement de 535 millions de dollars (25 millions de dollars de paiement initial et jusqu'à 510 millions de dollars de paiement liés à l'atteinte d'étapes de développement, réglementaires et de commercialisation), d'autres paiements et un pourcentage de redevances progressives --*

PARIS, France et CAMBRIDGE, Mass., États-Unis, le 16 OCTOBRE 2019 /PRNewswire/ -- Ipsen (Euronext : IPN ; ADR : IPSEY), via sa filiale Clementia Pharmaceuticals et Blueprint Medicines Corporation (NASDAQ : BPMC), ont annoncé aujourd'hui la signature d'un accord de licence exclusif mondial pour le développement et la commercialisation de BLU-782. Ce médicament expérimental administré par voie orale est une molécule inhibitrice hautement sélective de l'ALK2, en développement pour le traitement de la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP).

Cet accord permettra d'enrichir le portefeuille de Maladies Rares d'Ipsen et de soutenir l'objectif de Blueprint Medicines de développer rapidement et efficacement BLU-782 dans le traitement des patients atteints de FOP. Ipsen a démontré son engagement dans cette pathologie génétique complexe et ultra-rare par le développement clinique avancé du palovarotene, un agoniste du récepteur gamma de l'acide rétinoïque (RAR γ). Ipsen a la possibilité d'offrir une offre de traitements élargie aux patients atteints de FOP, avec BLU-782, dont la posologie a récemment été établie lors d'un essai de Phase I chez les volontaires sains.

« Notre stratégie est de créer une franchise leader dans le domaine des Maladies Rares et grâce à l'acquisition récente de Clementia, nous avons ainsi dans notre portefeuille une molécule première de sa classe thérapeutique avec palovarotene. Désormais, avec BLU-782, nous disposons de deux médicaments candidats complémentaires. Nous poursuivons ainsi notre engagement à développer et apporter des traitements efficaces aux patients du monde entier atteints de FOP et d'autres maladies rares », a déclaré David Meek, Directeur général d'Ipsen.

« Nous sommes admiratifs des nombreuses réussites d'Ipsen dans le développement clinique international du traitement de cette pathologie génétique complexe et ultra-rare. Nous sommes convaincus que son expertise, combinée à ses infrastructures mondiales et son engagement à améliorer le traitement de la FOP, permettront d'accélérer le développement de BLU-782 à l'échelle mondiale »,

a déclaré Jeff Albers, Directeur général de Blueprint Medicines. « *Nous avons été motivés par toute la communauté autour de la FOP, à commencer par les patients, mais aussi les familles, les cliniciens et les associations de patients avec lesquels nous avons la chance de travailler, alors que nous développons BLU-782, la toute première molécule thérapeutique expérimentale inhibitrice de l'ALK2 (dont le gène muté est responsable de la FOP) à entrer en phase de développement clinique. Nous sommes tout aussi reconnaissants envers notre équipe Blueprint Medicines pour son implication et sa détermination. Son engagement continu a permis le développement de BLU-782 jusque-là.* »

Aux termes de l'accord de licence, Blueprint Medicines sera éligible à des paiements d'un montant maximum de 535 millions de dollars dont un paiement initial de 25 millions de dollars et jusqu'à 510 millions de dollars de paiements liés à l'atteinte d'étapes clés liées au développement, aux autorisations réglementaires et à la commercialisation des produits sous licence dans une à deux indications dont la FOP, et d'autres paiements. Ipsen versera également à Blueprint Medicines des redevances progressives comprises entre 10 et 20% (*low- to mid- teens*) sur les ventes nettes annuelles cumulées dans le monde des produits sous licence, sous réserve d'ajustements effectués dans certaines circonstances, en vertu de l'accord de licence.

À propos du BLU-782

BLU-782 a été mis au point par la plateforme de recherche de Blueprint Medicines pour cibler de façon sélective le gène mutant ALK2, cause sous-jacente de la FOP. Blueprint Medicines a récemment finalisé l'administration du traitement lors d'un essai clinique de phase 1 chez des volontaires sains. Blueprint Medicines a présenté les données préliminaires lors du congrès annuel de l'American Society of Bone and Mineral Research, en septembre 2019, indiquant que BLU-782 avait été bien toléré à toutes les doses testées. Les données précliniques précédemment rapportées sur un modèle de FOP bien caractérisé et génétiquement précis ont montré que BLU-782 empêchait l'ossification hétérotopique causée par les lésions et la chirurgie, réduisait l'œdème et rétablissait la réponse des tissus sains aux lésions musculaires. Les autorités réglementaires américaines ont accordé à BLU-782 le statut de maladie pédiatrique rare et de médicament orphelin, ainsi qu'une procédure accélérée (« fast track designation »).

À propos de la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP)

La fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP) est une maladie génétique rare et gravement invalidante, caractérisée par une ossification hétérotopique (OH) progressive, ou la transformation anormale des muscles, ligaments, tendons en tissu osseux. L'OH peut être spontanée ou associée à des épisodes douloureux de poussées actives de la maladie, généralement provoqués par une lésion des tissus mous. À mesure que la maladie progresse, le développement de tissu osseux extra-squelettiques limite de plus en plus les articulations, entraînant alors une invalidité grave et une perte de mobilité, l'altération de la fonction respiratoire et un risque accru de décès prématuré. La FOP est causée par une mutation du gène ALK2, connu sous le nom de ACVR1, qui provoque une activation anormale de la voie de signalisation de la protéine morphogénétique osseuse.

À propos d'Ipsen

Ipsen est un groupe biopharmaceutique mondial focalisé sur l'innovation et la médecine de spécialité. Le groupe développe et commercialise des médicaments innovants dans trois domaines

thérapeutiques ciblés – l’Oncologie, les Neurosciences et les Maladies Rares. L’engagement d’Ipsen en oncologie est illustré par son portefeuille croissant de thérapies visant à améliorer la vie des patients souffrant de cancers de la prostate, de tumeurs neuroendocrines, de cancers du rein et du pancréas. Ipsen bénéficie également d’une présence significative en Santé Familiale. Avec un chiffre d’affaires de plus de 2,2 milliards d’euros en 2018, Ipsen commercialise plus de 20 médicaments dans plus de 115 pays, avec une présence commerciale directe dans plus de 30 pays. La R&D d’Ipsen est focalisée sur ses plateformes technologiques différenciées et innovantes situées au cœur des clusters mondiaux de la recherche biotechnologique ou en sciences de la vie (Paris-Saclay, France ; Oxford, UK ; Cambridge, US). Le Groupe rassemble plus de 5 700 collaborateurs dans le monde. Ipsen est coté en bourse à Paris (Euronext : IPN) et aux États-Unis à travers un programme d’American Depositary Receipt (ADR : IPSEY) sponsorisé de niveau I. Pour plus d’informations sur Ipsen, consultez www.ipsen.com.

À propos de Blueprint Medicines

Blueprint Medicines est une société spécialisée dans les thérapies de haute précision, engagée à améliorer la santé humaine. Avec un focus sur les cancers d’origine génétique, les maladies rares et l’immunothérapie des cancers, nous développons des médicaments innovants grâce à notre expertise de pointe dans les protéines kinases, qui jouent un rôle déterminant. Notre approche évolutive et ciblée unique nous permet de mettre au point et de développer rapidement de nouveaux traitements avec de meilleures chances de réussite clinique. Trois médicaments expérimentaux sont actuellement en phase de développement clinique, en parallèle de plusieurs programmes de recherche. Pour plus d’informations, consultez la page www.BlueprintMedicines.com et suivez-nous sur Twitter (@BlueprintMeds) et LinkedIn.

Note d’avertissement sur les déclarations prospectives d’Ipsen

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. L’utilisation des termes " croit ", " envisage " et " prévoit " ou d’expressions similaires a pour but d’identifier des déclarations prévisionnelles, notamment les attentes du Groupe quant aux événements futurs, y compris les soumissions et décisions réglementaires. 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. Il ne saurait être garanti qu’un produit recevra les homologations nécessaires ou qu’il atteindra ses objectifs commerciaux. Les résultats réels pourraient être sensiblement différents de ceux annoncés dans les déclarations prévisionnelles si les hypothèses sous-jacentes s’avèrent inexactes ou si certains risques ou incertitudes se matérialisent. Les autres risques et incertitudes comprennent, sans toutefois s’y limiter, la situation générale du secteur et la concurrence ; les facteurs économiques généraux, y compris les fluctuations du taux d’intérêt et du taux de change ; l’incidence de la réglementation de l’industrie pharmaceutique et de la législation en matière de soins de santé ; les tendances mondiales à l’égard de la maîtrise des coûts en matière de soins de santé ; les avancées technologiques, les nouveaux produits et les brevets obtenus par la concurrence ; les problèmes inhérents au développement de nouveaux produits, notamment l’obtention d’une homologation ; la capacité du Groupe à prévoir avec précision les futures conditions du marché ; les difficultés ou délais de production ; l’instabilité financière de l’économie internationale et le risque souverain ; la dépendance à l’égard de l’efficacité des brevets du Groupe et autres protections

concernant les produits novateurs ; et le risque de litiges, notamment des litiges en matière de brevets et/ou des recours réglementaires. 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. Les risques et incertitudes présentés ne sont pas les seuls auxquels le Groupe doit faire face et le lecteur est invité à prendre connaissance du Document de Référence 2018 du Groupe, disponible sur son site web (www.ipsen.com).

Note d'avertissement sur les déclarations prospectives de Blueprint Medicines

Le présent communiqué de presse contient des déclarations prospectives (au sens de la loi *Private Securities Litigation Reform Act* de 1995 telle qu'amendée) y compris, sans s'y limiter, des déclarations concernant le projet d'Ipsen de développer et de commercialiser le BLU-782 ou tout autre produit sous licence dans le cadre de l'accord de licence ; les paiements potentiellement versés au titre de l'accord de licence, dont le paiement initial, tout paiement lié à l'atteinte d'étapes ou des redevances ; les bénéfices potentiels de l'accord de licence entre Blueprint Medicines et Ipsen ; les bénéfices potentiels du BLU-782 ou de tout autre produit sous licence dans le traitement des patients, y compris des patients atteints de FOP ; ainsi que la stratégie, les objectifs et les jalons prévus, les plans de développement commercial et les priorités de Blueprint Medicines. L'utilisation des termes « peut », « pourrait », « pourra », « devrait », « s'attendre à », « planifier », « anticiper », « avoir l'intention de », « croire », « estimer », « prévoir », « potentiel », « continuer » ou « viser », ou d'autres expressions similaires a pour but d'identifier des déclarations prévisionnelles, bien que toutes les déclarations prospectives ne contiennent pas ces mots précisément. Toutes les déclarations prospectives figurant dans le présent communiqué de presse sont basées sur les prévisions et les convictions actuelles de la direction et sont soumises à un certain nombre de risques, d'incertitudes et de facteurs notables qui pourraient entraîner un écart substantiel entre les événements ou résultats réels et ceux évoqués de façon explicite ou implicite par les déclarations contenues dans ce communiqué de presse, notamment, sans s'y limiter, les risques et incertitudes liés au retard de tout essai clinique en cours ou prévu ou au développement des médicaments candidats de Blueprint Medicines ou des produits sous licence, y compris le BLU-782 ; le risque que Blueprint Medicines et Ipsen résilient l'accord de licence dans des circonstances déterminées ; le risque que les résultats précliniques et cliniques du BLU-782 ne favorisent pas le développement du médicament candidat, y compris les prévisions selon lesquelles de telles données pourraient être révélatrices des résultats des prochains essais cliniques ; les décisions des autorités réglementaires susceptibles d'affecter le lancement, le calendrier et l'avancée des essais cliniques, ou même la procédure de réglementation des produits sous licence ; et la capacité d'Ipsen à développer et commercialiser avec succès les produits sous licence. Ces risques et incertitudes, ainsi que d'autres, sont expliqués plus en détail dans la section « Risk Factors » (Facteurs de risque) des documents déposés par Blueprint Medicines auprès de la *Securities and Exchange Commission* (SEC), y compris le dernier rapport trimestriel de Blueprint Medicines sur le formulaire 10-Q et tout autre document que la société a soumis ou pourrait soumettre à la SEC à l'avenir. Toutes les déclarations prospectives contenues dans ce communiqué de presse représentent les opinions actuelles de Blueprint Medicines uniquement en date du présent document et ne sauraient être considérées comme représentant ses opinions à une date ultérieure. Blueprint Medicines ne s'engage pas à mettre à jour ces déclarations prospectives ni à les réviser, sauf si la loi l'y oblige.

Ipsen - Contacts Investisseurs

Communauté financière
Eugenia Litz
Vice-Présidente, Relations Investisseurs
+44 (0) 1753 627721
eugenia.litz@ipsen.com

Myriam Koutchinsky
Investor Relations Manager
+33 (0) 1 58 33 51 04
Myriam.koutchinsky@ipsen.com

Ipsen - Contacts Médias :

Christian Marcoux, M.Sc.
Senior Vice-President, Communication Globale
+33 (0) 1 58 33 67 94
christian.marcoux@ipsen.com

Blueprint Medicines - Contact Investisseurs

Kristin Hodous
Senior Manager, Investor Relations
+1 (617) 714-6674
ir@blueprintmedicines.com

Blueprint Medicines – Contact Médias :

Jim Baker
Vice President, Corporate Affairs
+1 (617) 844-8236
media@blueprintmedicines.com

David Caruba
Communication Globale
+1 857-998-7036
david.caruba@ipsen.com

Fanny Allaire
Communication Globale
+ 33 (0) 1 58 33 58 96
fanny.allaire@ipsen.com