



PRESS RELEASE

Ipsen renforce son portefeuille en Oncologie en phase pré-clinique grâce à une collaboration mondiale exclusive avec BAKX Therapeutics Inc. pour le BKX-001, une molécule ciblant la voie de l'apoptose

- Ipsen obtient une licence exclusive pour la recherche, le développement, la fabrication et la commercialisation d'un nouveau traitement ciblant la protéine-X associée à BCL-2 (BAX), un effecteur de l'apoptose
- Le médicament expérimental BKX-001 est une petite molécule administrée par voie orale qui active la protéine BAX, développée comme traitement potentiel de la leucémie, des lymphomes et des tumeurs solides¹
- Ipsen et BAKX Therapeutics Inc. poursuivront ensemble les activités de recherche et de développement du médicament et partageront les bénéfices de la commercialisation

Paris (France), le 27 juillet 2021 – Ipsen (Euronext: IPN ; ADR : IPSEY) et BAKX Therapeutics Inc. ont signé un accord exclusif de collaboration mondiale pour la recherche, le développement, la fabrication et la commercialisation du BKX-001 dans le traitement potentiel de la leucémie, des lymphomes et des tumeurs solides.

L'apoptose est un processus naturel entraînant la mort des cellules. Lorsqu'elle est dérégulée, l'apoptose provoque une division cellulaire incontrôlée et excessive conduisant à la formation d'une tumeur.² La voie de signalisation cellulaire conduisant à l'apoptose s'est avérée être une cible efficace pour le traitement du cancer avec le développement et l'approbation d'inhibiteurs de BCL-2 pour traiter certaines hémopathies malignes.³ BAX est une nouvelle cible dans cette voie qui intervient en aval de toutes les protéines anti-apoptotiques comme BCL-2, BCL-XL, MCL-1 etc.⁴ L'activation directe de la protéine BAX présente plusieurs bénéfices possibles dans le traitement contre le cancer potentiellement dans différents types de tumeurs mais aussi en tenant compte de la résistance rencontrée lorsque seules les protéines anti-apoptotiques de la famille BCL-2 sont ciblées. Il a été démontré que l'activation de BAX par de petites molécules agonistes favorise l'apoptose dans les lignées leucémiques et les échantillons humains des cellules leucémiques, tout en épargnant les cellules saines in vitro, permet de supprimer les xénogreffes de leucémie myéloïde aiguë humaine, et augmente la survie de l'animal hôte sans toxicité in vivo.⁵

Le Docteur Howard Mayer, Vice-Président exécutif, Directeur de la Recherche et du Développement, a déclaré : « *Dans le cadre de notre stratégie, nous continuons à renforcer notre portefeuille de produits en R&D et à saisir des opportunités d'innovation externe passionnantes. Nous sommes ravis de nous associer à l'équipe d'experts scientifiques de BAKX Therapeutics Inc. pour faire avancer le développement préclinique du BKX-001 jusqu'au stade de candidat-médicament et l'évaluer dans le traitement potentiel des hémopathies malignes et des tumeurs solides. Surtout, cette collaboration reflète des valeurs communes entre nos deux organisations qui garantissent que nous formerons une excellente équipe pour développer cette innovation, au bénéfice des personnes atteintes de ces formes de cancer et de leurs équipes de soins.* »

Sree Kant, fondateur et CEO de BAKX Therapeutics Inc. a déclaré : « *Nous nous réjouissons de nous associer à Ipsen pour accélérer le programme de R&D du BKX-001. Ce programme est le résultat de travaux pionniers sur la protéine BAX, menés par nos co-fondateurs scientifiques Loren D Walensky et Evripidis Gavathiotis. Ce partenariat associe l'expertise d'Ipsen en développement clinique et commercial à nos connaissances poussées sur la protéine BAX et à notre plateforme informatique unique qui nous permet de concevoir des médicaments d'après les interactions protéine-protéine. Notre collaboration se caractérise par une très forte complémentarité qui nous permettra de réaliser ensemble d'importantes avancées dans le traitement du cancer pour les patients, et ce plus rapidement.* »

A la signature de l'accord, Ipsen verserait à BAKX Therapeutics Inc. un paiement initial de 14,5 millions de dollars, suivi de paiements à l'atteinte de certaines étapes pouvant aller jusqu'à 837,5 millions de dollars. Les deux entreprises partageront à parts égales les bénéfices et les coûts de la commercialisation et du développement.

FIN

BKX-001

BKX-001 est une petite molécule administrée par voie orale qui active la protéine-X associée à BCL-2 (BAX). Le BKX-001 se lie au site d'activation de la protéine BAX via un mécanisme catalytique, stimulant un changement conformationnel de BAX pour provoquer l'apoptose dans les cellules tumorales. Le BKX-001 est actif dans des modèles précliniques d'hémopathies malignes, comprenant diverses leucémies et lymphomes, et de certains tumeurs solides présentant d'importants besoins non satisfaits. Les traitements associant le BKX-001 avec des inhibiteurs de la famille BCL-2 ont démontré une forte synergie suggérant une nouvelle approche dans le traitement des tumeurs résistantes. Plusieurs approches rationnelles d'association basées sur des biomarqueurs avec d'autres agents anticancéreux sont également à l'étude.

À propos d'Ipsen

Ipsen est un groupe biopharmaceutique mondial de taille moyenne focalisé sur des médicaments innovants en Oncologie, Maladie Rare et Neurosciences. Ipsen bénéficie également d'une présence significative en Santé Familiale. Avec un chiffre d'affaires de plus de 2,5 milliards d'euros en 2020, 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 ; Shanghai, China). 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.ipсен.com.

BAKX Therapeutics

BAKX Therapeutics est une société de biotechnologie basée à New York et à Boston, spécialisée dans le ciblage des voies mitochondriales de l'apoptose. BAKX a été co-fondée par des chercheurs de renommée mondiale dans le domaine de l'apoptose et de la conception de médicaments assistée par ordinateur. La plateforme intégrée de BAKX se caractérise par (i) une connaissance unique des cibles et des voies de signalisation, combinée à (ii) une expertise approfondie dans la dynamique conformationnelle des interactions protéine-protéine, et (iii) des méthodologies de calcul pionnières pour simuler les interactions protéines-membranes. L'actif phare de BAKX, le BKX-001 (développé en partenariat avec Ipsen), se concentre sur le ciblage de la protéine BAX. BAKX utilise également sa plateforme pour la mise au point de médicaments ciblant deux autres voies d'apoptose, encore confidentielle à ce jour, impliquées dans diverses tumeurs solides et le développement de la résistance. Pour obtenir plus d'informations, consultez le site Internet bakxtx.com.

Contacts Ipsen

Investisseurs

Craig Marks

Vice President, Investor Relations
+44 7584 349 193

Adrien Dupin de Saint-Cyr

Investor Relations Manager
+33 6 64 26 17 49

Médias

Jess Smith

Senior Director, Global Communications, R&D and Business
Development
+44 7557 267 634

Contacts BAKX Therapeutics :

Sree Kant

Chief Executive Officer
+1 718 419 5221

Avertissement 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 7 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 de 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 précliniques 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. À 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 2019 du Groupe disponible sur son site web www.ipsen.com.

Références

¹BAKX Therapeutics. The apoptosis company. Pipeline. <https://baktx.com/pipeline/> (last accessed July 2021).

² National Human Genome Research Institute. <https://www.genome.gov/genetics-glossary/apoptosis> (last accessed July 2021).

³ Venclyxto SmPC. European Medicines Agency. Available here: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/venclyxto>

⁴ A.R.D. Delbridge and A. Strasser Cell Death Differ., 22 (2015), pp. 1071-1080. Available here: <https://www.nature.com/articles/cdd201550>.

⁵ D.E. Reyna, T.P. Garner, A. Lopez, F. Kopp, G.S. Choudhary, A. Sridharan, S.R. Narayanagari, K. Mitchell, B. Dong, B.A. Bartholdy et al. Cancer Cell, 32 (2017), pp. 490-505. Available here: [https://www.cell.com/cancer-cell/fulltext/S1535-6108\(17\)30364-1](https://www.cell.com/cancer-cell/fulltext/S1535-6108(17)30364-1)