

Ipsen annonce la revue prioritaire par les autorités américaines (FDA) de la demande d'approbation du palovarotène pour les patients atteints de fibrodysplasie ossifiante progressive après une re-soumission

PARIS, France, le 29 juin 2022 – Ipsen (Euronext: IPN ; ADR : IPSEY) a annoncé aujourd'hui que les autorités de santé américaines (FDA) ont accordé une revue prioritaire à la demande d'approbation du médicament expérimental palovarotène pour le traitement des patients atteints de fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP), une maladie génétique ultra-rare. Ipsen demande l'approbation du palovarotène, un agoniste oral sélectif du récepteur gamma de l'acide rétinolique (RAR) pour la prévention de l'ossification hétérotopique (OH ; nouvelle formation osseuse en dehors du système squelettique normal). La date prévue de la mesure réglementaire attribuée par la FDA en vertu de la loi Prescription Drug User Fee Act (PDUFA) prévus est le 29 décembre 2022, ce qui est conforme aux délais de soumission réglementaires.

« L'acceptation par la FDA du dépôt de dossier de demande d'approbation du palovarotène marque une étape importante pour les personnes souffrant de FOP aux États-Unis, où aucune option de traitement approuvée n'existe aujourd'hui pour cette maladie génétique ultra-rare, progressive et invalidante, » a déclaré le Docteur Howard Mayer, Vice-Président Exécutif, Directeur de la Recherche et du Développement chez Ipsen. « Ipsen s'engage à développer des traitements qui apporteront des changements significatifs dans la vie des patients atteints de maladies rares, malgré les défis qui existent lorsqu'il y a peu ou pas de précédents sur lesquels s'appuyer afin de développer un nouveau médicament innovant pour une maladie complexe. Résolument engagés envers la communauté FOP, nous espérons que la revue prioritaire constituera un pas de plus vers la mise à disposition d'un traitement indispensable pour les personnes atteintes de FOP, dès que possible. »

La désignation « revue prioritaire » de la FDA est attribuée aux thérapies expérimentales qui, si elles sont approuvées, représentent une amélioration significative de la sécurité ou de l'efficacité du traitement par rapport à la norme de soins actuelle.

En janvier 2022, Santé Canada a été la première autorité réglementaire à approuver Sohonos™ (palovarotène) pour réduire la formation d'OH chez l'adulte ainsi que l'enfant âgé de 8 ans et plus pour les filles et de 10 ans et plus pour les garçons atteints de FOP. Sohonos est approuvé au Canada à la fois pour le traitement chronique et épisodique (poussées) de la FOP. Actuellement, le palovarotène n'est approuvé dans aucun autre pays que le Canada. Une demande d'autorisation de mise sur le marché a également été déposée dans l'UE en 2021 pour le palovarotène. Les réponses aux questions soulevées par l'EMA ont été soumises en juin 2022, conformément au processus réglementaire en cours. Ipsen prévoit de soumettre des demandes supplémentaires auprès d'autres organismes réglementaires dès que possible.

La FOP a une prévalence estimée à 1,36 par million d'individus. Toutefois, le nombre de cas confirmés varie selon les pays^{1,2}. La FOP se caractérise par une nouvelle formation osseuse extra-squelettique, notamment dans les tissus conjonctifs mous. Ce phénomène, également connu sous le nom d'ossification hétérotopique (OH),³ peut être précédé de « poussées » ou d'un gonflement douloureux des tissus mous.² Les épisodes de poussées sont fréquents et contribuent de manière significative à la formation de nouvelles OH. Mais les OH peuvent aussi se former en l'absence de poussée. Une fois formées, les OH sont irréversibles. Elles entraînent une perte de mobilité et une diminution de l'espérance de vie.³

###

À propos du palovarotène

Le palovarotène est un agoniste oral hautement sélectif du récepteur gamma de l'acide rétinoïque (RAR γ), actuellement en développement comme traitement potentiel pour les personnes atteintes de maladies osseuses extrêmement rares et invalidantes, notamment pour le traitement de la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP). Le palovarotène, qui a obtenu le statut de maladie pédiatrique rare et d'avancée thérapeutique majeure auprès de la FDA pour le traitement potentiel de la FOP, a été acquis par Ipsen via l'acquisition de Clementia Pharmaceuticals en avril 2019. La demande d'approbation pour le palovarotène a été initialement acceptée par la FDA pour revue prioritaire le 28 mai 2021. Ipsen a annoncé le retrait de la demande d'approbation le 13 août 2021. La nouvelle soumission de la demande d'approbation du palovarotène a été acceptée par la FDA dans le cadre d'une revue prioritaire aux États-Unis.

À propos de la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP)

La fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP) est une maladie génétique ultra-rare, caractérisée par un os qui se forme en dehors du squelette normal, dans le muscle, les tendons ou les tissus mous.³ La prévalence de la FOP est d'approximativement 1,36 par million d'individus dans le monde. Cependant, le nombre de cas confirmés varie selon les pays^{1,2}. L'âge médian du patient au moment du diagnostic de la FOP est de cinq ans⁴.

Ipsen

Ipsen est un groupe biopharmaceutique mondial de taille moyenne focalisé sur des médicaments innovants en Oncologie, Maladies Rares et Neurosciences. Avec un chiffre d'affaires en Médecine de Spécialité de plus de 2,6 milliards d'euros en 2021, Ipsen commercialise des médicaments dans plus de 100 pays. En ligne avec sa stratégie d'innovation externe, 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 4 500 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.

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 d'enregistrement universel 2021 du Groupe disponible sur son site web www.ipsen.com.

Pour plus d'informations :

Investisseurs

Craig Marks

Vice-Président, Relations Investisseurs
+44 7584 349 193

Adrien Dupin de Saint-Cyr

Responsable, Relations Investisseurs
+33 6 64 26 17 49

Médias

Maryann Quinn

Directeur Senior, Communications États-Unis
+1 857 529 1151

Anna Gibbins

Directrice Communication Globale Franchise,
Maladies Rares
+44 7717 801900

¹ Lilijestrom, M & Bogard, B 2016, « *The global known FOP population* », FOP Drug Development Forum, Boston, MA, 24-25 octobre.

² Baujat et al. « Prevalence of fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) in France: an estimate based on a record linkage of two national databases ». *Orphanet Journal of Rare Diseases*. 2017 ; 12:123.

³ Kaplan FS, et al. « The medical management of fibrodysplasia ossificans progressiva: current treatment considerations ». *Proc Intl Clin Council FOP* 1:1-111, 2019.

⁴. Pignolo RJ et al. *Bone* 2020;134:115274.