

La première enquête internationale sur le fardeau de la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP) révèle l'étendue de son impact sur le plan social, économique et en termes de qualité de vie

Les résultats, publiés dans l'Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research, démontrent que la perte progressive de la mobilité et de la fonction articulaires a un impact considérable sur la qualité de vie des personnes vivant avec la FOP.

L'enquête a été créée par des membres de la communauté FOP en collaboration avec Ipsen

Paris, France 5 septembre 2022 – Ipsen et l'*International FOP Association* (IFOPA) ont annoncé aujourd'hui que l'*Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research* a publié les résultats de la première enquête internationale *Burden of Illness* sur le fardeau de la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP)¹. L'enquête consistait à étudier les impacts de cette maladie ultra-rare sur les plans physique, social, économique et en termes de qualité de vie, pour les patients et les membres de leur famille. De récents travaux de recherches ont permis d'améliorer les connaissances sur la nature clinique de la FOP. Cependant, les données sur les impacts multidimensionnels de cette maladie sont limitées, bien qu'elles soient cruciales pour comprendre la maladie dans sa globalité. Cette enquête *Burden of Illness* a été réalisée en partenariat avec l'IFOPA et Ipsen avec la contribution des associations de patients dans les différents pays participants.

Les résultats démontrent que dans la FOP, la perte de la mobilité articulaire, due en grande partie à la nature progressive et irréversible de l'ossification hétérotopique (OH) ou de la croissance osseuse extra-squelettique associées à la maladie, se traduit largement par une diminution du fonctionnement physique du patient et de sa capacité à effectuer les activités du quotidien. Cette altération a de graves conséquences sur la qualité de vie. D'après les observations, la mobilité et la fonction articulaire ont clairement tendance à se détériorer au cours de la vie du patient. À mesure que le handicap augmente, la prise en charge de la FOP évolue, avec un accent plus important sur les soins et l'accompagnement du patient au quotidien, la sollicitation accrue des membres de la famille, l'accomplissement des activités quotidiennes et une mobilité réduite qui limite les capacités de déplacement du patient.

Les résultats suggèrent également que la perte de la fonction articulaire a un impact financier. Les coûts s'accumulent avec une hausse des dépenses du ménage à mesure qu'augmentent le besoin d'adaptation du quotidien, la probabilité d'évolution des plans de carrière et le nombre de jours de travail manqués pour les patients et leur famille.

« Bien que la recherche nous permette de mieux connaître les caractéristiques cliniques de la FOP et le rôle des traitements potentiels contre la maladie, il existe peu de données sur l'impact global de la FOP, y compris pour les familles et les aidants, » a déclaré Steven Hildemann, Ipsen, Chief Medical Officer. « Nous sommes particulièrement reconnaissants envers notre partenaire, l'IFOPA, ainsi que les autres organisations de patients dans la FOP qui ont contribué à définir clairement le concept de l'enquête et nous ont aidés à identifier des participants. Elles nous ont également apporté de précieuses observations que nous espérons utiliser pour mettre en évidence les efforts restant à accomplir afin d'améliorer les soins de ces personnes vivant avec la FOP et la situation de leur famille. »

« Pour la première fois, nous disposons de données factuelles qui démontrent clairement l'impact de la FOP sur tant d'aspects de la vie quotidienne, » a commenté Megan Olsen, Présidente du Conseil d'administration de l'IFOPA. « Ces informations sont essentielles pour identifier les besoins non satisfaits,

améliorer les soins des patients, évaluer les bénéfices des nouvelles pratiques de soins de santé et renforcer le soutien apporté à la communauté FOP. Nous espérons que ces données contribueront à sensibiliser le plus grand nombre à cette maladie ultra-rare et à éduquer davantage les professionnels de santé comme les décideurs politiques sur les défis auxquels font face les patients vivant avec la FOP. »

À propos de l'enquête *Burden of Illness*

Pour les patients présentant les handicaps physiques les plus sévères (évalués au niveau 4 sur l'échelle d'auto-évaluation de la mobilité du patient (PRMA*)), le score EQ-5D-5L moyen était de 0,05, proche de l'équivalent de la mortalité ; en comparaison, les scores rapportés par les personnes atteintes de diabète sucré, de cancer, de sclérose en plaques et de maladies cardiovasculaires sont nettement plus élevés (allant de 0,31 à 0,99)², ce qui montre l'impact sévère de la FOP sur la qualité de vie des patients¹.

La diminution progressive de la mobilité entrave la capacité des patients à voyager. Chez les patients présentant les limitations physiques les plus graves (niveau 4 sur l'échelle PRMA), la moitié (50 %) ne peuvent pas voyager en avion et plus d'un tiers (34,4 %) ne peuvent pas se déplacer en voiture.¹ Près de 60 % des patients ont indiqué que les coûts financiers limitent leur capacité à voyager ou les en empêchent totalement. La moindre capacité ou l'incapacité des patients à se déplacer peut avoir de graves répercussions sur les résultats de santé, car nombre d'entre eux doivent se rendre dans des centres d'excellence pour recevoir des soins.¹

Les résultats ont montré que plus de 45 % des principaux aidants ont subi des répercussions légères à modérées sur leur santé et leur bien-être psychologique. Les membres de la famille passent en moyenne huit heures par jour à fournir des soins ou une assistance à leur proche atteint de FOP. En effet, plus de la moitié des principaux aidants (51,3 %) ont déclaré avoir eu besoin d'adapter leur vie professionnelle pour s'occuper de leur proche atteint de FOP.¹

Au total, 219 patients et 244 membres de famille de 15 pays ont répondu à l'enquête créée par des conseillers de la communauté FOP et une équipe de chercheurs. L'enquête consistait à mesurer l'impact de la FOP sur le fonctionnement physique des patients, la qualité de vie des patients et des membres de leur famille, l'emploi et les activités du quotidien, ainsi que l'utilisation des services de santé et l'adaptation du quotidien.¹

L'enquête a été sponsorisée par Ipsen. Diffusée via une plateforme en ligne dans 11 langues, l'enquête était ouverte aux personnes de tout âge atteintes de FOP ainsi qu'aux membres de leur famille. Les données démographiques sur l'âge et le sexe des patients participants étaient analogues à celles de la base de données FOP Registry³, dans laquelle plus d'un tiers de tous les individus connus atteints de FOP étaient inscrits (sur la base d'environ 900 individus connus atteints de FOP⁴).

À propos de la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP)

La FOP est une maladie génétique ultra-rare avec une prévalence estimée à 1,36 par million d'individus⁵. L'âge médian du patient au moment du diagnostic de la FOP est de cinq ans⁶. La FOP se caractérise par une OH⁷ qui peut être précédée de gonflements douloureux des tissus mous ou « poussées »⁶. Les épisodes de poussée contribuent de manière substantielle à la formation de nouvelles OH, qui sont irréversibles⁷. Le handicap est donc cumulatif. La plupart des patients doivent utiliser un fauteuil roulant vers l'âge de 20 ans, et ont besoin d'aide pour les activités du quotidien.^{8,9} Cette perte de mobilité, en plus des nombreuses complications induites par la FOP, raccourcit nettement l'espérance de vie⁷.

* L'échelle PRMA note chacune des 12 articulations et trois régions du corps entre 0 (pas du tout limité), 1 (modérément limité) et 2 (extrêmement limité [ne peut pas bouger du tout]). Les scores totaux vont de 0 à 30, les scores les plus élevés représentant des restrictions plus sévères de la mobilité. Les scores totaux de l'échelle PRMA ont été classés en quatre niveaux : Niveau 1, score total de 0 à 6 ; niveau 2, score total de 7 à 12 ; niveau 3, score total 13-18 ; et niveau 4, score total ≥ 19 .

À propos d'Ipsen

Ipsen est une société biopharmaceutique mondiale de taille moyenne focalisée sur la mise au point de médicaments innovants en Oncologie, dans les Maladies rares et en Neurosciences. Avec un chiffre

d'affaires de 2,6 milliards d'euros en médecine de spécialité pour l'exercice 2021, Ipsen vend des médicaments dans plus de 100 pays. Outre sa stratégie d'innovation externe, les efforts d'Ipsen en matière de R&D sont focalisés sur ses plateformes technologiques différenciées et innovantes situées au cœur de clusters mondiaux de la recherche biotechnologique ou en sciences de la vie (Paris-Saclay, France ; Oxford, Royaume-Uni ; Cambridge, États-Unis ; Shanghai, Chine). En dehors de son activité Santé Familiale, Ipsen compte environ 4 500 collaborateurs dans le monde. Le Groupe est coté à Paris (Euronext : IPN) et aux États-Unis à travers un programme d'American Depositary Receipt (ADR : IPSEY) sponsorisé de niveau I. Le site Internet d'Ipsen est www.ipсен.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 d'Ipsen. 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 d'Ipsen 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 d'Ipsen 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 Ipsen. 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 médicament 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. Ipsen doit faire face ou est susceptible d'avoir à faire face à la concurrence des médicaments 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 qu'Ipsen ne parvienne pas à atteindre ses objectifs et qu'il soit conduit à renoncer à poursuivre ses efforts sur un médicament dans lequel il a investi des sommes significatives. Aussi, Ipsen 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 médicament concerné. Il ne saurait être garanti qu'un médicament 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 médicaments et les brevets obtenus par la concurrence ; les problèmes inhérents au développement de nouveaux médicaments, notamment l'obtention d'une homologation ; la capacité d'Ipsen 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 d'Ipsen et autres protections concernant les médicaments novateurs ; et le risque de litiges, notamment des litiges en matière de brevets et/ou des recours réglementaires. Ipsen dépend également de tierces parties pour le développement et la commercialisation de ses médicaments, qui pourraient potentiellement générer des redevances substantielles ; ces partenaires pourraient agir de telle manière que cela pourrait avoir un impact négatif sur les activités d'Ipsen ainsi que sur ses résultats financiers. Ipsen 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 des partenaires d'Ipsen pourrait engendrer une baisse imprévue de revenus. De telles situations pourraient avoir un impact négatif sur l'activité d'Ipsen, sa situation financière ou ses résultats. Sous réserve des dispositions légales en vigueur, Ipsen 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 d'Ipsen 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 d'Ipsen, disponible sur son site web ipssen.com

Pour plus d'informations :

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

Anna Gibbins

Global Head Franchise Communications, Rare Diseases
+44 7717 801900

¹ Mukaddam MA. et al, The impact of fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) on patients and their family members: results from an international burden of illness survey, *Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research*, DOI: [10.1080/14737167.2022.2115360](https://doi.org/10.1080/14737167.2022.2115360)

¹ Zhou T, Guan H, Wang L, et al. Health-related quality of life in patients with different diseases measured with the EQ-5D-5L: A systematic review. *Front Public Health*. 2021;9:675523.

¹ Baujat, G 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.

¹ IFOPA, What is FOP?, IFOPA. [Last accessed 31 August 2022]. https://www.ifopa.org/what_is_fop

¹ Liljeström M, Pignolo R, Kaplan F. Epidemiology of the global fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) community. *J Rare Dis Res Treat*. 2020;5(2):31–36.

¹ Pignolo RJ et al. The Natural History of Flare-Ups in Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP): A Comprehensive Global Assessment. *J Bone Miner Res*. 2016;31(3):650-656.

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

¹ Connor JM, Evans DA. Fibrodysplasia ossificans progressiva. The clinical features and natural history of 34 patients. *J Bone Joint Surg Br*. 1982;64(1):76–83.

¹ Kaplan FS, Zasloff MA, Kitterman JA, et al. Early mortality and cardiorespiratory failure in patients with fibrodysplasia ossificans progressiva. *J Bone Joint Surg Am*. 2010;92(3):686–691.