



PRESS RELEASE

Ipsen obtient une nouvelle PDUFA date de la FDA pour le palovarotène expérimental dans le traitement des personnes atteintes de FOP

- La date a été fixée au le 16 août 2023, suite à la soumission d'une nouvelle demande d'approbation contenant des informations supplémentaires sur les données de l'essai clinique évaluant le palovarotène, demandées dans une lettre de réponse complète à Ipsen en décembre 2022.

PARIS, FRANCE, le 16 mars 2023 – Ipsen (Euronext : IPN ; ADR : IPSEY) a annoncé aujourd'hui que les autorités réglementaires américaines (FDA) ont communiqué une nouvelle date au titre du *Prescription Drug User Fee Act* (PDUFA), le 16 août 2023, pour répondre à la nouvelle demande d'approbation du palovarotène expérimental comme traitement potentiel de la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP). Des informations supplémentaires concernant les données des essais cliniques sur le palovarotène, demandées dans une lettre de réponse complète à Ipsen en décembre 2022, seront examinées dans le cadre du nouveau processus de soumission.

S'il est approuvé, le palovarotène, qui a obtenu le statut de médicament orphelin et la désignation « Breakthrough Therapy » de la FDA, sera le premier traitement pour environ 400 personnes aux États-Unis atteintes de FOP, une maladie osseuse ultra-rare et évolutive qui limite l'espérance de vie.^{1, 2}

Les données soumises à la FDA comprennent des analyses supplémentaires de l'ensemble du programme d'essais cliniques sur le palovarotène, y compris l'étude pivot MOVE,³ la première étude de Phase III menée chez des personnes atteintes de FOP.

Ipsen a en outre demandé au Comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence européenne des médicaments de bien vouloir réexaminer sa position sur le palovarotène communiquée en janvier 2023.

Le palovarotène est autorisé chez les patients éligibles au Canada, où il est commercialisé sous le nom de Sohonos™ (capsules de palovarotène). Le médicament a également obtenu une approbation conditionnelle aux Émirats arabes unis. Une demande d'approbation du palovarotène expérimental est en cours d'examen auprès de plusieurs autorités réglementaires.

FIN

À propos de la FOP

La FOP impacte le quotidien de près de 900 personnes dans le monde.^{1, 2} La maladie progresse continuellement avec des épisodes de poussée provoquant une croissance osseuse rapide. La plupart des personnes vivant avec la FOP perdent inévitablement la capacité de manger et de boire par elles-mêmes. Elles ne peuvent plus prendre soin d'elles ni utiliser les toilettes seules. Elles sont incapables de conserver un emploi⁴. À l'âge de 30 ans, la majorité des personnes atteintes de FOP ont besoin d'un fauteuil roulant

et d'une assistance à plein temps.¹ Sans traitement ayant pour effet de modifier l'évolution de la maladie, la prise en charge actuelle se limite aux soins palliatifs. La FOP réduit l'espérance de vie médiane à 56 ans. La mort prématurée est causée par la formation d'une matière osseuse autour de la cage thoracique entraînant des problèmes respiratoires et une insuffisance cardiorespiratoire.⁴

À propos de l'essai MOVE

L'essai MOVE (NCT03312634) est une étude ouverte à un seul volet multicentrique de Phase III visant à évaluer l'efficacité et l'innocuité du palovarotène. Les 107 patients atteints de FOP ayant participé à l'étude ont reçu le palovarotène par voie orale comme traitement chronique (5mg une fois par jour) et épisodique (20 mg une fois par jour pendant 4 semaines, suivi de 10 mg pendant \geq 8 semaines pour les poussées et les traumatismes). Le critère d'évaluation principal était l'évolution annualisée du volume de nouvelles ossifications hétérotopiques, mesurée par tomodensitométrie corps entier à faible dose. Données d'efficacité issues des sujets de l'essai MOVE par rapport aux données issues des sujets non traités de l'étude d'histoire naturelle (NHS) de la FOP ; les individus \leq 65 ans atteints de FOP diagnostiquée cliniquement et d'un variant pathogène ACVR1R206H confirmé étaient éligibles à l'inclusion dans la NHS.

Les résultats des trois analyses intermédiaires post-hoc ont démontré une diminution significative de 60 % du volume des nouvelles ossifications hétérotopiques anormales chez les sujets ayant reçu le palovarotène par rapport à ceux ayant reçu un traitement standard. Le palovarotène a aussi démontré un profil d'innocuité bien caractérisé cohérent avec les autres thérapies dans la classe des rénoïdes systémiques.³

Ces données ont été publiées dans le Journal of Bone and Mineral Research en décembre 2022. [<https://doi.org/10.1002/jbmr.4762>]

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 Groupe de 3,0 milliards d'euros pour l'exercice 2022, 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. Ipsen emploie environ 5 000 collaborateurs dans le monde. Ipsen 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 ipsen.com.

Pour plus d'informations :

Contacts

Investisseurs

Craig Marks

Vice President, Investor Relations
+44 (0)7584 349 193

Médias

Anna Gibbins

Global Head of Franchise Communications,
Rare Disease
+44 (0)7717801900

Ioana Piscociu

Senior Manager
Global Media Relations
+33 6 69 09 12 96

Amy Wolf

VP, Head of Corporate Brand Strategy &
Communications
+41 79 576 07 23

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 de référence enregistrés auprès de l'Autorité des marchés financiers. Les risques et incertitudes présentés ne sont pas les seuls auxquels Ipsen peut être confronté et le lecteur est invité à prendre connaissance du Document d'enregistrement universel 2021 du Groupe disponible sur son site web www.ipсен.com

1. Liljeström M, Pignolo RJ, Kaplan FS. Epidemiology of the Global Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP) Community. *J Rare Dis Res Treat.* (2020) 5(2): 31-36
2. Pignolo, RJ et al. *Bone.* 2020; 134:115274.
3. Pignolo, RJ et al. *J Bone Miner Res.* <https://doi.org/10.1002/jbmr.4762>
4. Al Mukaddam M, et al. *Val Health* 2022;25:S273 (POSA427)