

La FDA accorde la désignation de « maladie pédiatrique rare » à odiparcil pour le traitement de la MPS VI

- ▶ Inventiva est éligible pour recevoir un bon d'évaluation prioritaire après l'approbation d'odiparcil pour le traitement de la MPS VI
- ▶ Ce bon permet de réduire le délai d'évaluation par la FDA de douze à six mois ou être transféré pour un prix qui a varié entre 67,5 et 350 millions de dollars US

Daix (France), le 5 mars 2019 – Inventiva (Euronext : IVA), société biopharmaceutique spécialisée dans le développement clinique de petites molécules administrées par voie orale pour le traitement de maladies dans les domaines de la fibrose, de la surcharge lysosomale et de l'oncologie, annonce aujourd'hui que la Food and Drug Administration (FDA) aux États-Unis a accordé la désignation de « maladie pédiatrique rare » (RPDD) à odiparcil, le candidat médicament de la Société en cours de développement pour le traitement de la mucopolysaccharidose (MPS) VI, une maladie génétique progressive rare, caractérisée par un déficit en enzymes lysosomales responsables de la dégradation normale des glycosaminoglycanes (GAG). La désignation du statut de « maladie pédiatrique rare » confirme l'éligibilité d'odiparcil pour recevoir un bon d'évaluation prioritaire (Priority Review Voucher), une fois que la FDA aura approuvé la demande de nouveau médicament (NDA) pour odiparcil dans le traitement de la MPS VI.

Le Dr Pierre Broqua, Directeur Scientifique et cofondateur d'Inventiva, a déclaré : « Cette désignation importante accordée par la FDA reflète la sévérité de la MPS VI dans la population pédiatrique. Nous sommes heureux de poursuivre notre collaboration avec la FDA afin de faire progresser odiparcil comme traitement dans cette maladie rare et mortelle pour laquelle il existe encore un fort besoin médical. »

La FDA définit des « maladies pédiatriques rares » comme étant des maladies s'accompagnant de manifestations graves, voire mortelles, touchant principalement des personnes de moins de 18 ans, et dont la prévalence aux États-Unis est inférieure à 200 000 cas. Dans le cadre de son programme RPDD, lorsque la FDA autorise une demande de nouveau médicament (NDA) ou une demande de licence pour un produit biologique (BLA) concernant un produit destiné à la prévention ou au traitement d'une maladie pédiatrique rare, le promoteur de ce produit peut être éligible pour recevoir un bon d'évaluation prioritaire pour une autre demande de NDA ou de BLA. Ces bons peuvent réduire le délai d'évaluation par la FDA de douze à six mois. Ils peuvent être utilisés par le promoteur, ou vendus ou transférés à un tiers. Depuis l'émission du premier bon en 2009, le prix de vente a varié entre 67,5 millions de dollars US et 350 millions de dollars US. Le dernier bon en date a été vendu en octobre 2018 pour 80 millions de dollars US.¹

À propos d'odiparcil

Odiparcil est une petite molécule active par voie orale agissant sur la cause sous-jacente des symptômes des MPS. Les MPS sont dues à des mutations génétiques provoquant une absence ou une altération des enzymes lysosomales responsables de la dégradation des glycosaminoglycanes, qui jouent un rôle important dans la modulation de la signalisation cellulaire et dans le maintien de la structure et de la fonction des tissus. Les GAG n'étant pas correctement dégradés, ils s'accumulent dans les lysosomes, provoquant un gonflement de ceux-ci et des dysfonctionnements cellulaires à l'origine des symptômes de ces maladies. Les MPS sont classées en différents

¹ Source: Biocentury, 4 mai 2018 "Voucher Equilibrium"; Biocentury, 1er novembre 2018 "Lilly buys Siga's priority review voucher gained via smallpox approval".

types en fonction de l'enzyme concernée et du type de GAG accumulés. En modifiant la synthèse des GAG, odiparcil favorise la production de GAG solubles qui peuvent ainsi être excrétés dans l'urine au lieu de s'accumuler dans les cellules. Odiparcil agit sur le sulfate de chondroïtine et le sulfate de dermatane, dont l'un ou l'autre, ou les deux, s'accumulent chez les patients atteints de MPS I, II, Iva, VI et VII.

Inventiva évalue actuellement odiparcil dans une étude clinique de Phase IIa pour le traitement de patients adultes atteints de MPS VI.

La FDA et l'Agence européenne des médicaments (EMA) ont accordé à odiparcil le statut de médicament orphelin pour le traitement de la MPS VI.

À propos de l'étude clinique de Phase IIa iMProveS

iMProveS (*improve MPS treatment*) est une étude clinique de Phase IIa d'une durée de 26 semaines, évaluant odiparcil pour le traitement de patients adultes atteints de MPS VI. Le critère d'évaluation principal de l'étude est la sécurité mesurée par des tests cliniques et biologiques standards. Les critères d'évaluation secondaires sont les modifications par rapport à la baseline de la teneur en GAG dans les leucocytes, la peau et l'urine, ainsi que l'amélioration de l'activité, de la mobilité, des fonctions cardiovasculaire et respiratoire, de la vision et de l'ouïe.

L'étude iMProveS se déroule dans deux sites en Europe. Inventiva prévoit de recruter 18 patients adultes atteints de MPS VI et recevant un traitement enzymatique de substitution (TES) dans une étude en double aveugle avec contrôle placebo, ainsi que six patients ne recevant pas de TES dans une cohorte ouverte. Les résultats de l'étude sont attendus pour le deuxième semestre 2019.

A propos d'Inventiva : www.inventivapharma.com

Inventiva est une société biopharmaceutique spécialisée dans le développement clinique de petites molécules administrées par voie orale pour le traitement de maladies avec des besoins médicaux non satisfaits significatifs dans les domaines de la fibrose, de la surcharge lysosomale et de l'oncologie.

Forte de son expertise et de son expérience significative dans le développement de composés ciblant les récepteurs nucléaires, les facteurs de transcription et la modulation épigénétique, Inventiva développe actuellement deux candidats médicaments – lanifibranor et odiparcil – dans la stéatohépatite non alcoolique (« NASH ») et les mucopolysaccharidoses (« MPS ») respectivement, ainsi qu'un portefeuille de plusieurs programmes en stade préclinique.

Lanifibranor, son candidat médicament le plus avancé, est actuellement en cours de développement pour le traitement de patients atteints de la NASH, une maladie hépatique chronique et progressive. Inventiva évalue actuellement lanifibranor dans le cadre d'un essai clinique de Phase IIb pour le traitement de cette maladie, pour laquelle il n'existe à ce jour aucun traitement approuvé.

Odiparcil est le second candidat médicament au stade clinique que la Société développe pour le traitement des patients souffrant de la MPS, un groupe de maladies génétiques rares. La Société évalue actuellement odiparcil dans un essai clinique de Phase IIa pour le traitement de patients adultes souffrant de la MPS de type VI.

En parallèle, Inventiva est en cours de sélection d'un candidat médicament en oncologie pour son programme dans la voie de signalisation Hippo et développe des programmes précliniques pour le traitement de certaines maladies auto-immunes en collaboration avec AbbVie ainsi que pour le traitement de la fibrose idiopathique pulmonaire (« IPF ») en collaboration avec Boehringer Ingelheim. AbbVie évalue actuellement ABBV-157, le candidat médicament issu de sa collaboration avec la Société, dans le cadre d'un essai clinique de Phase I pour le traitement de la forme modérée à sévère du psoriasis. Ces partenariats prévoient notamment le versement à Inventiva de paiements d'étapes en fonction de l'atteinte d'objectifs précliniques, cliniques, réglementaires et commerciaux ainsi que des redevances sur les ventes des produits développés dans le cadre de ces partenariats.

La Société dispose d'une équipe scientifique d'environ 90 personnes dotée d'une forte expertise en biologie, chimie médicinale et computationnelle, pharmacocinétique et pharmacologie. Par ailleurs, la Société dispose d'une chimiothèque d'environ 240.000 molécules, dont environ 60% sont la propriété de la Société, ainsi que de ses propres laboratoires et équipements.

Inventiva est une société cotée sur le compartiment C du marché réglementé d'Euronext Paris (Euronext : IVA - ISIN : FR0013233012). www.inventivapharma.com

Contacts

Inventiva

Frédéric Cren
Président et Directeur Général
info@inventivapharma.com
+33 3 80 44 75 00

Brunswick

Yannick Tetzlaff / Aude Hillion
Relations médias
inventiva@brunswickgroup.com
+33 1 53 96 83 83

LifeSci Advisors

Monique Kosse
Relations investisseurs
monique@lifesciadvisors.com
+1 212 915 3820

Avertissement

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives, des prévisions et des estimations à l'égard des plans cliniques de développements, de la stratégie opérationnelle et réglementaire, et des futures performances d'Inventiva, et du marché sur lequel elle opère. Certaines de ces déclarations, prévisions et estimations peuvent être reconnues par l'utilisation de mots tels que, sans limitation, « croit », « anticipe », « s'attend à », « projette », « planifie », « cherche », « estime », « peut », « veut » et « continue » et autres expressions similaires. Ces déclarations ne se rapportent pas à des faits historiquement avérés, mais constituent des projections, estimations et autres données à caractère prévisionnel basées sur l'opinion des dirigeants. Ces déclarations traduisent les opinions et hypothèses qui ont été retenues à la date à laquelle elles ont été faites. Elles sont sujettes à des risques et incertitudes connus ou inconnus desquels les résultats futurs, la performance ou les événements à venir peuvent significativement différer de ceux qui sont indiqués ou induits dans ces déclarations. Les événements réels sont difficiles à prédire et peuvent dépendre de facteurs qui sont hors du contrôle d'Inventiva. En ce qui concerne le portefeuille des produits candidats, il ne peut en aucun cas être garanti que ces candidats recevront les homologations réglementaires nécessaires ni qu'ils obtiendront un succès commercial. Par conséquent, les résultats réels peuvent s'avérer sensiblement différents des résultats, performances ou réalisations futurs anticipés tels qu'ils sont exprimés ou sous-entendus par ces déclarations, prévisions et estimations. Compte tenu de ces incertitudes, aucune déclaration n'est faite quant à l'exactitude ou l'équité de ces déclarations prospectives, prévisions et estimations. En outre, les énoncés prospectifs, prévisions et estimations ne sont valables qu'à la date du présent communiqué. Les lecteurs sont donc invités à ne pas se fier indûment à ces déclarations prospectives.

Nous vous invitons à vous référer au document de référence enregistré auprès de l'Autorité des Marchés Financiers le 13 avril 2018 sous le numéro R.18-013 pour obtenir des informations complémentaires concernant ces facteurs, risques et incertitudes.

Inventiva n'a aucunement l'intention ni l'obligation de mettre à jour ou de modifier les déclarations à caractère prévisionnel susvisées. Inventiva ne peut donc être tenue pour responsable des conséquences pouvant résulter de l'utilisation qui serait faite de ces déclarations.