



Communiqué de presse

ABIONYX Pharma a reçu un avis favorable de l'EMA dans le cadre de la procédure de Désignation de Médicament Orphelin pour CER-001 dans la maladie rare de la déficience en LCAT

- **Aboutissement de la nouvelle stratégie dans une maladie rénale ultra-rare**
- **Nouvelle étape clé dans le repositionnement dans les maladies rénales et ophtalmologiques**
- **Sécurisation de la bioproduction de CER-001**

Toulouse, FRANCE, Lakeland, ETATS-UNIS, 28 juillet 2021, 7h30 CEST – ABIONYX Pharma, (FR0012616852 – ABNX – éligible PEA PME), société biotech de nouvelle génération dédiée à la découverte et au développement de thérapies innovantes, annonce aujourd'hui que le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) a émis un avis positif sur la demande de désignation de médicament orphelin de la société pour son candidat-médicament CER-001, comme traitement potentiel de la déficience en lécithine-cholestérol acyltransférase (LCAT) caractérisée cliniquement par, d'une part, une anémie hémolytique et une insuffisance rénale, menant la plupart du temps à une transplantation rénale, et d'autre part, par des opacités cornéennes. CER-001 est une bio-HDL mimétique, première de sa catégorie, qui cible directement le défaut métabolique sous-jacent de la déficience en LCAT.

L'aboutissement de l'exécution de la stratégie dans une maladie ultra-rare rénale

Cet avis positif du COMP de l'EMA concernant la désignation de médicament orphelin pour la bio-HDL d'ABIONYX Pharma revêt une importance stratégique pour le développement de CER-001. Cette désignation offre un avantage important en donnant un accès à la procédure centralisée d'autorisation de mise sur le marché ainsi qu'une exclusivité commerciale dans la Communauté européenne de 10 ans à partir de l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché. Cet avis positif constitue aussi une reconnaissance du besoin de traitements innovants pour les patients atteints de déficience en LCAT, une maladie grave et permanente. Plusieurs demandes d'ATUn ont été reçues nécessitant la décision de sécuriser la bioproduction afin de pouvoir produire des lots cliniques pour le besoin des patients et le dépôt réglementaire européen. CER-001 est la seule bio-HDL à recevoir cette importante désignation en Europe et le premier traitement potentiel de modification de la maladie pour les patients atteints de déficience LCAT.

La désignation de médicament orphelin dans l'Union européenne (UE) est accordée par la Commission européenne sur la base d'un avis positif émis par le COMP de l'EMA. Pour obtenir cette désignation,

un candidat médicament doit être destiné à traiter une affection gravement débilante ou potentiellement mortelle qui touche moins de 5 personnes sur 10 000 dans l'UE, et il doit exister des données cliniques ou non cliniques suffisantes pour suggérer que le médicament expérimental peut produire des résultats cliniquement pertinents. La désignation de médicament orphelin par l'EMA offre aux entreprises certains avantages et incitations, notamment une assistance pour les protocoles cliniques, des procédures d'évaluation différenciées pour les évaluations des technologies de la santé dans certains pays, l'accès à une procédure centralisée d'autorisation de mise sur le marché valable dans tous les États membres de l'UE, des frais réglementaires réduits et une exclusivité commerciale de 10 ans à partir de l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché.

Nouvelle étape clé dans le repositionnement dans les maladies rénales et ophtalmologiques

La prévalence de la déficience en LCAT est estimée à moins de 1 personne pour 1 000 000. Plusieurs ATUn permettent d'évaluer l'efficacité, la sécurité, la tolérance et l'observance de CER-001 chez les patients atteints de déficience en LCAT en Europe.

La déficience en LCAT touchant également la cornée, cette première désignation orpheline ouvre la voie au développement clinique en ophtalmologie, comme annoncé dans le cadre de l'élargissement du potentiel de l'innovation de CER-001 et son action pléiotropique en tant que HDL recombinante naturelle.

Outre les ATUn, ABIONYX Pharma mène actuellement une étude clinique de phase 2a évaluant l'efficacité, la sécurité, la pharmacocinétique et la pharmacodynamique du traitement par CER-001 chez des adultes atteints de septicémie à haut risque de Lésions Rénales Aiguës, maladie touchant plus de 2 millions de personnes dans le monde.

Sécurisation de la bioproduction de CER-001

Comme prévu, la société avait décidé de lancer des achats compte tenu des tensions sur l'approvisionnement en matières premières et des délais de production des différents intrants pour la fabrication de son bio-HDL en raison de la COVID-19. Ainsi, la société, après avoir signé son accord stratégique de production, a sécurisé la bioproduction des flacons de CER-001 pour ses différents essais à venir. CER-001 est aujourd'hui l'un des biomédicaments les plus avancés en France, et ABIONYX Pharma maîtrise l'ensemble de la chaîne de valeur de son biomédicament, depuis les brevets dans les maladies rénales et ophtalmologiques jusqu'à sa bioproduction, en passant par les différentes étapes cliniques. La société vise une demande de commercialisation de CER-001 dans la déficience en LCAT dans les meilleurs délais.

A propos d'ABIONYX Pharma

ABIONYX Pharma est une société biotech de nouvelle génération qui entend contribuer à la santé grâce à des thérapies innovantes dans des indications sans traitement efficace ou existant, même les plus rares. Grâce à ses partenaires chercheurs, médecins, producteurs de biomédicaments et actionnaires, la société innove quotidiennement pour proposer des médicaments pour le traitement des maladies rénales et ophtalmologiques, ou de nouveaux vecteurs HDL utilisés pour la délivrance ciblée de médicaments.

Contacts

NewCap

Relations investisseurs
Louis-Victor Delouvrier
abionyx@newcap.eu
+33 (0)1 44 71 98 53

NewCap

Relations médias
Nicolas Merigeau
abionyx@newcap.eu
+33 (0)1 44 71 94 98