



Communiqué de presse

ABIONYX Pharma annonce ses résultats financiers du 1^{er} semestre 2021 et fait le point sur le développement de ses activités

- **Obtention du statut de Médicament Orphelin pour CER-001 dans la déficience en lécithine-cholestérol acyltransférase (LCAT) à la fois comme maladie rénale et comme maladie ophtalmologique**
- **Avancée de l'étude clinique de phase 2a RACERS entièrement financée, pour CER-001 dans la septicémie à haut risque de développer des lésions rénales aiguës**

Toulouse, FRANCE, Lakeland, ETATS-UNIS, 9 septembre 2021, 18h45 – ABIONYX Pharma (FR0012616852 – ABNX), société biotech de nouvelle génération dédiée à la découverte et au développement de thérapies innovantes, annonce aujourd'hui ses résultats semestriels au 30 juin 2021 et fait le point sur le développement de ses activités.

Obtention du statut de Médicament Orphelin pour CER-001 dans la déficience en LCAT comme maladie rénale et comme maladie ophtalmologique

Suite à l'annonce du 28 juillet 2021 de l'avis positif du Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) quant à la demande de désignation de médicament orphelin pour sa bio-HDL, la société a obtenu le statut de Médicament Orphelin de la Commission européenne pour son candidat-médicament CER-001, comme traitement potentiel de la déficience en LCAT. Il existe deux formes de déficit en LCAT : le déficit familial en LCAT (FLD), qui résulte d'un déficit complet et caractérisé cliniquement par une anémie hémolytique, une insuffisance rénale, menant la plupart du temps à une transplantation rénale, et par des opacités cornéennes ; et la maladie des yeux de poisson (Fish Eye Disease) résultant d'une carence partielle et caractérisée cliniquement par des opacités cornéennes sans atteinte rénale. La désignation de médicament orphelin obtenue couvre par conséquent à la fois une indication rénale et une indication ophtalmologique.

L'obtention du statut de médicament orphelin permettent d'obtenir une assistance de l'EMA pour le design des protocoles cliniques, l'accès à une procédure centralisée d'autorisation de mise sur le marché valable dans tous les États membres de l'UE, la possibilité d'une autorisation de mise sur le marché conditionnelle, des frais réglementaires réduits et une exclusivité commerciale de 10 ans à

partir de l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché. En plus des avantages liés au développement suite à l'obtention de ce statut, cette désignation marque une reconnaissance réglementaire forte et stratégique pour la seule bio-HDL à recevoir ce statut en Europe.

L'efficacité de CER-001 avait été annoncée en mars dernier lors de la publication des résultats cliniques positifs dans cette maladie rénale rare dans la revue scientifique « Annals of Internal Medicine ». Pour mémoire, le patient qui était sur le point d'être dialysé en raison du déclin rapide de sa fonction rénale, a pu éviter la nécessité d'une dialyse pendant le traitement avec CER-001. De plus, le patient qui souffrait de dépôts lipidiques au niveau des cornées a vu la disparition du flou visuel, amélioration franche des fonctions visuelles qui continuait d'être observée après 1 an de suivi sans traitement.

Avancée de l'étude clinique de phase 2a, RACERS, évaluant CER-001 dans la prévention des lésions rénales aiguës chez des patients en soins intensifs atteints de septicémie

Suite à l'annonce en juin dernier du recrutement du premier patient dans l'étude clinique de phase 2a évaluant CER-001, la Bio-HDL, comme traitement potentiel pour les patients atteints de septicémie avec un haut risque de développer une lésion rénale aiguë, RACERS, l'étude qui évalue la sécurité et l'efficacité de CER-001 sur un total 20 patients, poursuit son avancement. Le critère d'évaluation principal de l'étude sera l'apparition et la gravité de l'Insuffisance Rénale Aiguë selon les critères KDIGO, ainsi que la sécurité et la tolérabilité des schémas posologiques, afin de sélectionner la dose optimale de CER-001. L'étude clinique est menée en partenariat avec l'Université de Bari et le Consorzio per Valutazioni Biologiche e Farmacologiche (CBVF) et déjà entièrement financée.

Information financière (au 30 juin / Comptes consolidés IFRS)

M€	S1 2021	S1 2020
Chiffre d'affaires	0,03	0
Dépenses de R&D	-2,03	-0,41
Frais administratifs et généraux	-0,58	-0,63
Résultat Opérationnel	-2,59	-1,04
<i>Produits financiers</i>	0,08	0,19
<i>Charges financières</i>	-0,04	-0,07
Résultat Financier	0,04	0,12
Résultat net	-2,55	-0,92
Résultat net par action (€)	-0,10	-0,04
Flux de trésorerie net liés aux activités opérationnelles	-4,27	0,57
Flux de trésorerie net liés à l'investissement	-0,01	-0,02
Flux de trésorerie net liés aux activités de financement	-0,05	-0,07
(Diminution) / Augmentation de la trésorerie	-4,32	0,48
Trésorerie et équivalents de trésorerie à la clôture	4,83	8,81

Détail des principales évolutions des comptes consolidés

ABIONYX Pharma a enregistré au 1^{er} trimestre son premier chiffre d'affaires de 27 K€, correspondant à la fourniture de CER-001 pour assurer le traitement d'un mois d'un patient dans le cadre d'une nouvelle ATUn, dans le prolongement des résultats positifs, obtenus en mars 2021, dans le traitement de la déficience en LCAT chez un patient en France.

L'augmentation des frais de recherche et développement, qui se sont élevés à 2 029 K€ sur la période, à comparer à 412 K€ au premier semestre 2020, correspond principalement à l'évolution des frais de sous-traitance et de consultants qui ressortent à 1 584 K€. Cette hausse est principalement liée au lancement d'une nouvelle campagne de production du bio produit CER-001, initiée fin 2020, et au redémarrage de nouvelles activités de R&D.

Les frais administratifs et généraux s'établissent à 584 K€ au 30 juin 2021, contre 629 K€ au 30 juin 2020. Après prise en compte de ces dépenses, le résultat opérationnel est passé d'une perte de 1 041 K€ au 30 juin 2020 à une perte de 2 586 K€ au 30 juin 2021. Le résultat financier ressort excédentaire de 41 K€ au premier semestre 2021, à comparer au produit de 121 K€ constaté au 30 juin 2020. Le résultat net ressort en perte de 2 546 K€ au 30 juin 2021, à comparer à une perte de 920 K€ au 30 juin 2020. La trésorerie et les équivalents de trésorerie s'élèvent à 4,8 M€ au 30 juin 2021.

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