



Communiqué de presse

ABIONYX annonce les résultats cliniques positifs de CER-001 dans une maladie rénale ultra-rare publiés en exclusivité dans la revue « Annals of Internal Medicine »

- **Efficacité du CER-001 dans l'indication rénale et ophtalmique**
- **Innovation thérapeutique de rupture de CER-001 dans les maladies rénales et en ophtalmologie**
- **Révélation du mécanisme d'action systémique de CER-001**

Toulouse, FRANCE, 2 mars 2021, 7h30 CET – 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 les résultats cliniques positifs de CER-001 dans une maladie rénale ultra-rare qui sont publiés en exclusivité dans la revue scientifique « **Annals of Internal Medicine** », la revue de médecine interne la plus citée et la mieux classée dans la catégorie Médecine.

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 son traitement avec CER-001. De plus, le patient qui souffrait de dépôts lipidiques au niveau des cornées a vu la disparition du flou visuel. Cette amélioration franche des fonctions visuelles est toujours observée après 1 an de suivi.

Pour rappel, l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament (ANSM) a accordé début 2020 une Autorisation Temporaire d'Utilisation ("ATU nominative") de CER-001 pour un patient présentant une maladie rénale ultra-rare non traitée.

Le patient présentait une mutation du gène de la lécithine-cholestérol acyltransférase (LCAT), et avait développé une glomérulopathie et des dépôts lipidiques cornéens. Il présentait de très faibles taux circulants de lipoprotéines de haute densité (HDL) et d'apoA-I. Dans le cadre de cette ATU acceptée dans l'indication 'déficit familial en LCAT', le patient a été traité avec le CER-001, un mimétique de HDL contenant de l'apoA-I, pour tenter de traiter son insuffisance rénale rapidement évolutive.

Le CER-001 s'est avéré totalement sûr et très bien toléré à des doses de 10 à 30 mg/kg/semaine

Le CER-001 a été administré par voie intraveineuse à une dose de 10 mg/kg trois fois par semaine pendant 3 semaines, puis deux fois par semaine pendant 3 semaines et une fois par semaine pendant 3 semaines. Par la suite, la dose a été augmentée à 20 mg/kg/

semaine pendant 6 semaines pour atteindre la dose hebdomadaire qui a stabilisé le DFGe (Débit de filtration glomérulaire estimé du rein).

Alors que le DFGe avait rapidement diminué de 41 à 19 mL/min/1,73 m² au cours des 9 mois qui ont précédé le début du CER-001, le DFGe n'a diminué que de 19 à 17 mL/min/1,73m² au cours des 11 mois qui ont suivi l'introduction du traitement.

Le rapport protéine/créatinine urinaire (uPCr) a diminué de 7 à 0,25 g/g au 10^{ème} jour, avec une albuminurie indétectable à ce moment-là, mais est revenu aux valeurs initiales par la suite. Toutefois le syndrome néphrotique a disparu avec une majoration de l'albumine sérique de 29 à 37 g/L pendant la période de traitement puis de suivi.

La publication indique que CER-001 a permis d'éviter un nouveau déclin de la fonction rénale. Le patient qui était sur le point d'être dialysé, a pu éviter la nécessité d'une dialyse pendant son traitement avec CER-001.

Aucun autre traitement n'a été introduit, ce qui suggère fortement que la stabilisation de la fonction rénale repose sur l'administration de CER-001.

La publication confirme le statut de thérapie innovante de CER-001 dans les maladies rénales

La publication mentionne que les effets de CER-001 sur le déclin de la fonction rénale devraient être évalués dans les maladies protéinuriques plus courantes, notamment la néphropathie diabétique ou la glomérulonéphrite extra-membraneuse (deux maladies caractérisées par une réduction de l'activité locale de LCAT, des dépôts lipidiques glomérulaires, et des processus inflammatoires), ou d'autres néphropathies associées à des dépôts lipidiques.

La publication révèle le mécanisme d'action systémique du CER-001 et élargit l'innovation de rupture à l'ophtalmologie

La publication mentionne des résultats cliniques positifs extra-rénaux et la disparition du flou visuel secondaire aux dépôts cornéens. Cette amélioration franche des fonctions visuelles est toujours observée après 1 an de suivi.

La nette amélioration du flou visuel à la fin du suivi suggère que les propriétés anti-inflammatoires et/ou d'augmentation du transport inverse de cholestérol du CER-001 peuvent améliorer la vision chez les patients avec un déficit d'activité de LCAT. Cette découverte et les données précédentes montrant le rôle de l'apoA-I dans le développement de l'opacification de la cornée et des dépôts lipidiques cornéens ouvrent la voie à des études cliniques testant le CER-001 chez des patients développant des dépôts cornéens lipidiques provenant d'autres pathologies, telles que la kératopathie lipidique secondaire ou la dystrophie cornéenne héréditaire.

Le Professeur Stanislas Faguer, néphrologue dans le Département de Néphrologie et Transplantation d'Organes et membre du Centre de référence pour les maladies rénales rares (Hôpital de Rangueil, CHU de Toulouse), déclare : *"Ces données cliniques positives démontrent que le CER-001 a empêché un déclin significatif de la fonction rénale. L'ApoA-I contenant le mimétique HDL CER-001 est le premier traitement qui a prouvé sa capacité à ralentir la progression de l'insuffisance rénale et réduire la gêne visuelle secondaire aux dépôts lipidiques cornéens chez un patient atteint de FLD (Familial Deficiency LCAT/déficients du gène LCAT). Nous sommes impatients de mener de nouvelles études cliniques avec CER-001 afin d'évaluer sa capacité à améliorer le pronostic d'autres maladies rénales orphelines ou fréquentes pour lesquelles on ne dispose actuellement pas de traitement efficace"*.

Cyrille Tupin, Directeur Général d'ABIONYX Pharma conclut : " Ces données cliniques positives publiées dans l'une des revues médicales les plus citées avèrent l'efficacité de notre bioproduit et révèlent le repositionnement pertinent de CER-001 dans une indication rénale sévère où il n'y a pas eu d'innovation thérapeutique de rupture depuis 10 ans. Cela représente une avancée importante dans le développement clinique de CER-001. Je tiens à remercier très chaleureusement le Professeur Faguer pour sa contribution majeure et toutes les équipes du CHU de Toulouse pour leur collaboration continue. Nous remercions vivement l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament qui a accepté la demande d'ATUn du Pr Faguer, ainsi que le patient qui a pleinement adhéré au projet thérapeutique ayant permis d'aboutir à cette découverte. L'équipe ABIONYX continue d'explorer d'autres bénéfices médicaux potentiels de CER-001. Nous nous engageons à faire avancer le développement clinique du mimétique HDL le plus rapidement et le plus sûrement possible, tout en étudiant de nouvelles indications en néphrologie et en ophtalmologie, afin d'améliorer le pronostic de maladies rares ou orphelines pour lesquelles il n'existe actuellement aucun traitement ".

Les données complètes se trouvent dans l'article :
<https://www.acpjournals.org/doi/10.7326/L20-1300>

À propos de Annals of Internal Medicine

Annals of Internal Medicine est une revue médicale universitaire publiée par l'American College of Physicians (ACP). C'est l'une des revues médicales spécialisées les plus citées et les plus influentes dans le monde. Le facteur d'impact le plus récent (2019) pour Annals of Internal Medicine est de 21.317 (Clarivate Analytics). Selon les nouveaux rapports de 2019 de Clarivate Analytics sur les citations de revues, Annals est la revue de médecine interne la plus citée et la mieux classée dans la catégorie Médecine, générale et interne.

À propos d'ABIONYX Pharma

ABIONYX Pharma est une société biotech de nouvelle génération dédiée à la découverte et au développement de thérapies innovantes visant à améliorer la vie des patients. Les actifs biotech hérités de la société CERENIS Therapeutics constituent un riche portefeuille de programmes valorisables, que ce soit pour le traitement des maladies métaboliques, mais aussi grâce à ses 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