



Communiqué de presse

ABIONYX Pharma reçoit un avis positif de l'EMA pour le CER-001 dans la Déficience en LCAT

- **Acceptation par l'EMA de la soumission de données provenant de deux lots prospectifs de validation du procédé de fabrication du biomédicament au moment de la demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM)**

Toulouse, FRANCE, Lakeland, ETATS-UNIS, 21 octobre 2024, 20h00 CEST – ABIONYX Pharma, (FR0012616852 – ABNX – éligible PEA PME), société de biotechnologie de nouvelle génération dédiée à la découverte et au développement de thérapies innovantes basées sur la seule apolipoprotéine apoA-1 recombinante au monde, a soumis le 11 juillet 2024 une demande formelle d'avis scientifique à l'Agence européenne des médicaments (EMA) pour l'apolipoprotéine A-I humaine recombinante CER-001, dans le traitement de la déficience en lécithine-cholestérol acyltransférase (LCAT). Cette demande complète le processus d'examen continu, avec des données cliniques et des données partielles sur la chimie, la fabrication et les contrôles (CMC) soumises par ABIONYX Pharma.

ABIONYX Pharma a sollicité l'avis du Comité des médicaments à usage humain (CHMP), comité de l'Agence européenne des médicaments responsable de l'évaluation des médicaments à usage humain, sur la proposition de soumettre, lors du dépôt du dossier relatif au CER-001 en vue de l'octroi de l'approbation conditionnelle de l'UE dans l'indication de la Déficience LCAT, les données de deux lots prospectifs de validation du procédé relatif à la fabrication du biomédicament (qui comprend la substance apoA-I dite DS et le produit médicamenteux dit DP).

L'EMA a conclu que la proposition de soumettre les données provenant de 2 lots prospectifs de validation du procédé relatif à la fabrication du biomédicament lors de la demande d'AMM pourrait être admissible.

Comme recommandé, ABIONYX Pharma poursuivra son plan de développement concernant la sécurité virale, la description de la méthode et la spécificité de la validation jusqu'à la soumission de l'AMM.

ABIONYX Pharma a fourni le CER-001 dans le cadre d'une utilisation compassionnelle nominative à huit patients souffrant d'une déficience LCAT dans quatre pays européens. Tous les patients ont maintenant achevé les six mois de traitement. Comme convenu dans l'avis précédent du CHMP, ces cas constitueront la base clinique de la soumission de l'AMM.

Sur la base de l'avis scientifique de l'EMA, la Société a maintenant clarifié les conditions requises pour initier le processus de soumission d'une AMM.

A propos de CER-001

CER-001 est une particule HDL synthétique qui contient de l'apolipoprotéine A-I humaine recombinante (apoA-I), complexée avec des phospholipides. Les particules HDL se sont révélées être des piègeurs très efficaces d'endotoxines bactériennes, telles que le lipopolysaccharide (LPS), avec la capacité d'inactiver le LPS et de le cibler pour qu'il soit éliminé par le foie. De plus, sa capacité importante à épurer le cholestérol et des lipides accumulés dans les tissus (en particulier renaux) fait du CER-001 un outil de choix dans le traitement de la maladie de Norum.

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
Nicolas Fossiez
abionyx@newcap.eu
+33 (0)1 44 71 94 94

NewCap

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