

## **Biotech : Abionyx révolutionne le traitement des maladies rénales (et évite les dialyses)**

Jusqu'à aujourd'hui, les personnes souffrant de maladies rénales rares ne disposaient pas de traitement. Cela devrait bientôt changer. Le Toulousain Abionyx Pharma a mis au point un biomédicament qui permet de freiner la pathologie et éviter la dialyse. Ce mimétique du « bon cholestérol » a récemment connu un succès clinique en première mondiale, au CHU de Toulouse, sur une patiente atteinte d'une maladie rare du rein. Les premières doses de ce médicament nouvelle génération, et 100 % français, devraient être disponibles dès l'automne.

C'est peut être la plus grande avancée jamais connue dans le traitement des maladies rénales ultra-rares. Abionyx, société biotech de nouvelle génération dédiée à la découverte et au développement de thérapies innovantes, annonce ce jeudi 25 mars la conclusion d'un partenariat stratégique avec GTP Biologics (Groupe Faréva) et V-Nano (Groupe VBI Therapeutics), spécialisées dans la production et la formulation de nanomédicaments biologiques.

Cette coopération a pour objectif d'assurer la bioproduction du CER-001, un biomédicament de dernière génération, développé par Abionyx Pharma, contre les diverses maladies rénales ultra-rares. La société biotech toulousaine a obtenu ce traitement innovant en reproduisant de façon « complètement biologique » du « bon cholestérol ». Elle a ainsi recréé un produit qui mime le cholestérol HDL et une protéine (APOA1) habituellement fabriquée par les intestins et le foie. Non-toxique, il agit bénéfiquement sur les reins, la rate et la cornée de l'œil.

Dorénavant, les trois entités du partenariat veulent produire ce nouvel élément thérapeutique au plus vite pour répondre aux besoins des patients atteints de pathologies rénales autant rares que graves. Car jusqu'à présent, il n'existait aucune solution médicamenteuse et aucun traitement disponible. La fabrication et production en usine seront la mission de GTP Biologics, basée à Saint-Julien-en-Genevois (Haute-Savoie), et V-Nano, installée à Toulouse, deux spécialistes en la matière.

### **Une avancée 100 % made in France**

« Pour réaliser ce produit, il faut travailler sur une structure qui a la taille d'une nanoparticule et qui a été produite par des procédés biologiques. Nous avons donc souhaité nouer un partenariat important avec des gens du métier, reconnus et qui nous permettent de passer les prochaines étapes. Nous souhaitons sécuriser la production de ce biomédicament injecté à l'homme. Nous avons établi un contact avec des partenaires européens et nord-américains, mais Abionyx souhaite localiser les activités de production en France et avoir accès à des équipes d'excellence proches. Notre métier est de développer et amener des médicaments en études cliniques et pas du tout de suivre et gérer la production en usine », explique Cyrille Tupin, le directeur général d'Abionyx depuis 2018.

La culture cellulaire, ainsi que les autres étapes de mise au point du CER-001, auront donc lieu au sein de l'usine de GTP Biologics. La dernière étape, de mise en flacon, se fera elle à Toulouse, sur le site de V-Nano.

« L'enjeu est majeur pour notre industrie de pouvoir produire les biomédicaments les plus avancés en France, au-delà des produits plus matures comme les vaccins et les anticorps monoclonaux. Il y a un assemblage de compétences et d'expertise sur VBI Therapeutics qui est compatible avec les besoins d'Abionyx. De plus, il y a une proximité géographique importante entre nous qui nous permet de communiquer très vite sur des procédés complexes. Nous avons un maillage d'expertises qui nous a démarqué de nos concurrents européens sur ce partenariat. Nous sommes parmi les seuls à proposer une prestation complète qui part de la culture des cellules jusqu'au fill and finish (mise en flacon).

Aujourd'hui, le maître-mot des médicaments de demain est la biodisponibilité, ou comment rendre accessible le plus facilement possible à l'organisme des molécules actives, mais difficiles à administrer sur les cibles », ajoute Alain Sainsot, président de VBI Therapeutics, fondateur de V-Nano et directeur de l'usine de Saint-Julien-en-Genevois pour le compte de Fareva, acteur mondial de la sous-traitance pharmaceutique.

## **Des résultats cliniques positifs**

Ce partenariat intervient peu après la publication des résultats concluants d'un essai clinique qui a démontré l'efficacité du traitement. Ce médicament injectable, à administrer par voie intraveineuse, conservé dans des petits flacons en verre et dont l'aspect est presque transparent, a démontré son statut de thérapie innovante. Avant cela, l'Agence nationale de sécurité du médicament (ANSM) a accordé, début 2020, une autorisation temporaire d'utilisation (ATU nominative) du CER-001 sur une patiente du CHU de Toulouse présentant une maladie rénale ultra-rare non traitée. La publication, a ainsi avéré l'action du produit biologique sur le retard de la dialyse et l'impact sur les dépôts lipidiques de la cornée.

« Nous avons démontré que nous avons un bénéfice clinique important pour les patients au niveau de leur vie. Une patiente du professeur Stanislas Faguer, néphrologue au sein du CHU de Toulouse, qui devait malheureusement être dialysée et qui commençait à avoir un flou visuel assez important a vu sa situation personnelle s'améliorer. Après la prise du traitement, par voie intraveineuse pendant 4 mois, elle a pu reprendre le travail, récupérer une acuité visuelle normale et n'a pas été dialysée », détaille Cyrille Tupin.

Dans le cadre du développement du CER-001, une étude clinique en phase 2a est actuellement en cours, en Italie. Initiée au mois de décembre dernier, son coût, entièrement financé par la fondation italienne partenaire d'Abionyx, s'élève entre cinq et dix millions d'euros.

## **Plusieurs milliers de doses**

En attendant les résultats de cette seconde étude, la production en amont de ce nouveau médicament très complexe a déjà débuté. Dans l'idéal, les premiers lots de doses du CER-001 seraient disponibles dès septembre voire octobre 2021 pour une mise à disposition des hôpitaux. Les milliers d'unités produites seront à terme destinées au marché international étant donné que les pathologies rénales rares touchent des patients aux quatre coins du monde.

« Les produits biologiques comme les nôtres sont très stables dans le temps. CER-001 est stable plus de cinq ans et bien au-delà, mais la réglementation a fixé cette limite. Aujourd'hui, les flacons que nous avons ont, entre autres, été réservés pour la phase 2a qui a commencé en Italie. Nous avons une pression importante au niveau de la production pour pouvoir continuer les études, et terminer les Autorisation temporaire d'utilisation (ATU) avec qui nous avons des engagements », précise le chef d'entreprise.

La structure toulousaine envisage de débiter la phase 2b de son étude clinique italienne dès la fin d'année 2021, avec les nouvelles doses fabriquées par V-Nano et GTP Biologics. Le financement de cette opération d'industrialisation est possible grâce à trésorerie d'Abionyx. Cotée en bourse sur Euronext, elle disposait de près de neuf millions d'euros de trésorerie au 31 décembre 2020. Cette dernière compte sur les futures opportunités pour amortir les coûts de production de sa technologie.

« Pour l'heure, nous n'avons pas besoin de financement. À terme, les ATU peuvent générer du chiffre d'affaires. Les études cliniques peuvent également nous aider à augmenter notre valeur en bourse et nouer des accords de partenariat, de co-développement, de marketing, etc. Nous avons un certain nombre d'options sur la table qui nous permettent d'avancer avec sérénité », assure Cyrille Tupin.

## **Un produit qui peut avoir d'autres fonctions**

Basée à Balma, Abionyx Pharma possède une équipe de cinq personnes. Cyrille Tupin envisage des embauches au fur et à mesure des avancées des travaux de son entreprise. Il ne souhaite pas voir un mauvais scénario se répéter. En effet, fondée en 2005 et anciennement connue sous le nom de Cerenis, la société avait essuyé un échec en phase 3 dans les maladies cardiaques. À la suite de cela, elle a complètement repositionné son produit et réorienté sa stratégie.

Créée en 2018, V-Nano, elle, compte 11 collaborateurs. En 2020, elle affichait un chiffre d'affaires de 4,5 millions d'euros. Mobilisée sur une partie de la production, l'usine de Saint-Julien-en-Genevois dispose de 40 employés. La structure a été rachetée en 2020 au groupe castrais Pierre Fabre par Fareva.

« Il faut tirer des leçons des échecs du passé et ne pas brûler les étapes pour avoir des chances de succès. Il ne faut pas être centré sur un seul développement et garder un champ d'innovation avec des partenaires et continuer à travailler autour de ce produit qui peut avoir plusieurs fonctions. Par exemple, il peut servir de transport à d'autres actifs. Nous pouvons également étudier 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. Il faut maintenant passer à la vitesse supérieure », conclut le dirigeant de d'Abionyx qui ouvre de nouvelles perspectives.

par Israa Lizati