

Ipsen fait le point sur l'essai de Phase III BOLD dans l'atrésie des voies biliaires

PARIS, FRANCE, 24 JUILLET 2026 – Ipsen (Euronext: IPN; ADR: IPSEY) a annoncé aujourd'hui que l'essai de Phase III BOLD, évaluant Bylvay versus placebo chez des patients atteints d'atrésie des voies biliaires (AVB) ayant déjà subi une hépato-porto-entérostomie de Kasai (HPE), n'a pas atteint son critère principal d'amélioration de la survie du foie natif par rapport au placebo. Les données préliminaires actuelles sont conformes au profil de sécurité bien établi de l'odévixibat dans les indications approuvées. Caractérisée comme une pathologie complexe et à évolution rapide, l'AVB est la principale cause de transplantation hépatique pédiatrique, sans option thérapeutique approuvée au-delà de l'HPE de Kasai ou de la transplantation hépatique.

« L'atrésie des voies biliaires est une maladie hépatique rare et grave qui touche les bébés. Évoluant rapidement et sans traitement médical efficace, de nombreux enfants développent des lésions hépatiques sévères, et l'atrésie des voies biliaires demeure la première cause de transplantation hépatique chez l'enfant, souvent avant l'âge de deux ans. La recherche reste limitée, laissant aux patients, aux familles et aux cliniciens très peu d'options thérapeutiques », a déclaré l'investigateur principal, le Dr Saul J. Karpen, MD PhD FAASLD, hépatologue pédiatrique et Chief Scientific Officer, Stravitz-Sanyal Institute for Liver Disease and Metabolic Health, Virginia Commonwealth University. « En tant que premier essai mondial de Phase III dans l'atrésie des voies biliaires, BOLD a permis de générer l'ensemble de données le plus complet jamais réuni sur cette maladie. Bien que l'étude n'ait pas atteint son critère principal, l'engagement des enfants et des familles participants a produit des enseignements précieux qui approfondiront notre compréhension de l'atrésie des voies biliaires et constitueront une base essentielle pour la recherche et la prise en charge des patients à l'avenir. L'atrésie des voies biliaires étant une maladie hétérogène, avec une présentation clinique et une évolution variables, des analyses complémentaires de cet ensemble de données complet pourraient apporter des éclairages importants sur la biologie de la maladie et nous aider à mieux comprendre si les résultats diffèrent selon les sous-groupes de patients. »

« Cette issue est décevante pour les patients atteints de cette maladie grave et pour leurs familles », a déclaré Christelle Huguet, PhD, Vice-Présidente Exécutive, Directrice de la R&D d'Ipsen. « Ces résultats reflètent le défi considérable que représente l'atrésie des voies biliaires, une maladie hépatique cholestatique pédiatrique rare et complexe qui a jusqu'à présent déjoué toutes les tentatives thérapeutiques au-delà de la chirurgie. Nous tenons à remercier sincèrement les patients, les aidants, les investigateurs, ainsi que l'ensemble de la communauté de l'atrésie des voies biliaires qui ont consacré leur temps et leurs efforts à l'essai BOLD. Leur engagement a été déterminant pour faire progresser notre compréhension de l'atrésie des voies biliaires et des besoins des personnes vivant avec cette maladie difficile. »

À propos de Bylvay (odévixibat)

L'odévixibat est un inhibiteur sélectif et puissant du transport iléal des acides biliaires (IBAT), pris une fois par jour, qui réduit la réabsorption des acides biliaires dans l'intestin. Grâce à l'inhibition de l'IBAT, les acides biliaires sont détournés et excrétés dans les selles à la place.

Bylvay® (odévixibat) est approuvé aux États-Unis comme premier traitement du prurit cholestatique dans la cholestase intrahépatique familiale progressive (CIFFP), tous types confondus, ainsi que pour le prurit chez les patients atteints du syndrome d'Alagille (SALG). Dans l'UE, Bylvay est approuvé pour le

traitement de la CIFP, avec octroi d'une exclusivité orpheline, et est également commercialisé sous le nom de KAYFANDA® pour le SALG.

À propos de l'essai de Phase III BOLD

BOLD est un essai de Phase III randomisé, en double aveugle, contrôlé contre placebo (NCT04336722), évaluant l'efficacité et la sécurité de l'odévixibat par rapport au placebo chez des patients atteints d'atrésie des voies biliaires ayant subi une hépato-porto-entérostomie de Kasai (HPE). Il s'agit du plus vaste essai évaluant la modification de la maladie dans l'atrésie des voies biliaires. L'essai a inclus 254 patients dans 19 pays, ayant subi une intervention chirurgicale de Kasai (HPE) au cours des 90 premiers jours de vie. Les patients ont reçu de l'odévixibat par voie orale à 120 mcg/kg/jour ou un placebo, une fois par jour, pendant jusqu'à 104 semaines. Le critère principal était la survie du foie natif, définie comme le délai entre la randomisation et la première survenue d'une transplantation hépatique ou d'un décès à la semaine 104. Une étude d'extension en ouvert actuellement en cours (BOLD-EXT) évalue la sécurité et l'efficacité à plus long terme de l'odévixibat chez les patients ayant terminé l'essai BOLD. Une décision concernant la poursuite des patients dans l'étude d'extension en ouvert sera prise à l'issue d'une revue complète des données de l'ensemble de l'essai.

À propos de l'atrésie des voies biliaires

L'atrésie des voies biliaires (AVB) est une maladie hépatique cholestatique pédiatrique rare et grave, touchant 1 nouveau-né sur 5 000 à 20 000, dans laquelle les voies biliaires à l'intérieur et/ou à l'extérieur du foie sont bloquées, absentes ou cicatrisées, empêchant la bile de s'écouler du foie vers l'intestin. La bile s'accumule alors dans le foie, provoquant une inflammation progressive, une fibrose, une cirrhose et, en l'absence de traitement, une insuffisance hépatique. La pathologie apparaît chez les nouveau-nés et les jeunes nourrissons, généralement dans les premières semaines à premiers mois de vie, se manifestant souvent par un ictère persistant, des selles décolorées et des urines foncées. L'atrésie des voies biliaires est la cause la plus fréquente de transplantation hépatique pédiatrique dans le monde. Bien qu'une intervention chirurgicale précoce de Kasai (HPE) puisse rétablir l'écoulement de la bile et retarder la progression de la maladie, elle ne guérit pas toujours la pathologie et de nombreux patients auront besoin d'une transplantation hépatique. À ce jour, il n'existe aucun traitement médical approuvé pour l'AVB.

À propos d'Ipsen

Nous sommes une entreprise biopharmaceutique mondiale dont l'objectif est de proposer des traitements innovants aux patients dans trois aires thérapeutiques : l'oncologie, les maladies rares et les neurosciences. Notre portefeuille de projets repose sur l'innovation interne et externe et s'appuie sur près de 100 ans d'expérience en développement ainsi que sur des pôles d'excellence mondiaux situés aux États-Unis, en France et au Royaume-Uni. Nos équipes présentes dans plus de 40 pays et nos partenariats à travers le monde nous permettent de proposer des médicaments dans plus de 100 pays.

Ipsen est coté à Paris (Euronext : IPN) et aux États-Unis via un programme d'American Depositary Receipts (ADR de niveau I : IPSEY). Pour plus d'informations, consultez [ipsen.com](https://www.ipsen.com).

Contacts Ipsen

Investisseurs

Henry Wheeler

henry.wheeler@ipsen.com

+33 7 66 47 11 49

Khalid Deojee

khalid.deojee@ipsen.com

+33 6 66 01 95 26

Médias

Sally Bain

sally.bain@ipsen.com

+1 857 320 0517

Anne Liontas

anne.liontas.ext@ipsen.com

+33 7 67 34 72 96

Avertissements et déclarations prospectives

Les déclarations prospectives, objectifs et cibles contenus dans le présent document sont fondés sur la stratégie de la direction d'Ipsen, ses opinions actuelles et ses hypothèses. Ces déclarations impliquent des risques et des incertitudes, connus et inconnus, pouvant entraîner des écarts significatifs entre les résultats, performances ou événements réels et ceux anticipés. L'ensemble des risques mentionnés ci-dessus pourrait affecter la capacité future d'Ipsen à atteindre ses objectifs financiers, établis sur la base d'hypothèses macroéconomiques jugées raisonnables au regard des informations disponibles à ce jour. L'utilisation de termes tels que « croit », « anticipe » ou « s'attend à », ainsi que d'expressions similaires, vise à identifier des déclarations prospectives, y compris les attentes d'Ipsen concernant des événements futurs, notamment en matière de dépôts réglementaires et de décisions associées. Par ailleurs, les objectifs décrits dans ce document ont été élaborés sans tenir compte d'hypothèses de croissance externe ni d'éventuelles acquisitions futures, susceptibles de modifier ces paramètres. Ces objectifs reposent sur des données et des hypothèses considérées comme raisonnables par Ipsen. Ils dépendent de conditions ou de faits susceptibles de se produire à l'avenir et non exclusivement de données historiques. Les résultats réels peuvent s'écarter sensiblement de ces objectifs en raison de la survenance de certains risques et incertitudes, notamment le fait qu'un médicament prometteur en phase de développement précoce ou d'essai clinique puisse ne jamais être commercialisé ou ne pas atteindre ses objectifs commerciaux, notamment pour des raisons réglementaires ou concurrentielles. Ipsen doit faire face, ou pourrait être amené à faire face, à la concurrence de médicaments génériques, ce qui pourrait se traduire par une perte de parts de marché. En outre, le processus de recherche et de développement comporte plusieurs étapes, chacune comportant un risque substantiel d'échec, pouvant contraindre Ipsen à abandonner le développement d'un médicament dans lequel des investissements importants ont été réalisés. Ipsen ne peut donc garantir que les résultats favorables observés lors des études précliniques seront confirmés lors des essais cliniques, ni que les résultats des essais cliniques seront suffisants pour démontrer l'innocuité et l'efficacité du médicament concerné. Aucune garantie ne peut être donnée quant à l'obtention des autorisations réglementaires nécessaires ni quant au succès commercial du médicament. Si les hypothèses sous-jacentes se révèlent inexactes, ou si des risques ou incertitudes se matérialisent, les résultats réels pourraient différer sensiblement de ceux indiqués dans les déclarations prospectives. D'autres risques et incertitudes comprennent, sans s'y limiter, les conditions générales du secteur et la concurrence ; les facteurs économiques globaux, notamment les fluctuations des taux d'intérêt et des taux de change ; l'impact de la réglementation du secteur pharmaceutique et de la législation en matière de santé ; les risques liés à des évolutions réglementaires ou politiques imprévues, telles que des modifications des réglementations fiscales ou commerciales, y compris les mesures protectionnistes, notamment aux États-Unis ; les tendances mondiales visant à contenir les coûts de santé ; les avancées technologiques et les nouveaux médicaments et brevets développés par des concurrents ; les défis inhérents au développement de nouveaux médicaments, y compris l'obtention des autorisations réglementaires ; la capacité d'Ipsen à anticiper avec précision les conditions futures du marché ; les difficultés ou retards de fabrication ; l'instabilité financière des économies internationales et les risques souverains ; la dépendance à l'efficacité des brevets d'Ipsen et aux autres protections de ses médicaments innovants ; ainsi que l'exposition à des litiges, y compris en matière de propriété intellectuelle, et/ou à des actions réglementaires. Ipsen dépend également de tiers pour le développement et la commercialisation de certains de ses médicaments, susceptibles de générer des redevances significatives. Ces partenaires peuvent adopter des comportements susceptibles de nuire aux activités et aux résultats financiers d'Ipsen. Ipsen ne peut garantir que ses partenaires rempliront leurs obligations ni qu'il pourra tirer un bénéfice de ces accords. Une défaillance de l'un des partenaires d'Ipsen pourrait entraîner des revenus inférieurs aux attentes. De telles situations pourraient avoir un impact négatif sur l'activité, la situation financière ou les performances d'Ipsen. Ipsen décline expressément toute obligation ou engagement de mettre à jour ou de réviser les déclarations prospectives, objectifs ou estimations contenus dans le présent communiqué de presse afin de refléter toute évolution des événements, conditions, hypothèses ou circonstances sur lesquels ces déclarations sont fondées, sauf si la loi applicable l'exige. L'activité d'Ipsen est soumise aux facteurs de risque décrits dans ses documents d'enregistrement déposés auprès de l'Autorité des marchés financiers. Les risques et incertitudes mentionnés ci-dessus ne sont pas exhaustifs et le lecteur est invité à consulter le Document d'Enregistrement Universel le plus récent d'Ipsen, disponible sur ipsen.com.