

## Inventiva obtient le statut « Fast Track » de la FDA pour son candidat médicament au stade clinique odiparcil dans la MPS VI

- Ce statut est destiné à accélérer l'évaluation réglementaire et à faciliter le développement d'odiparcil pour le traitement de patients atteints de la MPS VI

**Daix (France), le 19 octobre 2020** – Inventiva (Euronext Paris et Nasdaq : IVA), société biopharmaceutique spécialisée dans le développement clinique de petites molécules administrées par voie orale pour le traitement de la stéatohépatite non alcoolique (NASH), des mucopolysaccharidoses (MPS) et d'autres maladies avec un besoin médical non satisfait significatif, annonce aujourd'hui que la *Food and Drug Administration* (FDA) américaine a accordé le statut « Fast Track » à odiparcil, son candidat médicament au stade clinique, pour le traitement de la MPS de type VI (MPS VI), une maladie génétique rare et progressive.

Le programme « Fast Track » de la FDA est destiné à faciliter le développement ainsi qu'à accélérer l'évaluation réglementaire et l'approbation potentielle de candidats médicaments. Ce programme vise à permettre aux patients d'avoir accès plus rapidement à des médicaments destinés à traiter des pathologies graves et à répondre à des besoins médicaux non satisfaits importants.

**Pierre Broqua, Directeur Scientifique et cofondateur d'Inventiva, a déclaré :** « *Nous sommes très heureux que la FDA ait accordé le statut 'Fast Track' à odiparcil pour le traitement de la MPS VI qui souligne le besoin médical non satisfait pour cette maladie génétique rare et progressive. Nous sommes convaincus qu'odiparcil a le potentiel de devenir un traitement de référence pour les patients atteints de la MPS VI, notamment grâce à sa formulation orale et sa capacité à atteindre des tissus et des organes insuffisamment traités par les produits actuellement prescrits. Ce statut représente une étape importante dans le développement d'odiparcil pour en faire un traitement supplémentaire destiné aux patients atteints de la MPS VI qui sont en attente de thérapies plus efficaces et pratiques.* »

Le statut « Fast Track » offre la possibilité de communiquer plus fréquemment avec la FDA pour discuter du plan de développement du candidat médicament, de la conception des essais cliniques, de l'utilisation de biomarqueurs, et du recueil des données nécessaires à l'approbation du médicament. Il permet également d'accéder à un processus d'autorisation accéléré et à une évaluation prioritaire, ainsi qu'à des demandes d'autorisation de produits biologiques (« Biologic License Application » - BLA) ou de nouveaux médicaments (« New Drug Application » - NDA) section par section sans devoir attendre la finalisation des dossiers.

L'obtention du statut « Fast Track » pour odiparcil dans la MPS VI fait suite à l'approbation par la FDA en août 2020 de la demande IND (Investigational New Drug) d'Inventiva dans cette même indication et la publication à la fin de l'année 2019 des résultats positifs de son étude clinique de Phase IIa iMProveS (*improve MPS treatment*) évaluant odiparcil pour le traitement de la MPS VI.

### À propos du statut « Fast Track »<sup>1</sup>

Le statut « Fast Track » est destiné à faciliter le développement et à accélérer l'examen et l'approbation potentielle de candidats médicaments pour le traitement de pathologies graves, et à répondre à un besoin médical non satisfait. Son but est de permettre aux patients d'avoir accès plus rapidement à des médicaments innovants. « Fast Track » est destiné à un nombre important de pathologies graves et mortelles.

<sup>1</sup> <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/fast-track>.

La désignation du statut de maladie grave est une question de jugement, mais elle est généralement accordée à des pathologies pour lesquelles le médicament aura un impact sur des facteurs tels que la survie, les activités quotidiennes, ou la probabilité qu'en l'absence de traitement la maladie évolue vers une forme plus sévère.

Répondre à un besoin médical non satisfait consiste à fournir un traitement alors qu'il n'en existe aucun, ou à fournir un traitement pouvant potentiellement être meilleur que les traitements existants. Tout médicament en cours de développement pour traiter ou prévenir une pathologie pour laquelle il n'existe actuellement aucun traitement vise de fait un besoin médical non satisfait. S'il existe des traitements disponibles, un médicament pourra obtenir le statut « Fast Track » s'il apporte un avantage par rapport aux traitements existants, ce qui est déterminé selon une série de critères prédéfinis.

### À propos d'odiparcil

Odiparcil est une petite molécule administrée par voie orale pour le traitement de patients atteints de MPS, un groupe de maladies génétiques rares et progressives. Les MPS se caractérisent par une accumulation excessive de glycoaminoglycane (« GAGs ») dans les cellules, des polysaccharides importants dans la modulation de la signalisation cellulaire et dans le maintien de la structure et fonction des tissus. Chez les patients atteints de MPS, les enzymes produites dans les lysosomes pour décomposer les GAGs sont défectueux du fait d'une mutation génétique. En conséquence, les GAGs s'accumulent dans les lysosomes, ce qui provoque leur gonflement et interfère avec le fonctionnement normal des cellules. Cette accumulation de GAGs est à l'origine des symptômes associés à la MPS. Les MPS sont classées en plusieurs sous-types en fonction de l'enzyme affecté et des GAGs accumulés correspondants. Odiparcil, en modifiant le processus de synthèse des GAGs, facilite la production de GAGs solubles qui peuvent être excrétés dans les urines évitant leur accumulation dans les cellules. Plus précisément, odiparcil agit sur les sulfates de chondroïtine (« CS ») et les sulfates de dermatane (« DS »), qui s'accumulent chez les patients atteints de MPS I, II, IVa, VI et VII.

Odiparcil a été évalué pour le traitement des patients adultes atteints de la MPS VI dans le cadre de l'étude clinique de Phase IIa iMProveS (*improve MPS treatment*) dont les résultats positifs ont été publiés à la fin de l'année 2019.

Odiparcil a reçu la désignation de médicament orphelin (Orphan Drug Designation, « ODD ») par la FDA (Food and Drug Administration) et l'EMA (European Medicines Agency) et a également obtenu la désignation de maladie pédiatrique rare (Rare Pediatric Disease Designation, « RPDD ») aux Etats-Unis pour le traitement de la MPS VI.

### À propos d'Inventiva

Inventiva est une société biopharmaceutique spécialisée dans le développement clinique de petites molécules administrées par voie orale pour le traitement de la NASH, des MPS et d'autres maladies avec un besoin médical non satisfait significatif.

Forte de son expertise et de son expérience significative dans le développement de composés ciblant les récepteurs nucléaires, les facteurs de transcription et la modulation épigénétique, Inventiva développe actuellement deux candidats médicaments, ainsi qu'un portefeuille important de plusieurs programmes en stade préclinique.

Lanifibranor, son candidat médicament le plus avancé, est actuellement en cours de développement pour le traitement de patients atteints de la NASH, une maladie hépatique chronique courante et progressive, pour laquelle il n'existe actuellement aucun traitement approuvé. Inventiva a récemment publié des résultats positifs de son étude clinique de Phase IIb évaluant lanifibranor pour le traitement des patients atteints de la NASH.

Odiparcil est le second candidat médicament au stade clinique que Inventiva développe pour le traitement de patients souffrant d'un sous-type de MPS, un groupe de maladies génétiques rares. A la fin de l'année 2019,

Inventiva a publié des résultats positifs de son étude clinique de Phase IIa évaluant odiparcil pour le traitement des patients adultes atteints de la MPS VI.

En parallèle, Inventiva est en cours de sélection d'un candidat médicament en oncologie pour son programme dans la voie de signalisation Hippo. Par ailleurs, la Société a conclu un partenariat stratégique avec AbbVie dans le domaine des maladies auto-immunes. AbbVie a démarré le développement clinique d'ABBV-157, un candidat médicament pour le traitement de la forme modérée à sévère du psoriasis, issu de sa collaboration avec Inventiva. Ce partenariat permet le versement à Inventiva de paiements d'étapes en fonction de l'atteinte d'objectifs précliniques, cliniques, réglementaires et commerciaux ainsi que des redevances sur les ventes des produits développés dans le cadre de ce partenariat.

La Société dispose d'une équipe scientifique d'environ 70 personnes dotée d'une forte expertise en biologie, chimie médicinale et computationnelle, pharmacocinétique et pharmacologie ainsi qu'en développement clinique. Par ailleurs, Inventiva dispose d'une chimiothèque d'environ 240.000 molécules, dont environ 60% sont la propriété de la Société, ainsi que de ses propres laboratoires et équipements.

Inventiva est une société cotée sur le compartiment C du marché réglementé d'Euronext Paris (Euronext Paris : IVA – ISIN : FR0013233012) et sur le marché Nasdaq Global Market aux États-Unis (symbole : IVA).  
[www.inventivapharma.com](http://www.inventivapharma.com)

## Contacts

### Inventiva

Frédéric Cren  
Président-directeur général  
[info@inventivapharma.com](mailto:info@inventivapharma.com)  
+33 3 80 44 75 00

### Brunswick Group

Yannick Tetzlaff /  
Tristan Roquet Montegon /  
Aude Lepreux  
Relations médias  
[inventiva@brunswickgroup.com](mailto:inventiva@brunswickgroup.com)  
+33 1 53 96 83 83

### Westwicke, an ICR Company

Patricia L. Bank  
Relations investisseurs  
[patti.bank@westwicke.com](mailto:patti.bank@westwicke.com)  
+1 415 513-1284

## Avertissement

*Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives, des prévisions et des estimations à l'égard des études cliniques d'Inventiva, des plans cliniques de développements et des futures activités d'Inventiva. Certaines de ces déclarations, prévisions et estimations peuvent être reconnues par l'utilisation de mots tels que, sans limitation, « croit », « anticipe », « s'attend à », « projette », « planifie », « cherche », « estime », « peut », « veut » et « continue » et autres expressions similaires. Ces déclarations ne se rapportent pas à des faits historiquement avérés, mais constituent des projections, estimations et autres données à caractère prévisionnel basées sur l'opinion des dirigeants. Ces déclarations traduisent les opinions et hypothèses qui ont été retenues à la date à laquelle elles ont été faites. Elles sont sujettes à des risques et incertitudes connus ou inconnus desquels les résultats futurs, la performance ou les événements à venir peuvent significativement différer de ceux qui sont indiqués ou induits dans ces déclarations. Les événements réels sont difficiles à prédire et peuvent dépendre de facteurs qui sont hors du contrôle d'Inventiva. En ce qui concerne le portefeuille des produits candidats, il ne peut en aucun cas être garanti que les résultats des études cliniques seront disponibles dans les délais prévus, que les futures études cliniques seront lancées comme prévu, ou que ces candidats recevront les homologations réglementaires nécessaires. Les résultats obtenus peuvent être éloignés des résultats futurs décrits, induits ou anticipés dans lesdites déclarations prospectives en raison d'un nombre important de facteurs. Ces facteurs sont notamment, les pertes importantes générées depuis la création, d'Inventiva, un historique d'exploitation limité, l'absence de revenus générés par la vente des produits d'Inventiva, le besoin de fonds supplémentaires pour financer ses opérations. Le succès futur d'Inventiva dépend également de la réussite du développement clinique, de l'obtention d'approbations réglementaires et de la commercialisation ultérieure de ses produits candidats*

*actuels et futurs. Les études précliniques ou les essais cliniques antérieurs ne sont pas nécessairement prédictifs des résultats futurs et les résultats des essais cliniques d'Inventiva peuvent ne pas confirmer les bénéfices présentés des produits candidats d'Inventiva. Inventiva peut rencontrer des retards importants dans ses essais cliniques ou Inventiva peut échouer à démontrer la sécurité et l'efficacité de ses produits vis-à-vis des autorités réglementaires compétentes. Recruter et retenir des patients dans les essais cliniques est un processus long et coûteux qui pourrait être rendu plus difficile ou impossible par de multiples facteurs indépendants de la volonté d'Inventiva. Les produits candidats d'Inventiva pourraient provoquer des effets secondaires indésirables ou avoir d'autres propriétés qui pourraient retarder ou empêcher leur approbation réglementaire, ou limiter leur potentiel commercial, Inventiva fait face à une concurrence importante et les activités, les études précliniques et les programmes de développement clinique d'Inventiva ainsi que les calendriers, sa situation financière et ses résultats d'exploitation pourraient être significativement affectés par la pandémie actuelle de COVID-19. Compte tenu de ces incertitudes, aucune déclaration n'est faite quant à l'exactitude ou l'équité de ces déclarations prospectives, prévisions et estimations. En outre, les énoncés prospectifs, prévisions et estimations ne sont valables qu'à la date du présent communiqué. Les lecteurs sont donc invités à ne pas se fier indûment à ces déclarations prospectives.*

*Nous vous invitons à vous référer au document d'enregistrement universel déposé auprès de l'Autorité des Marchés Financiers le 19 juin 2020 sous le numéro D.20-0551, son amendement déposé le 10 juillet 2020 sous le numéro D.20-0551-A01 ainsi que le rapport financier semestriel au 30 juin 2020 pour obtenir des informations complémentaires concernant ces facteurs, risques et incertitudes.*

*Sous réserve de la réglementation applicable, Inventiva ne prend aucun engagement de mise à jour ou de révision des informations contenues dans ce communiqué. Inventiva ne peut donc être tenue pour responsable des conséquences pouvant résulter de l'utilisation qui serait faite de ces déclarations.*