

Ipsen présentera de nouvelles données sur quatre maladies rares du foie au Congrès EASL, y compris des données « Late Breaking » dans la CBP et la CSP

- » *Les sept abstracts, dont trois présentations « Late Breaking », qui seront exposés sur de nouvelles données concernant IQIRVO® (elafibranor) et Bylvay®/Kayfanda® (odevixibat), confirment la haute valeur clinique du portefeuille d'Ipsen en maladies rares, où les besoins non satisfaits sont importants et les traitements peu nombreux.*
- » *Deux présentations « Late Breaking » exposeront l'effet d'IQIRVO sur la fatigue et son lien avec le prurit chez les patients atteints de cholangite biliaire primitive (CBP), ainsi que des résultats d'analyse protéomique démontrant les effets d'IQIRVO sur l'inflammation, la biochimie, la fibrose et les marqueurs associés aux symptômes.*
- » *Les bénéfices d'efficacité d'IQIRVO sont étayés par la stabilisation à long terme des données sur les marqueurs non invasifs de fibrose hépatique, tandis qu'une nouvelle analyse de la santé osseuse renforce son profil de tolérance dans la CBP.*
- » *Une publication dans le Journal of Hepatology simultanément avec une présentation orale « Late breaking » des résultats de la phase II du projet ELMWOOD évaluant la sécurité et l'efficacité d'elafibranor dans la cholangite sclérosante primitive.*
- » *Des données en matière d'efficacité et de tolérance à long terme de Bylvay/Kayfanda dans la cholangite intra hépatique familiale progressive (CIFP) et le syndrome d'Alagille (SAG), deux maladies rares du foie, seront également présentées.*

Paris (France), 6 mai 2025 – Ipsen (Euronext : IPN ; ADR : (IPSEY) a annoncé aujourd'hui que sept abstracts présentant de nouvelles données dans son portefeuille de médicaments en maladies rares du foie seront exposés lors du congrès de l'Association for the Study of the Liver (EASL), qui se tiendra du 7 au 10 mai à Amsterdam, aux Pays-Bas. Il s'agit notamment de deux abstracts « Late Breaking » sélectionnés pour une présentation au format poster concernant le médicament IQIRVO® (elafibranor) d'Ipsen dans la cholangite biliaire primitive (CBP) et d'un abstract « Late Breaking » sélectionné pour une présentation orale et une publication dans le *Journal of Hepatology: Safety and efficacy of elafibranor in primary sclerosing cholangitis: The ELMWOOD phase II randomized controlled trial* concernant elafibranor dans la cholangite sclérosante primitive (CSP). Deux autres abstracts décrivant l'effet d'IQIRVO sur les marqueurs non invasifs de fibrose et la santé osseuse dans la CBP ont également été sélectionnés pour une présentation poster.

En outre, deux abstracts contenant des données sur l'odévixibat, connu dans l'UE sous le nom de Bylvay® pour la CIFP et Kayfanda® pour le SAG, seront partagés sous forme de présentations par poster. Ces données sont issues des études d'extension menées en ouvert dans la cholangite intra hépatique familiale progressive (CIFP) et le syndrome d'Alagille (SAG).

D'autres présentations qui seront exposées au congrès EASL, issues de l'étude de Phase III ELATIVE et de l'étude d'extension ouverte en cours chez des patients atteints de CBP, étayeront les bénéfices d'efficacité à long terme et le profil de tolérance d'IQIRVO :

- Les données de l'extension ouverte ELATIVE en cours démontrent une stabilisation des marqueurs non invasifs de la fibrose après deux ans de traitement, suggérant qu'IQIRVO peut ralentir l'aggravation de la fibrose chez les patients atteints de CBP.
- Une analyse de l'effet d'IQIRVO sur la densité minérale osseuse et les biomarqueurs du remodelage osseux après 52 semaines dans l'étude ELATIVE suggère l'absence d'impact négatif sur la santé osseuse chez les patients atteints de CBP sous IQIRVO.

Les nouvelles données à long terme issues des études d'extension en ouvert évaluant Bylvay dans la CIFP et Kayfanda dans le SAG constituent un corpus croissant de preuves pour ces maladies rares du foie :

- Les données de l'étude PEDFIC-2 menée chez des patients de 18 ans et plus atteints de CIFP, traités par Bylvay, ont démontré une amélioration cliniquement significative du prurit ainsi qu'une réduction des acides biliaires sériques. Ces données corroborent les bénéfices cliniques du traitement de long terme par Bylvay pour une maladie généralement associée à la pédiatrie et qui est souvent mal diagnostiquée chez l'adulte.
- Chez les patients atteints du SAG, les résultats en matière d'efficacité et de tolérance ont été étudiés chez les patients âgés de 10 ans et plus dans le cadre de l'étude d'extension à long terme ASSERT-EXT. Bylvay (connu sous le nom de Kayfanda dans l'UE pour le SAG) a été bien toléré, les patients ayant rapporté une amélioration cliniquement significative du prurit, une réduction des acides biliaires sériques et une amélioration du sommeil jusqu'à 72 semaines.

Avec deux molécules approuvées pour trois maladies cholestatiques rares du foie différentes et deux indications supplémentaires en stade avancé dans son portefeuille de produits en R&D, Ipsen est à la pointe de la recherche et du développement de traitements pour lesquels les besoins non satisfaits restent importants et les traitements sont souvent peu nombreux voire inexistants. Focalisé sur des pathologies telles que la CSP, la CBP, la CIFP et le SAG, Ipsen cherche à améliorer les résultats et la qualité de vie des patients qui en sont atteints. L'engagement du Groupe se reflète à la fois dans la conduite d'essais cliniques rigoureux et ses efforts continus pour développer des traitements efficaces, attestant du soutien inconditionnel d'Ipsen envers les patients touchés par ces maladies difficiles et souvent invalidantes.

Données présentées au congrès EASL

Poster ou Oral N°	Intitulé complet	Auteurs
Late-breaking - Présentation orale d'abstract LB25222 [OS-089] Samedi 10 mai 2025 11:15-11:30	Elafibranor for primary sclerosing cholangitis: The ELMWOOD phase II randomised controlled trial	Cynthia Levy, et al
Late-breaking - Présentation poster d'abstract LB25202 [LBP-025] Mercredi 7 mai 2025 13:15-14:45	Elafibranor impacts inflammatory, fibrotic and symptom-associated markers in patients with primary biliary cholangitis: Proteomic results from the ELATIVE® trial	Mark G. Swain, et al
Late-breaking - Présentation poster d'abstract LB25220 [LBP-027] Mercredi 7 mai 2025 13:15-14:45	Elafibranor improves fatigue versus placebo in patients with primary biliary cholangitis, with limited correlation with pruritus: Analysis from the phase III ELATIVE® trial	David E. Jones, et al

Présentation poster d'abstract 909 [THU-313] Jeudi 8 mai 2025 12:30–14:00	Treatment with elafibranor has no impact on bone health in patients with primary biliary cholangitis	Jörn M. Schattenberg, et al
Présentation poster d'abstract 89 [THU-333] Jeudi 8 mai 2025 12:30–14:00	Non-invasive tests for liver fibrosis are stable in patients with primary biliary cholangitis with two years of treatment with elafibranor	Marlyn J. Mayo, et al
Présentation poster d'abstract 810 [THU-306] Jeudi 8 mai 2025 12:30–14:00	Efficacy and safety of odevixibat in adult patients with progressive familial intrahepatic cholestasis: Results from the 72-week PEDFIC2 phase III, open-label study	Henkjan J. Verkade, et al
Présentation poster d'abstract 1029 [THU-342] Jeudi 8 mai 2025 12:30–14:00	Efficacy and safety of odevixibat in patients ≥10 years with Alagille syndrome: Results from the 72-week ASSERT-EXT phase III, open-label extension study	Nadia Ovchinsky, et al

FIN

À propos d'Iqirvo® (élafibranor)

Administré oralement une fois par jour, Iqirvo (prononcer EYE-KER-VO) est un agoniste des récepteurs activés par les proliférateurs de peroxyssomes (PPAR), qui produit un effet sur les PPAR α et PPAR δ . L'activation des PPAR α et δ a pour effet de diminuer la toxicité de la bile et d'améliorer la cholestase en modulant la synthèse, la détoxification et les transporteurs des acides biliaires. L'activation des PPAR α et δ a également des effets anti-inflammatoires en agissant sur différentes voies. En 2019, Iqirvo a obtenu la désignation « Breakthrough Therapy » de la Food and Drug Administration aux États-Unis chez les adultes atteints de CBP et présentant une réponse inadéquate à l'acide ursodésoxycholique (AUDC), le traitement de première ligne existant pour la CBP. Iqirvo a obtenu l'approbation des autorités de santé aux États-Unis via une procédure accélérée en juin 2024, puis l'approbation conditionnelle des autorités de l'UE en septembre 2024, et l'approbation de l'Agence britannique de réglementation des médicaments et des produits de santé (MHRA) en octobre 2024, pour le traitement de la cholangite biliaire primitive (CBP) en association avec l'acide ursodésoxycholique (AUDC) chez l'adulte présentant une réponse inadéquate à l'AUDC, ou en monothérapie chez les patients intolérants à l'AUDC. Ces approbations de la FDA, de l'EMA et de la MHRA dépendent des résultats d'un examen approfondi du bénéfice clinique. Iqirvo suit actuellement des processus réglementaires auprès d'autres autorités. Iqirvo (élafibranor) a été développé par GENFIT. Ipsen a obtenu auprès de GENFIT, dans le cadre d'un accord de licence, les droits exclusifs mondiaux de l'élafibranor (à l'exception de la Chine, de Hong Kong, de Taïwan et de Macao) en 2021.

À propos de Bylvay®/Kayfanda® (odévixibat)

Bylvay (également connu sous le nom de Kayfanda® dans l'UE dans le SAG) (odévixibat) est un inhibiteur du transport iléal des acides biliaires (IBAT), non systémique, administré une fois par jour. L'odévixibat a été approuvé en juillet 2021 dans des circonstances exceptionnelles dans l'UE sous la marque Bylvay®, comme première option de traitement médicamenteux pour tous les types de cholestase intrahépatique familiale progressive (CIFP) chez les patients âgés de six mois ou plus, et en juin 2021 aux États-Unis sous la marque Bylvay®, comme première option de traitement médicamenteux pour les patients âgés de trois mois et plus vivant avec un prurit cholestatique dû à une CIFP. Bylvay a obtenu le statut de médicament orphelin pour le traitement de la CIFP dans l'UE et aux États-Unis.

L'odéxibat a été approuvé en septembre 2024 dans des circonstances exceptionnelles dans l'UE sous la marque Kayfanda® pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (SAG) chez les patients âgés de six mois ou plus. En juin 2023, Bylvay a été approuvé aux États-Unis pour le traitement du prurit cholestatique chez les patients âgés de douze mois et plus atteints du SAG, et a obtenu le statut de médicament orphelin pour le traitement du SAG.

À propos d'Ipsen

Nous sommes un groupe biopharmaceutique mondial focalisé sur la mise au point de médicaments innovants pour les patients dans trois domaines thérapeutiques : l'Oncologie, les Maladies Rares et les Neurosciences.

Notre portefeuille croissant de produits en R&D s'appuie sur l'innovation externe et sur près de 100 ans d'expérience de développement au sein de hubs mondiaux 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 nos médicaments aux patients dans plus de 80 pays.

Ipsen est coté en bourse à Paris (Euronext : IPN) et aux États-Unis à travers un programme d'American Depositary Receipt (ADR : IPSEY) sponsorisé de niveau I. Pour plus d'information, consultez ipsen.com

Contacts Ipsen

Investisseurs

» Khalid Deojee | + 33 6 66 01 95 26 | khalid.deojee@ipsen.com

Médias

» Sally Bain | +1 8573200517 | sally.bain@ipsen.com

» Anne Liontas | + 33 7 67 34 72 96 | anne.liontas.ext@ipsen.com

Déclarations et/ou avertissement Ipsen

Les déclarations prospectives et les objectifs contenus dans ce communiqué sont basés sur la stratégie et les hypothèses actuelles de la Direction d'Ipsen. Ces déclarations et objectifs dépendent de risques et d'incertitudes connus ou non qui peuvent entraîner une divergence significative entre les résultats, performances ou événements effectifs et ceux envisagés dans ce communiqué. De tels risques et imprévus pourraient affecter la capacité d'Ipsen à atteindre ses objectifs financiers, lesquels reposent sur des hypothèses raisonnables quant aux conditions macroéconomiques à venir formulées d'après les informations disponibles à ce jour. L'utilisation des termes « croît », « envisage » et « prévoit » ou d'expressions similaires a pour but d'identifier des énoncés prospectifs, notamment les attentes d'Ipsen quant à des événements futurs tels que les soumissions et décisions réglementaires. De plus, les objectifs mentionnés dans ce document sont établis sans tenir compte d'éventuelles opérations futures de croissance externe qui pourraient venir modifier tous ces paramètres. Ces prévisions sont notamment fondées sur des données et hypothèses considérées comme raisonnables par Ipsen, et dépendent de circonstances ou de faits susceptibles de se produire à l'avenir et dont certains échappent au contrôle du Groupe, et non pas exclusivement de données historiques. Les résultats réels pourraient s'avérer substantiellement différents de ces objectifs compte tenu de la matérialisation de certains risques ou incertitudes, et notamment qu'un nouveau médicament peut paraître prometteur au cours d'une phase préparatoire de développement ou après des essais cliniques, mais n'être jamais commercialisé ou ne pas atteindre ses objectifs commerciaux, notamment pour des raisons réglementaires ou concurrentielles. Ipsen doit ou peut avoir à faire face à la concurrence de produits génériques, qui pourrait se traduire par des pertes de parts de marché. En outre, le processus de recherche et développement comprend plusieurs étapes et, lors de chaque étape, le risque est important qu'Ipsen ne parvienne pas à atteindre ses objectifs et qu'il soit conduit à renoncer à poursuivre ses efforts sur un médicament dans lequel il a investi des

sommes significatives. Aussi, Ipsen ne peut être certain que des résultats favorables obtenus lors des essais précliniques seront confirmés ultérieurement lors des essais cliniques ou que les résultats des essais cliniques seront suffisants pour démontrer le caractère sûr et efficace du médicament concerné. Il ne saurait être garanti qu'un médicament recevra les approbations réglementaires nécessaires ou qu'il atteindra ses objectifs commerciaux. Les résultats réels pourraient être sensiblement différents de ceux annoncés dans les déclarations prévisionnelles si les hypothèses sous-jacentes s'avèrent inexactes ou si certains risques ou incertitudes se matérialisent. Les autres risques et incertitudes comprennent, sans toutefois s'y limiter, la situation générale du secteur et la concurrence ; les facteurs économiques généraux, y compris les fluctuations des taux d'intérêt et des taux de change ; l'incidence de la réglementation de l'industrie pharmaceutique et de la législation en matière de santé ; les tendances mondiales vers une plus grande maîtrise des coûts de santé ; les avancées technologiques, les nouveaux médicaments et les brevets obtenus par la concurrence ; les problèmes inhérents au développement de nouveaux médicaments, notamment l'obtention d'une homologation ; la capacité d'Ipsen à prévoir avec précision les futures conditions du marché ; les difficultés ou délais de production ; l'instabilité financière de l'économie internationale et le risque souverain ; la dépendance à l'égard de l'efficacité des brevets d'Ipsen et d'autres protections concernant les médicaments novateurs ; et le risque de litiges, notamment des litiges en matière de brevets ou des recours réglementaires. Ipsen dépend également de tierces parties pour le développement et la commercialisation de ses médicaments, ce qui peut donner lieu à des redevances substantielles ; en outre ces partenaires pourraient agir de manière à nuire aux activités d'Ipsen ainsi qu'à ses résultats financiers. Ipsen ne peut être certain que ses partenaires tiendront leurs engagements. À ce titre, le Groupe pourrait ne pas être en mesure de bénéficier de ces accords. Une défaillance d'un de ses partenaires pourrait engendrer une baisse imprévue de revenus pour Ipsen. De telles situations pourraient avoir un impact négatif sur l'activité d'Ipsen, sa situation financière ou ses résultats. Sous réserve des dispositions légales en vigueur, Ipsen ne prend aucun engagement de mettre à jour ou de réviser les énoncés prospectifs ou objectifs visés dans le présent communiqué afin de refléter des changements qui viendraient affecter les événements, situations, hypothèses ou circonstances sur lesquels ces énoncés se fondent. L'activité d'Ipsen est soumise à des facteurs de risques qui sont décrits dans ses documents d'information enregistrés auprès de l'Autorité des Marchés Financiers. Les risques et incertitudes présentés ne sont pas les seuls auxquels le Groupe doit faire face et le lecteur est invité à prendre connaissance de la dernière édition du Document d'enregistrement universel d'Ipsen, disponible sur ipson.com.