



PRESS RELEASE

## Ipsen annonce les résultats positifs du comité consultatif de la FDA sur le palovarotène expérimental pour la fibrodysplasie ossifiante progressive

- Le comité consultatif a voté 10 pour et 4 contre que les preuves de l'étude de phase III MOVE montrent que le palovarotène est un traitement efficace chez les patients atteints de la maladie osseuse ultra-rare fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP)
- Le comité a voté 11 pour et 3 contre sur les bénéfices du palovarotène l'emportant sur les risques, pour le traitement des patients atteints de FOP
- La PDUFA date de la FDA est le 16 août 2023

**PARIS, FRANCE**, le 29 juin 2023 – Ipsen (Euronext : IPN ; ADR : IPSEY) a annoncé aujourd'hui que le comité consultatif sur les médicaments endocriniens et métaboliques (EMDAC) de la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a voté en faveur du palovarotène expérimental en tant que traitement efficace, avec un profil risque-bénéfice positif, pour les personnes vivant avec la maladie osseuse ultra-rare, la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP). La FDA examine actuellement la demande de nouveau médicament (NDA) pour le palovarotène avec une décision attendue le 16 août 2023. S'il est approuvé, le palovarotène sera le premier traitement aux États-Unis pour la FOP.

« Nous sommes heureux du vote majoritaire du Comité consultatif de la FDA en faveur du palovarotène, qui témoigne du potentiel de ce médicament dans la prise en charge des conséquences graves de la FOP. La mobilité est considérablement restreinte chez les personnes atteintes de cette maladie osseuse ultra-rare. Elles subissent une diminution importante de leurs fonctions corporelles, ce qui bouleverse leur quotidien, et peut impacter leur espérance de vie » a déclaré Howard Mayer, Vice-Président exécutif, Directeur de la Recherche et du Développement chez Ipsen. « Nous sommes particulièrement reconnaissants envers les patients et les professionnels de santé qui ont participé à nos essais cliniques et à toutes les personnes qui ont spontanément partagé leur expérience personnelle de vie avec une FOP durant le comité consultatif. Nous continuerons à travailler en étroite collaboration avec la FDA sur les prochaines étapes. »

Le comité consultatif a voté 10 pour et 4 contre que les preuves de l'étude de phase III MOVE montrent que le palovarotène est un traitement efficace chez les patients atteints de la maladie osseuse ultra-rare fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP). Le comité a en outre voté 11 pour et 3 contre sur les bénéfices du palovarotène l'emportant sur les risques, pour le traitement des patients atteints de FOP

La FOP est une maladie ultra-rare qui provoque une croissance osseuse permanente et continue dans les tissus mous et conjonctifs comme les muscles, les tendons et les ligaments. Ce phénomène est également connu sous le nom d'ossification hétérotopique (OH).<sup>1</sup> La FOP impacte le quotidien de près de 400 personnes aux États-Unis et de 900 personnes dans le monde<sup>2,3</sup>. La maladie progresse continuellement avec des épisodes de poussée provoquant une croissance osseuse rapide, ce qui entrave sévèrement la mobilité et les fonctions corporelles du patient.<sup>3</sup> La plupart des personnes vivant avec la FOP perdent inévitablement la capacité de manger et de boire par elles-mêmes. Elles ne peuvent plus prendre soin d'elles ni utiliser les toilettes seules. Elles sont incapables de conserver un emploi.<sup>4</sup> À l'âge de 30 ans, la majorité des personnes atteintes de FOP ont besoin d'un fauteuil roulant et d'une assistance à plein temps<sup>2</sup>. Sans traitement ayant pour effet de modifier l'évolution de la maladie, la prise en charge

actuelle se limite aux soins palliatifs. La FOP réduit l'espérance de vie médiane à 56 ans. La mort prématurée est causée par la formation d'une matière osseuse autour de la cage thoracique entraînant des problèmes respiratoires et une insuffisance cardiorespiratoire.<sup>2</sup>

La recommandation du comité consultatif est basée sur son examen de l'ensemble des données d'efficacité et d'innocuité du palovarotène, qui comprenait les résultats de l'essai de phase III MOVE, le premier et le plus grand essai multicentrique ouvert chez des patients adultes et pédiatriques. qui a démontré une réduction cliniquement significative de la nouvelle formation osseuse anormale (HO) et un profil de sécurité bien caractérisé.<sup>5</sup>

### **Le palovarotène, un traitement potentiel dans la FOP**

Le palovarotène est un médicament expérimental administré par voie orale. C'est un agoniste sélectif du récepteur gamma de l'acide rétinoïque (RAR $\gamma$ ), important régulateur du développement du squelette et d'os ectopique dans la voie de signalisation des rétinoïdes. Le palovarotène est un médiateur des interactions entre les récepteurs, les facteurs de croissance et les protéines dans la voie de signalisation des rétinoïdes, ayant pour but de réduire les nouvelles formations osseuses anormales (OH). Le palovarotène a obtenu le statut de médicament orphelin et la désignation « Breakthrough Therapy » comme traitement potentiel de la FOP auprès des autorités réglementaires américaines (FDA), qui a également accordé un examen prioritaire à sa demande d'approbation. Le palovarotène est également en cours d'examen auprès de plusieurs autorités réglementaires. Le palovarotène est actuellement autorisé chez les patients éligibles au Canada et aux Émirats arabes unis, où il est commercialisé sous le nom de Sohonos™ (capsules de palovarotène).<sup>6</sup>

## **FIN**

### **Ipsen**

Ipsen est une société biopharmaceutique mondiale de taille moyenne focalisée sur la mise au point de médicaments innovants en Oncologie, dans les Maladies Rares et en Neurosciences. Avec un chiffre d'affaires Groupe de 3,0 milliards d'euros pour l'exercice 2022, Ipsen vend des médicaments dans plus de 100 pays. Outre sa stratégie d'innovation externe, les efforts d'Ipsen en matière de R&D sont focalisés sur ses plateformes technologiques différenciées et innovantes situées au cœur de clusters mondiaux de la recherche biotechnologique ou en sciences de la vie : Paris-Saclay, France ; Oxford, Royaume-Uni ; Cambridge, États-Unis ; Shanghai, Chine. Ipsen emploie environ 5 400 collaborateurs dans le monde. Ipsen est coté à Paris (Euronext : IPN) et aux États-Unis à travers un programme d'*American Depositary Receipt* (ADR : IPSEY) sponsorisé de niveau I. Le site Internet d'Ipsen est [ipsen.com](http://ipsen.com).

### **Pour plus d'informations :**

#### **Contacts**

#### **Investisseurs**

##### **Craig Marks**

Vice President, Investor Relations  
+44 (0)7584 349 193

##### **Nicolas Bogler**

Investor Relations Manager  
+33 6 52 19 98 92

#### **Médias**

##### **Amy Wolf**

VP, Head of Corporate Brand Strategy  
& Communications  
+41 79 576 07 23

##### **Rachel Reiff**

U.S. Head of Franchise Communications  
+1 908 616 1680

**Anna Gibbins**

Global Head of Franchise Communications,  
Rare Disease  
+44 7717801900

**Ioana Piscociu**

Senior Manager  
Global Media Relations  
+33 6 69 09 12 96

**Avertissement IPSEN**

Les énoncés prospectifs et objectifs contenus dans cette présentation sont basés sur la stratégie de gestion, les opinions et les hypothèses actuelles d'Ipsen. Ces projections et objectifs peuvent être affectés par des risques connus ou non et des imprévus susceptibles d'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 « croit », « 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 objectifs sont notamment fondés sur des données et hypothèses considérées comme raisonnables par Ipsen. Ils prennent en compte des circonstances ou des faits susceptibles de se produire à l'avenir, et non pas exclusivement des données historiques. Les résultats réels pourraient s'avérer substantiellement différents de ces objectifs compte tenu de la matérialisation de certains risques ou incertitudes, notamment le fait qu'un nouveau produit qui semblait prometteur au cours d'une phase préparatoire de développement ou à la suite d'essais cliniques puisse ne jamais être commercialisé ou ne pas atteindre ses objectifs commerciaux, entre autres 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 de développement comprend plusieurs étapes et, lors de chaque étape, le risque est important qu'Ipsen ne parvienne pas à atteindre ses objectifs et en soit conduit à abandonner ses efforts sur un produit dans lequel il a investi des sommes considérables. 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 de ceux-ci seront suffisants pour démontrer le caractère sûr et efficace du produit concerné. Il ne saurait être garanti qu'un médicament recevra les homologations nécessaires ou qu'il rencontre un succès commercial. Les résultats réels pourraient être sensiblement différents de ceux annoncés dans les énoncés prospectifs 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. Ipsen pourrait ne pas être en mesure de tirer avantage des accords conclus. 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 Ipsen peut être confronté et le lecteur est invité à prendre connaissance du Document d'enregistrement universel 2022 du Groupe disponible sur son site web [www.ipсен.com](http://www.ipсен.com).

- 
- 1 Kaplan FS et al. « The medical management of fibrodysplasia ossificans progressiva: current treatment considerations ». Proc Intl Clin Council FOP 1:1-111, 2019.
  - 2 Liljeström M, Pignolo RJ, Kaplan FS. Epidemiology of the Global Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP) Community. J Rare Dis Res Treat. (2020) 5(2): 31-36
  - 3 Pignolo, RJ et al. Bone. 2020; 134:115274.
  - 4 Al Mukaddam M, et al. Val Health 2022;25:S273 (POSA427)
  - 4 Pignolo RJ, Hsiao E, Al Mukaddam M et al. Reduction of New HO in the Open-Label, Phase 3 MOVE Trial of Palovarotene for Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP). J Bone Miner Res. 2022.
  - <sup>6</sup> Government of Canada, Notice Multiple Additions to the Prescription Drug List (PDL). Viewed 30 November 2022, <<https://www.canada.ca/en/health-canada/services/drugs-health-products/drug-products/prescription-drug-list/notices-changes/multiple-additions-2022-01-24.html>>.