



PRESS RELEASE

Ipsen présentera de nouvelles données sur Bylvay® (odévíxibat) lors du congrès annuel ESPGHAN, attestant de son engagement à faire progresser le traitement des maladies cholestatiques rares

- Six abstracts seront présentés pour démontrer l'efficacité et la tolérabilité du médicament expérimental Bylvay dans certaines maladies cholestatiques.
- De nouvelles données mettent en lumière les bénéfices constants de Bylvay en tant que médicament expérimental dans le syndrome d'Alagille et en tant que médicament approuvé dans la cholestase intrahépatique familiale progressive (PFIC), avec des preuves d'améliorations rapides, soutenues et significatives du prurit et du sommeil, ainsi qu'une diminution des taux d'acides biliaires sériques (ABS).
- D'autres données apportent des preuves de modification de l'évolution de la maladie avec une survie à plus long terme du foie natif chez les patients atteints de PFIC.

PARIS, FRANCE, le 17 mai 2023 – Ipsen (Euronext : IPN : ADR : IPSEY) annonce aujourd'hui que de nouvelles données issues de son portefeuille croissant dans les maladies rares seront présentées lors du 55^e congrès annuel de la *European Society for Paediatric Gastroenterology, Hepatology and Nutrition* (ESPGHAN), qui se tiendra à Vienne, en Autriche du 17 au 20 mai 2023. Les six présentations de données, comprenant quatre présentations orales, un poster et un e-poster, démontrent de manière cohérente l'efficacité et la tolérabilité du médicament Bylvay® (odévíxibat) comme traitement potentiel des patients atteints du syndrome d'Alagille (SAG), une maladie cholestatique, et comme traitement des patients atteints de cholestase intrahépatique familiale progressive (PFIC).

« Ces données constituent de nouvelles preuves étayant l'impact potentiel de Bylvay sur les personnes atteintes de maladies cholestatiques, telles que le SAG et la PFIC, pour lesquelles nous avons obtenu des améliorations significatives du prurit et du sommeil, ainsi qu'une diminution des taux d'ABS. Dans la PFIC, une survie prolongée du foie natif suggère que ce traitement a le potentiel de modifier l'évolution de la maladie, » a déclaré le Dr Howard Mayer, Vice-Président exécutif, Directeur de la Recherche et du Développement chez Ipsen.

Les principales données d'étude sur Bylvay qui seront présentées lors du 55^e congrès annuel ESPGHAN sont les suivantes :

- Données supplémentaires issues des études ASSERT de Phase III et ASSERT-EXT révélant que Bylvay a permis une diminution rapide, soutenue et hautement significative du prurit, une baisse des taux d'ABS, ainsi qu'une amélioration du sommeil chez les patients atteints du syndrome d'Alagille.
- Résultats d'étude de l'utilisation de Bylvay chez des patients atteints de la PFIC qui conservent leur foie natif jusqu'à trois ans – données supplémentaires des études PEDFIC 1 et PEDFIC 2.
- Découvertes à l'issue d'une étude comprenant des données du monde réel sur la diarrhée et divers problèmes de qualité de vie que rencontrent les patients PFIC1 après une greffe de foie ainsi que l'impact de l'utilisation de Bylvay.

Suivez Ipsen sur Twitter via @IpsenGroup pour connaître les actualités du Congrès ESPGHAN en utilisant le hashtag #ESPGHAN23.

Présentations

Orale (Abstract 328) : Efficacy and Safety of Odevixibat in Patients with Alagille Syndrome: Top-line Results from Assert, A Phase 3, Double-blind, Randomized, Placebo-controlled Study

Intervenante : Dr Nadia Ovchinsky, Professeure de pédiatrie, Hassenfeld Children's Hospital à NYU Langone, NYU Grossman School of Medicine

Session : Plenary Session: Highest Scoring Abstracts

Date et heure : 18/05 | 11h45-13h15 | Hall A

Orale (Abstract 361) : Efficacy and Safety of Odevixibat in Patients with Alagille Syndrome: Interim Results from The Open-label, Phase 3 Assert-EXT Study

Intervenante : Dr Nadia Ovchinsky, Professeure de pédiatrie, Hassenfeld Children's Hospital à NYU Langone, NYU Grossman School of Medicine

Session : Parallel Session Hepatology – Abstract Session 02

Date et heure : 19/05 | 12h-13h | Hall G

Orale (Abstract 369) : Native Liver Survival in Odevixibat Serum Bile Acid Responders: Data from the PEDFIC Studies in Patients with Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis

Intervenante : Prof. Richard J. Thompson, Hépatologie moléculaire, Institute of Liver Studies, King's College London

Session : Plenary Session: Highest Scoring Abstracts

Date et heure : 19/05 | 8h30-10h | Hall A

Orale (Abstract 179) : Odevixibat Treatment Induces Biliary Bile Acid Secretion in Responsive Patients with Bile Export Pump Deficiency (PFIC2)

Intervenante : Dr. Mark Nomden, Service de Chirurgie pédiatrique, Service de Pédiatrie, Université de Groningue, University Medical Center Groningen, Groningue, Pays-Bas

Intitulé de la présentation : Parallel Session: Hepatology – Abstract Session 02

Date et heure : 19/05 | 12h-13h | Hall G

Poster (Abstract 579) : Odevixibat Treatment in a Patient with Undefined Cholestasis and No Unified Genetic Diagnosis: A Case Report

Intervenante : Dr. Tassos Grammatikopoulos, Institute of Liver Studies, King's College London

Session : Paper Poster Viewing

Date et heure : Poster affiché pendant les heures d'ouverture de l'exposition sur place

E-Poster (Abstract 805) : Odevixibat Therapy After Liver Transplantation in Patients with FIC1-Deficient Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis and Severe Diarrhea: A Retrospective Case Series

Presentateur : Dr. Georg-Friedrich Vogel, Department of Paediatrics I and Institute of Cell Biology, Medical University of Innsbruck

Session : E-Poster Presentations: HEP - Transplantation

Date et heure : 20/05 | 11h50-12h40 | E-Poster Station 1

À propos des études de Phase III PEDFIC et ASSERT

Les essais PEDFIC représentent les plus grands essais jamais réalisés chez des enfants atteints de cholestase intrahépatique familiale progressive (PFIC), un trouble génétique rare qui provoque une maladie hépatique progressive et potentiellement mortelle. PEDFIC 1 est un essai de Phase III randomisé, en double aveugle, versus placebo, visant à évaluer l'efficacité et la tolérance de Bylvy dans la réduction du prurit et des ABS chez les enfants atteints de PFIC. PEDFIC 2 est une étude d'extension ouverte à long

terme de Phase III. Les patients atteints de PFIC présentent un débit biliaire altéré (ou cholestase). L'accumulation de bile qui en résulte dans les cellules du foie provoque une maladie du foie et des symptômes hépatiques, tels que d'intenses démangeaisons, un sommeil de mauvaise qualité, un retard de croissance et une moindre qualité de vie. Les parents et les aidants au sens plus large subissent eux aussi les effets néfastes de la maladie : l'étude internationale PICTURE menée en 2022 a révélé que la PFIC affecte la qualité de vie, les relations et les perspectives de carrière des aidants.

ASSERT est une étude interventionnelle prospective de référence menée sur 32 sites en Amérique du Nord, en Europe, au Moyen-Orient et en Asie-Pacifique. L'essai randomisé, en double aveugle, versus placebo a été conçu pour évaluer le profil de tolérance et l'efficacité de 120 µg/kg/jour de Bylvay pendant 24 semaines pour soulager le prurit chez les patients atteints du SAG. Les critères d'évaluation secondaires ont quant à eux pour but d'évaluer les taux d'ABS ainsi que la sécurité et la tolérance. Dans le cadre de l'essai, des patients âgés de 0 à 17 ans avec un diagnostic de SAG génétiquement confirmé ont été recrutés. Dans l'analyse principale, l'étude a atteint le critère d'évaluation principal avec une réduction statistiquement significative du prurit telle que mesurée par le score de grattage PRUCISION Observer-Reported Outcome (échelle de 0 à 4 points), en partant du début de la période d'étude jusqu'au mois 6 (semaines 21 à 24), par rapport au groupe placebo ($p=0,002$). Plus de 90 % des patients ont rapporté une évolution du prurit au cours de l'étude, définie comme une baisse d'au moins 1 point sur l'échelle à tout moment. L'étude a également atteint le critère d'évaluation secondaire clé avec une réduction statistiquement significative de la concentration sérique d'acides biliaires entre le début de la période d'étude et la moyenne des semaines 20 et 24 (par rapport au groupe placebo, $p = 0,001$). Des améliorations statistiquement significatives de plusieurs paramètres liés au sommeil ont été observées dès les semaines 1 à 4 par rapport aux patients sous placebo, avec une amélioration continue jusqu'à la semaine 24. Aucun patient n'a interrompu l'essai. Bylvay a été bien toléré, avec une incidence globale d'effets indésirables similaire à celle du placebo et une faible incidence de diarrhée liée au médicament (11,4 % contre 5,9 % pour le placebo).

À propos de Bylvay (odévixibat)

Bylvay (odévixibat) est un puissant inhibiteur non systémique du transport iléal des acides biliaires (IBATi). Le médicament a une exposition systémique minimale et agit localement sur l'intestin grêle. Il est approuvé aux États-Unis – où il bénéficie d'une exclusivité orpheline – pour le traitement du prurit chez les patients âgés de trois mois et plus atteints de tous les types de PFIC. Bylvay a été lancé pour la première fois en tant qu'option de traitement pour les patients atteints de PFIC aux États-Unis en 2021, où il est soutenu par un programme visant à faciliter l'accès au traitement et à accompagner les patients. Bylvay est également approuvé au sein de l'Union européenne pour le traitement de la PFIC chez les patients âgés de six mois et plus. Le médicament a été lancé dans plus de neuf pays et a obtenu un remboursement par les services publics sur plusieurs marchés majeurs, dont l'Allemagne, l'Italie, le Royaume-Uni, la France et la Belgique.

Voir les informations relatives à la prescription au sein de l'Union européenne ici : [Bylvay, INN-odevixibat \(europa.eu\)](https://www.europharm.com/medicines/odexib/odexib-eu)

Voir les informations relatives à la prescription aux États-Unis : [ici](https://www.fda.gov/oc/odexib) (fda.gov).

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](https://www.ipsen.com).

Le 3 mars 2023, Ipsen a finalisé l'acquisition d'Albireo Pharma Inc, une entreprise innovante de premier plan dans le domaine des modulateurs d'acides biliaires pour le traitement des maladies hépatiques rares, et titulaire de l'autorisation de mise sur le marché de Bylvay.

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

Anna Gibbins

Global Head of Franchise Communications, Rare Disease
+44 (0)7717801900

Amy Wolf

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

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.ipsen.com.