

Ipsen se félicite de la publication par l'Union européenne de l'évaluation clinique conjointe concernant Ojemda® (tovorafenib)

- Ojemda® (tovorafenib) devient le premier médicament à avoir franchi toutes les étapes du processus d'évaluation clinique conjointe de l'Union européenne
- L'évaluation confirme les difficultés liées aux données comparatives dans le cas des gliomes pédiatriques de bas grade récidivants ou réfractaires présentant une altération du gène BRAF, pour lesquels il n'existe souvent pas de traitement de référence, illustrant ainsi le besoin médical non satisfait important pour cette tumeur infantile rare et chronique
- Ojemda est approuvé par la Commission européenne en tant que premier traitement ciblé pour les patients atteints d'un gliome pédiatrique de bas grade récidivant ou réfractaire, indépendamment de la présence d'une altération du gène BRAF

PARIS, FRANCE, 9 JUIN 2026 – Ipsen (Euronext: IPN; ADR: IPSEY) se félicite aujourd'hui de la publication du rapport d'évaluation clinique conjointe (JCA) de l'Union européenne (UE) concernant Ojemda® (tovorafenib) pour le traitement des patients atteints d'un gliome pédiatrique de bas grade (pLGG) récidivant ou réfractaire présentant une altération du gène BRAF.¹ Ojemda est le premier médicament à avoir fait l'objet d'une évaluation complète dans le cadre du nouveau dispositif d'évaluation des technologies de santé de l'UE.

« Ojemda représente une avancée tant attendue pour une maladie pédiatrique rare : il s'agit d'un traitement ciblé développé spécifiquement pour les enfants atteints d'un pLGG récidivant ou réfractaire avec mutation du gène BRAF », a déclaré Josep Catlla, Vice-Président Exécutif et Directeur des Affaires Corporate chez Ipsen. « Dans un domaine où les options sont limitées et où peu de médicaments sont conçus pour les enfants, cette innovation reflète à la fois la complexité scientifique de la maladie et le besoin important de nouvelles thérapies. »

Le rapport de la JCA souligne l'absence de comparateur clinique clairement établi pour une grande partie de la population de patients atteints de pLGG, mettant en évidence le besoin non satisfait important dans un contexte où les traitements approuvés sont très limités, ainsi que les défis liés à la production de données comparatives dans des cohortes de patients petites et hétérogènes. Ces conclusions font écho aux réalités de la pratique clinique et renforcent le besoin constant de nouvelles options thérapeutiques pour les enfants et les familles touchés par cette maladie.

« Dans le domaine des maladies pédiatriques rares, comme les gliomes de bas grade (pLGG) récidivants ou réfractaires, qui se caractérisent par des populations de patients très restreintes et biologiquement hétérogènes, les essais à bras unique constituent souvent l'approche la plus appropriée et la plus éthique », a déclaré le professeur Olaf Witt, directeur du service d'oncologie pédiatrique translationnelle au Centre de cancérologie pédiatrique Hopp de Heidelberg, au Centre allemand de recherche sur le cancer et à l'hôpital universitaire de Heidelberg. « Les études comparatives randomisées sur le pLGG r/r sont souvent irréalisables en raison du nombre limité de

patients disponibles, tandis que le fait de priver les patients d'un traitement potentiellement bénéfique soulève des questions éthiques. Dans ce contexte, il est essentiel de garantir un accès rapide à l'innovation sans compromettre la rigueur scientifique. »

Les données de l'étude FIREFLY-1, qui ont étayé l'autorisation réglementaire du tovorafenib dans l'UE, ont montré des réponses tumorales cliniquement significatives et durables, associées à un profil de sécurité gérable chez les patients atteints de pLGG ayant déjà reçu un traitement^{ii,iii}. Pour ces enfants, la valeur thérapeutique va au-delà des critères d'évaluation cliniques traditionnels pour inclure le contrôle des symptômes, le développement physique et neurologique à long terme, la qualité de vie et la réduction de la charge pesant sur les familles et les soignants. Le délai avant le traitement suivant, un critère d'évaluation prédéfini dans l'étude FIREFLY-1, est particulièrement pertinent dans ce contexte. Après plus de trois ans de suivi, le délai médian avant que les patients aient nécessité un traitement ultérieur était de 42,6 mois (IC à 95 % : 36,7–non estimable). Ces données fournissent des informations sur la durée du contrôle de la maladie après le traitement et mettent en évidence le potentiel d'intervalles sans traitement prolongés – un aspect important à prendre en compte dans la prise en charge à long terme de cette affection pédiatrique chronique.

Ipsen soutient l'ambition de la JCA de l'UE visant à renforcer la collaboration et la cohérence entre les États membres. Nous restons déterminés à collaborer avec les parties prenantes européennes et nationales afin de veiller à ce que les cadres d'accès évoluent au rythme des avancées scientifiques et reflètent les réalités de l'oncologie pédiatrique rare. Nous sommes impatients de travailler avec les États membres et la communauté pLGG afin de faciliter le remboursement rapide et l'accès à cette innovation pour les patients éligibles.

À propos du tovorafenib

Le tovorafenib (Ojemda[®]) est un inhibiteur de type II de la kinase RAF ciblant les kinases BRAF V600 mutées, BRAF de type sauvage et CRAF de type sauvage. Il cible les voies de signalisation régulant la croissance et la division cellulaires, ce qui peut ralentir, arrêter ou réduire la taille des tumeurs.

En avril 2026, Ipsen a obtenu une autorisation de mise sur le marché conditionnelle de l'UE pour le tovorafenib en monothérapie dans le traitement des patients âgés de 6 mois et plus atteints d'un gliome pédiatrique de bas grade présentant une fusion ou un réarrangement BRAF, ou une mutation BRAF V600, et dont la maladie a progressé après un ou plusieurs traitements systémiques antérieurs.^{iv}

Le 23 avril 2024, la Food and Drug Administration a accordé à Day One Biopharmaceuticals une autorisation accélérée pour le tovorafenib chez les patients âgés de 6 mois et plus atteints d'un gliome pédiatrique de bas grade (LGG) récidivant ou réfractaire présentant une fusion ou un réarrangement du gène BRAF, ou une mutation BRAF V600.^v Il s'agit de la première autorisation de la FDA pour un traitement systémique destiné aux patients atteints d'un LGG pédiatrique présentant des réarrangements du gène BRAF, y compris des fusions. Le maintien de l'autorisation pour cette indication peut être subordonné à la vérification et à la description du bénéfice clinique dans le cadre d'un essai de confirmation.

Ces autorisations se fondaient, en partie, sur le taux de réponse et la durée de la réponse selon plusieurs critères d'évaluation de la réponse : les critères RANO-HGG (Response Assessment in Neuro-Oncology High-Grade Glioma), les critères RAPNO-LGG (Response Assessment in Pediatric Neuro-Oncology Low-Grade Glioma) et les critères RANO-LGG (Response Assessment for Neuro-Oncology Low-Grade Glioma).

Le tovorafénib est en cours d'évaluation en tant que traitement pour les patients âgés de moins de 25 ans atteints d'un gliome pLGG présentant une fusion ou un réarrangement du gène BRAF, ou une mutation BRAF V600 nécessitant un traitement de première ligne (phase III FIREFLY-2/LOGGIC). Des informations supplémentaires sur l'étude FIREFLY-2 sont disponibles sur ClinicalTrials.gov, sous l'identifiant NCT05566795, et sur CTIS sous le numéro EUCT 2024-510742-13-00.

Le tovorafenib a obtenu la désignation de médicament orphelin en Russie, à Taïwan, au Japon, en Corée du Sud et en Australie.

Ipsen a acquis les droits hors États-Unis du tovorafenib auprès de Day One Biopharmaceuticals Inc. en 2024.

À propos du gliome pédiatrique de bas grade

Le gliome pédiatrique de bas grade (pLGG) est une tumeur cérébrale rare chez l'enfant. Plus de 800 nouveaux cas de pLGG présentant une altération du gène BRAF sont identifiés chaque année dans l'Union européenne.^{vi} BRAF est le gène le plus fréquemment altéré dans le pLGG, ce qui inclut deux types principaux d'altérations du gène BRAF : une fusion du gène BRAF et la mutation BRAF V600E.^{vii} Ces altérations du gène BRAF représentent plus de 50 % des cas de pLGG dans le monde et, jusqu'à récemment, il n'existait aucun traitement approuvé pour les patients atteints d'un pLGG induit par des fusions du gène BRAF.^{viii}

Le pLGG peut être chronique et implacable, les patients souffrant d'effets secondaires graves liés à la fois à la tumeur et au traitement, qui peut inclure une chimiothérapie et une radiothérapie.^{ix} Ces effets secondaires peuvent avoir un impact à long terme sur leur vie et peuvent inclure une faiblesse musculaire, une perte de la vision et des difficultés d'élocution. Ce type de tumeur présente un risque élevé de progression, et de nombreux enfants atteints de pLGG nécessitent un traitement à long terme.^x Si la plupart des enfants atteints de pLGG survivent à leur cancer, ceux qui ne bénéficient pas d'une résection complète après la chirurgie peuvent devoir faire face à des années de traitement.

A 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).

Ipsen Contacts

Investisseurs

Henry Wheeler
Khalid Deojee

henry.wheeler@ipsen.com
khalid.deojee@ipsen.com

+33 7 66 47 11 49
+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/ou 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 inexacts, 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.

[i] Rapport d'évaluation clinique conjointe (JCA) concernant Ojemda® (tovorafenib) pour le traitement des patients atteints d'un gliome pédiatrique de bas grade (pLGG) récidivant ou réfractaire présentant une altération du gène BRAF.

[ii] Kilburn LB, et al. Le tovorafénib, inhibiteur de type II de la RAF, dans le gliome pédiatrique de bas grade récidivant/réfractaire : l'essai de phase 2 FIREFLY-1. Nat Med. 2024;30(1):207-217.

[iii] Kline C, et al. Neuro-Oncology Pediatrics. Avril 2026

[iv] Agence européenne des médicaments (EMA) Ojemda® (tovorafenib) Résumé des caractéristiques du produit (RCP).

[v] OJEMDA (tovorafenib) Informations de prescription aux États-Unis.

[vi] Les estimations de l'incidence et de la prévalence annuelles pour la population de patients concernée dans l'UE-4 + Royaume-Uni sont basées sur les calculs d'Ipsen à partir de données accessibles au public (Eurostat, population âgée de moins de 25 ans ; Global Burden of Disease 2019 ; Desandes et al. Incidence et survie des enfants atteints de tumeurs primitives du système nerveux central dans le Registre national français des tumeurs solides de l'enfant. Neuro Oncol. Juillet 2014 ; 16(7) : 975-83. doi : 10.1093/neuonc/not309 ; Qaddoumi et al. Résultats et caractéristiques pronostiques des gliomes pédiatriques : une revue de 6 212 cas issus de la base de données Surveillance, Epidemiology, and End Results. Cancer. 15 déc. 2009 ; 115(24) : 5761-70. doi : 10.1002/cncr.24663).

[vii] Ryall S, et al. Acta Neuropathol Commun. 2020 ; 8(1) : 30.

[viii] Ryall S, et al. Analyse moléculaire et clinique intégrée de 1 000 gliomes pédiatriques de bas grade. Cancer Cell. 2020 ; 37(4) : 569-583.e5.

[ix] Dana-Farber Cancer Institute. Gliomes de bas grade chez l'enfant. Disponible à l'adresse : <https://www.dana-farber.org/cancer-care/types/childhood-low-grade-gliomas>. Consulté en juin 2026.

[x] Pediatric Brain Tumor Foundation. Rapport « Voice of the Patient ». 5 août 2024. Consulté en juin 2026.