

## COMMUNIQUÉ DE PRESSE

### La FDA accorde la désignation d'Orphan Drug à GNS561 pour le traitement du cholangiocarcinome

**Lille (France), Cambridge (Massachusetts, États-Unis), le 13 septembre 2022 - GENFIT (Nasdaq et Euronext : GNFT)**, société biopharmaceutique de stade clinique avancé engagée dans l'amélioration de la vie des patients atteints de sévères maladies chroniques du foie, annonce aujourd'hui que la Food and Drug Administration (FDA) américaine a accordé la désignation d'*Orphan Drug* à GNS561<sup>1</sup> (ezurpimtrostat), un inhibiteur de PPT1 bloquant l'autophagie de stade clinique innovant.

Le cholangiocarcinome est un cancer rare du foie avec une mortalité élevée et des options de traitements limitées. Il apparaît plus fréquemment chez les personnes de plus de 50 ans.

Le GNS561 (ezurpimtrostat) est un inhibiteur de PPT-1 (Palmitoyl Protein Thioesterase-1) qui bloque l'autophagie. L'autophagie est activée dans les cellules tumorales en réponse à certaines conditions, en raison de la croissance des cellules tumorales dans les cancers avancés. Ce composé a fait l'objet d'études pré-cliniques et d'un essai clinique de Phase 1b qui a confirmé le rationnel de traiter le cholangiocarcinome. Le démarrage d'un essai clinique de Phase 2 est prévu pour le quatrième trimestre 2022, avec une première consultation de patient attendue au premier trimestre 2023.

**Dr Mark Yarchoan, Professeur d'oncologie à l'hôpital John Hopkins Medicine (Baltimore, Maryland)** a commenté : « *Le cholangiocarcinome est un cancer rare avec un taux de mortalité élevé. Les patients ont peu d'options thérapeutiques, notamment après le traitement de première intention. C'est pourquoi il est urgent de mettre à disposition des patients de nouvelles solutions thérapeutiques, et c'est également l'une des raisons pour laquelle la FDA a accordé la désignation d'Orphan Drug à GNS561. Il existe de vraies opportunités pour développer de nouvelles thérapies de seconde intention dans le cholangiocarcinome, et GNS561 représente non seulement un candidat solide de seconde intention, mais aussi de l'espoir pour les patients.* »

#### À PROPOS DE GNS561

Le GNS561 est un inhibiteur de PPT-1 (Palmitoyl Protein Thioesterase-1) qui bloque l'autophagie. L'autophagie est activée dans les cellules tumorales en réponse à certaines conditions, en raison d'une croissance des cellules tumorales dans les cancers avancés. Une des organelles cellulaires clé impliquée dans le processus d'autophagie est le lysosome. En pénétrant dans les lysosomes et en se liant à sa cible, le GNS561 a une activité inhibitrice importante sur l'autophagie de stade avancé, ce qui induit la mort des cellules tumorales.

## COMMUNIQUÉ DE PRESSE

### À PROPOS DU CHOLANGIOMYOCARCINOME

Le cholangiocarcinome est un type de cancer qui se forme dans le conduit biliaire qui transporte la bile. Le cholangiocarcinome apparaît plus fréquemment chez les personnes de plus de 50 ans. Ce cancer se divise en cholangiocarcinome intra-hépatique et extra-hépatique selon la localisation de la tumeur dans le conduit biliaire. Le cholangiocarcinome est souvent diagnostiqué lorsqu'il est déjà avancé, ce qui rend difficile une bonne efficacité des traitements. Certains facteurs de risque de l'inflammation chronique et de l'augmentation de la régénération cellulaire ont été établis tels que la Cholangite Sclérosante Primitive, les maladies cholestatiques du foie, la distomatose hépatique, les kystes du tractus biliaire, les lithiases hépatiques et les toxines. Les options de traitement sont limitées et associées à un taux élevé de récurrence tumorale et un délai de survie court.

### À PROPOS DE GENFIT

GENFIT est une société biopharmaceutique de stade clinique avancé engagée dans l'amélioration de la vie des patients atteints de maladies chroniques et graves du foie dont les besoins médicaux restent largement insatisfaits. GENFIT est pionnier dans la recherche et développement dans le domaine des maladies du foie avec une histoire riche et un héritage scientifique solide de plus de deux décennies. Grâce à son expertise dans le développement de molécules à haut potentiel des stades précoces jusqu'aux stades avancés de développement et de pré-commercialisation, GENFIT dispose aujourd'hui d'un portefeuille diversifié et en pleine expansion de solutions thérapeutiques et diagnostiques innovantes.

La R&D de GENFIT se focalise sur trois franchises : les maladies cholestatiques, l'ACLF (Acute on Chronic Liver Failure ou Décompensation Aiguë de la Cirrhose) et le diagnostic de la NASH. Au sein de sa franchise maladies cholestatiques, l'essai clinique de Phase 3, ELATIVE™, évaluant élafibranol<sup>1</sup> chez les patients atteints de Cholangite Biliaire Primitive (CBP), est actuellement en cours, après une étude de Phase 2 concluante. Les premières données devraient être annoncées deuxième trimestre 2023. En 2021, GENFIT a signé un accord de licence exclusif avec Ipsen afin de développer, fabriquer et commercialiser élafibranol dans la CBP et d'autres indications.<sup>2</sup> GENFIT

---

<sup>1</sup> Elafibranol et GNS561 sont des composés expérimentaux qui n'ont pas été revus et n'ont pas reçu d'approbation d'aucune autorité réglementaire

<sup>2</sup> A l'exception de la Chine, Hong Kong, Taiwan, Macau où Terns Pharmaceuticals détient les droits de licence exclusifs pour le développement et la commercialisation d'elafibranol

## COMMUNIQUÉ DE PRESSE

développe également le composé GNS561<sup>1</sup>, suite à l'acquisition des droits exclusifs dans cette indication auprès de Genoscience Pharma en 2021<sup>3</sup>. Dans l'ACLF, GENFIT a lancé une étude de Phase 1 évaluant nitazoxanide avec des résultats attendus dès le troisième trimestre 2022. Dans le cadre de sa franchise de solutions diagnostiques, la Société a signé un accord de licence avec Labcorp en 2021 afin de commercialiser NASHnext®, le test diagnostique basé sur la technologie diagnostique propriétaire de GENFIT NIS4® pour identifier les patients atteints de NASH dite « à risque ».

GENFIT, installée à Lille, Paris et Cambridge, MA (États-Unis), est une société cotée sur le Nasdaq Global Select Market et sur le marché réglementé d'Euronext à Paris, Compartiment B (Nasdaq et Euronext : GNFT). En 2021, Ipsen est devenu l'un des actionnaires les plus importants de GENFIT avec une prise de participation de 8% au capital de la Société. [www.genfit.fr](http://www.genfit.fr)

### AVERTISSEMENT

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives à propos de GENFIT, y compris au sens où l'entend le Private Securities Litigation Reform Act de 1995 et en particulier des déclarations prospectives relatives au calendrier prévisionnel de l'essai clinique de GNS561 de Phase 2 dans le cholangiocarcinome, au délai envisagé pour le recrutement du premier patient et à la capacité du mécanisme d'action de GNS561 à répondre à des besoins non-satisfaits liés au cholangiocarcinome. L'utilisation de certains mots, comme tels que « considérer », « envisager », « penser », « avoir pour objectif », « s'attendre à », « entendre », « devoir », « ambitionner », « estimer », « croire », « souhaiter », « pouvoir », « permettre », « viser », « encourager », « être confiant » ou, le cas échéant, la forme négative de ces mêmes termes, ou toute autre variante ou terminologie similaire a pour but d'identifier ces déclarations prospectives. Bien que la Société considère que ses projections sont basées sur des hypothèses et attentes raisonnables de sa Direction Générale, ces déclarations prospectives peuvent être remises en cause par un certain nombre d'aléas et d'incertitudes connus ou inconnus, ce qui pourrait donner lieu à des résultats substantiellement différents de ceux décrits, induits ou anticipés dans lesdites déclarations prospectives. Ces aléas et incertitudes comprennent, parmi d'autres, les incertitudes inhérentes à la recherche et développement, y compris dans le domaine des biomarqueurs, au progrès et aux résultats des essais cliniques prévus et en cours, aux examens et autorisations d'autorités réglementaires concernant ses candidats-médicaments et solutions diagnostiques, à la fluctuation des devises, à la capacité de la Société à continuer à lever des fonds pour son développement, ainsi qu'à ceux développés au Chapitre 2 « Facteurs de risque et contrôle interne » du Document d'Enregistrement

---

<sup>3</sup> L'accord inclut la commercialization et le développement aux États-Unis, Canada et en Europe, y compris au Royaume-Uni et en Suisse

## COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Universel 2021 de la Société déposé auprès de l'Autorité des marchés financiers (« **AMF** ») le 29 avril 2022 sous le numéro D.22-0400, disponible sur les sites Internet de GENFIT ([www.genfit.fr](http://www.genfit.fr)) et de l'AMF ([www.amf-france.org](http://www.amf-france.org)) et à ceux développés dans les documents publics et rapports déposés auprès de la Securities and Exchange Commissions (« **SEC** ») américaine, y compris le Rapport Annuel Form 20-F déposé auprès de la SEC le 29 avril 2022. De plus, même si les résultats, la performance, la situation financière et la liquidité de la Société et le développement du secteur industriel dans lequel elle évolue sont en ligne avec de telles déclarations prospectives, elles ne sauraient être prédictives de résultats ou de développements dans le futur. Ces déclarations prospectives ne sont valables qu'à la date de publication de ce document. Sous réserve de la réglementation applicable, la Société ne prend aucun engagement de mise à jour ou de révision des informations contenues dans ce communiqué, que ce soit en raison de nouvelles informations, d'évènements futurs ou autres.

### CONTACT

**GENFIT** | Investisseurs

Relations Investisseurs | Tel : +33 3 20 16 40 00 | [investors@genfit.com](mailto:investors@genfit.com)

**RELATIONS PRESSE** | Media

Bruno ARABIAN – Ulysse Communication | Tel : 06 87 88 47 26 | [barabian@ulyse-communication.com](mailto:barabian@ulyse-communication.com)

Stephanie BOYER – GENFIT | Tel : 03 20 16 40 00 | [stephanie.boyer@genfit.com](mailto:stephanie.boyer@genfit.com)