

Odiparcil d'Inventiva reçoit la désignation de médicament orphelin par l'Agence européenne des médicaments pour le traitement de la MPS VI

- ▶ La désignation de médicament orphelin a été reçue de la FDA plus tôt ce mois-ci
- ▶ Les désignations de médicament orphelin de l'EMA et de la FDA valident le potentiel d'odiparcil pour améliorer les options thérapeutiques dans le traitement de la MPS VI
- ▶ L'étude de phase IIa iMProveS dans la MPS VI devrait démarrer comme prévu avant fin 2017

Daix (France), le 29 Août 2017 – 07h30 CET – Inventiva, société biopharmaceutique spécialisée dans le développement de traitements innovants, notamment contre la fibrose, annonce aujourd'hui que l'Agence européenne du médicament (EMA) a rendu un avis favorable pour la désignation d'odiparcil (anciennement IVA336) comme médicament orphelin pour le traitement de la MPS VI.

« Cette décision pourrait accélérer la mise à disposition d'une nouvelle option thérapeutique pour le traitement de la MPS VI dont les patients ont vraiment besoin », déclare Christine Lavery, Présidente de la UK MPS Society.

« Odiparcil pourrait changer radicalement le traitement des patients atteints de MPS VI, » ajoute le Professeur Chris Hendriksz, de FYMCA Medical Ltd. et de l'Université de Pretoria en Afrique du Sud. *« Je me réjouis de l'étude clinique de phase IIa à venir qui pourrait prouver l'efficacité d'odiparcil en monothérapie. »*

« Nous avons reçu il y a peu le statut de médicament orphelin aux États-Unis et nous venons d'obtenir cette désignation également pour l'Europe. Nous poursuivons ainsi avec succès la mise en œuvre de notre stratégie pour la reconnaissance d'odiparcil par les autorités de santé. Il ne fait aucun doute que les données précliniques récentes que nous avons générées, démontrant l'action thérapeutique d'odiparcil dans des organes où les thérapies enzymatiques de substitution sont inefficaces ou d'une efficacité limitée, ont été décisives pour convaincre les autorités de santé de délivrer ces désignations de médicament orphelin. Ces désignations confirment que les autorités de santé partagent notre opinion selon laquelle odiparcil pourrait améliorer les options thérapeutiques existantes pour le traitement de la MPS VI », conclut Pierre Broqua, co-fondateur et Directeur Scientifique d'Inventiva.

La MPS VI (syndrome de Maroteaux-Lamy) est une maladie génétique rare et dégénérative qui touche les enfants avec une prévalence estimée à 1/225 000 naissances vivantes. Il n'existe aucun traitement contre la MPS VI et les options thérapeutiques existantes comme les thérapies enzymatiques de substitution (ERT) ou la greffe de cellules souches hématopoïétiques (HSCT) laissent les patients avec un fort besoin médical non satisfait.

Odiparcil est un médicament par voie orale développé pour le traitement des MPS I, II, et VI. Inventiva lance actuellement une étude clinique de Phase IIa, iMProveS (improve MPS treatment), qui devrait recruter son premier patient avant la fin de l'année. L'étude clinique iMProveS est une étude d'une durée de 26 semaines destinée à démontrer l'innocuité, la tolérance et l'efficacité d'odiparcil chez 24 patients adultes atteints de MPS VI. Elle sera conduite dans deux centres cliniques européens. En cas de résultats positifs, Inventiva prévoit la réalisation d'une étude pivot de Phase III avec odiparcil dans la MPS VI.

À propos de la désignation de médicament orphelin

L'Agence européenne des médicaments (EMA) accorde la désignation de « médicament orphelin » pour soutenir le développement de médicaments destinés au traitement, prévention ou diagnostic de maladies entraînant une menace pour la vie ou une invalidité chronique et qui ne touchent pas plus de 5 individus sur 10 000 dans l'Union Européenne. La désignation de « médicament orphelin » permet ainsi aux entreprises de recevoir des incitations au développement, comme une assistance à l'élaboration de protocoles, une réduction des coûts réglementaires, et jusqu'à dix ans d'exclusivité dans l'Union Européenne une fois l'autorisation de mise sur le marché délivrée dans l'indication visée.

À propos de la MPS VI

La MPS VI (syndrome de Maroteaux-Lamy), est une maladie génétique rare dégénérative de l'enfant caractérisée par le déficit en N-acétylgalactosamine 4-sulfatase (arylsulfatase B ; ASB) qui conduit à une accumulation de sulfate de dermatane et de sulfate de chondroïtine. Les patients présentent un visage avec des traits grossiers, une petite stature, des opacités cornéennes, une surdit , une dysostose multiple, une h patospl nom galie, une valvulopathie cardiaque et une alt ration de la fonction respiratoire sans d ficit intellectuel. Comme pour les autres MPS, le d lai d'apparition, la vitesse de progression et l' tendue de la maladie peuvent varier entre les individus atteints de la maladie. L'esp rance de vie des patients atteints d'une MPS VI non trait e est d'une vingtaine d'ann es pour les patients pr sentant les formes s v res de la maladie et davantage pour les patients souffrant des formes les moins s v res.

La pr valence de la MPS VI est estim e   1/225 000 naissances vivantes et varie selon les pays. Il n'existe aucun traitement contre la MPS VI et les options th rapeutiques existantes comme les th rapies enzymatiques de substitution (ERT) ou la greffe de cellules souches h matopo itiques (HSCT) laissent les patients avec un fort besoin m dical non satisfait.

À propos d'Inventiva : www.inventivapharma.com

Inventiva est une soci t  biopharmaceutique sp cialis e dans le d veloppement de m dicaments agissant sur les r cepteurs nucl aires, les facteurs de transcription et la modulation  pig n tique. Inventiva ouvre de nouvelles voies th rapeutiques innovantes dans le domaine des maladies fibrotiques, de l'oncologie et des maladies orphelines pour lesquels le besoin m dical est important.

Son produit phare, IVA337, est un candidat m dicament qui dispose d'un m canisme d'action unique passant par l'activation de l'ensemble des PPAR (r cepteurs activ s par les prolif rateurs de peroxyosomes) alpha, gamma et delta qui jouent un r le fondamental dans le contr le du processus fibrotique. Son action anti-fibrotique permet notamment de cibler deux indications   fort besoin m dical : la NASH, une pathologie s v re du foie en fort d veloppement et qui touche d j  aux  tats-Unis plus de 30 millions de personnes, et la scl rodermie syst mique, une maladie dont le taux de mortalit  est tr s  lev  et sans aucun traitement approuv    ce jour.

Inventiva d veloppe en parall le un second programme clinique avec odiparcil, un candidat m dicament pour le traitement de trois formes de mucopolysaccharidoses (MPS I ou syndromes de Hurler/Sheie, MPS II ou syndrome de Hunter et MPS VI ou syndrome de Maroteaux-Lamy) ainsi qu'un portefeuille de projets dans le domaine de l'oncologie.

Inventiva s' st entour e de partenaires de renom dans le secteur de la recherche tels que l'Institut Curie. Deux partenariats strat giques ont  galement  t  mis en place avec AbbVie et Boehringer Ingelheim, qui pr voient notamment le versement   Inventiva de paiements en fonction de l'atteinte d'objectifs pr cliniques, cliniques, r glementaires et commerciaux ainsi que des redevances sur les ventes des produits d velopp s dans le cadre de ces partenariats.

Inventiva emploie   ce jour plus de 100 personnes hautement qualifi es et b n ficie d'installations de R&D de pointe achet es au groupe pharmaceutique international Abbott regroupant, pr s de Dijon, une chimioth que de plus de 240 000 mol cules et des plateformes en biologie, chimie, ADME et pharmacologie.

Contacts**Inventiva**

Frédéric Cren
Président et Directeur Général
info@inventivapharma.com
03 80 44 75 00

NewCap

Julien Perez/Mathilde Bohin
Relations investisseurs
inventiva@newcap.eu
01 44 71 98 52

NewCap

Nicolas Merigeau/Arthur Rouillé
Relations Médias
inventiva@newcap.eu
01 44 71 94 98

Avertissement

Certaines déclarations figurant dans ce document ne se rapportent pas à des faits historiquement avérés, mais constituent des projections, estimations et autres données à caractère prévisionnel basées sur l'opinion des dirigeants. Ces déclarations traduisent les opinions et hypothèses qui ont été retenues à la date à laquelle elles ont été faites. Elles sont sujettes à des risques et incertitudes connus et inconnus à raison desquels les résultats futurs, la performance ou les événements à venir peuvent significativement différer de ceux qui sont indiqués ou induits dans ces déclarations.

Nous vous invitons à vous référer au document de référence enregistré auprès de l'Autorité des Marchés Financiers le 26 avril 2017 sous le numéro R.17-025 pour obtenir des informations complémentaires concernant ces facteurs, risques et incertitudes.

Inventiva n'a aucunement l'intention ni l'obligation de mettre à jour ou de modifier les déclarations à caractère prévisionnel susvisées. Inventiva ne peut donc être tenue pour responsable des conséquences pouvant résulter de l'utilisation qui serait faite de ces déclarations.