



Communiqué de presse

TxCell reçoit la désignation de médicament orphelin aux Etats-Unis pour son produit Col-Treg dans le traitement de l'uvéite non-infectieuse chronique

Une première étude clinique est prévue en 2016, avec de premiers résultats attendus fin 2017

Valbonne, France, le 14 septembre 2015 – TxCell SA (Euronext Paris : FR0010127662 – TXCL), société de biotechnologies qui développe des immunothérapies cellulaires T personnalisées innovantes, utilisant des cellules T régulatrices spécifiques d'antigène (Ag-Tregs) pour le traitement de maladies inflammatoires et auto-immunes chroniques, annonce aujourd'hui que l'*Office of Orphan Products Development* de la FDA (agence américaine du médicament) a désigné Col-Treg, le produit candidat de TxCell, comme médicament orphelin. Col-Treg est une immunothérapie cellulaire T constituée de cellules T régulatrices spécifiques du collagène II, pour le traitement de l'uvéite non-infectieuse chronique. Ceci fait suite à la désignation de médicament orphelin déjà obtenue en Europe.

L'uvéite auto-immune est une pathologie inflammatoire grave de l'œil qui entraîne souvent des dommages visuels permanents. L'uvéite est l'une des principales causes de cécité dans le monde développé. Aucun traitement n'est actuellement approuvé pour les patients qui deviennent réfractaires aux produits corticostéroïdes.

« Cette désignation de médicament orphelin aux Etats-Unis et en Europe, est une nouvelle étape importante pour le développement de Col-Treg, une nouvelle approche thérapeutique prometteuse pour le traitement de l'uvéite auto-immune, issue de notre plateforme ASTRIA. Ce statut va nous permettre d'accélérer le développement de Col-Treg, pour le bénéfice final des patients qui souffrent de l'uvéite auto-immune, cette maladie très invalidante de l'œil. TxCell projette de démarrer une première étude clinique avec Col-Treg en 2016, avec de premiers résultats attendus pour fin 2017, » commente Stéphane Boissel, Directeur général de TxCell.

La désignation de médicament orphelin par la FDA octroie un statut spécial aux médicaments et aux produits biologiques destinés à traiter, diagnostiquer ou prévenir des maladies rares, qui sont définies comme touchant moins de 200 000 personnes aux Etats-Unis. Cette désignation offre notamment une exclusivité commerciale de 7 ans, ainsi que d'autres mesures incitatives, dont des subventions et des crédits d'impôt. Ceci s'ajoute aux bénéfices apportés par la désignation de médicament orphelin en Europe, qui incluent notamment une exclusivité commerciale de 10 ans suite à la mise sur le marché du produit, ainsi qu'une assistance à l'élaboration de protocoles et des exonérations ou réductions de frais réglementaires pendant le développement du produit.

A propos de Col-Treg

Col-Treg (cellules Col-Treg) est un produit d'immunothérapie cellulaire T personnalisée, basé sur les propriétés régulatrices des lymphocytes T régulateurs autologues et spécifiques du collagène de type II. Une première étude clinique dans l'uvéite auto-immune, une maladie rare de l'œil, devrait démarrer en 2016. Les premiers résultats de cette étude sont attendus fin 2017. Suite à leur administration (par voie intraveineuse), les cellules Col-Treg migrent vers le site d'inflammation où elles sont activées par leur antigène spécifique. Les cellules Col-Treg agissent alors localement pour traiter l'inflammation, en libérant des facteurs d'immunosuppression, par contacts cellulaires et par une activité cytotoxique. Col-Treg a reçu la désignation de médicament orphelin en Europe et aux Etats-Unis et est classé Médicament de Thérapie Innovante (MTI) par l'Agence Européenne du Médicament (EMA).

A propos de l'uvéite auto-immune

L'uvéite auto-immune est une pathologie inflammatoire grave de l'œil qui entraîne souvent des dommages visuels permanents. L'uvéite est une maladie rare avec une prévalence autour de 35-50/100 000¹ ; l'uvéite auto-immune représentant 80 à 90 % des cas². En dépit de sa rareté, cette maladie auto-immune est à l'origine de 10 à 15 % des cas de cécité légale dans les pays développés. Cette pathologie conduit également à 30 000 nouveaux cas de cécité par an aux États-Unis² et affecte environ 168 000 personnes en Europe³. Il est estimé à environ 30 000 le nombre de patients par an aux États-Unis et en Europe atteints d'uvéite auto-immune et réfractaires aux traitements stéroïdes existants.

A propos de TxCell : www.txcell.com

TxCell développe des immunothérapies cellulaires T personnalisées innovantes, pour le traitement des maladies inflammatoires et auto-immunes chroniques et sévères présentant un fort besoin médical non satisfait. TxCell a créé ASTrIA, une plateforme de produits unique et propriétaire, basée sur les propriétés des lymphocytes T régulateurs spécifiques d'antigène (Ag-Tregs) autologues. La Société a débuté un essai clinique de phase IIb avec son premier candidat médicament Ovasave® dans la maladie de Crohn réfractaire, à la suite d'une première étude clinique de phase I/IIa dans la même population de patients, ayant montré une efficacité clinique positive et une bonne tolérance. Le second produit candidat de TxCell, Col-Treg, est développé pour le traitement de l'uvéite auto-immune une maladie rare de l'œil. Cotée sur le marché réglementé d'Euronext à Paris, TxCell est un spin-off de l'Inserm (Institut National de la Santé et de la Recherche Médicale). La Société compte 66 collaborateurs répartis entre son siège social, basé sur le parc technologique de Sophia-Antipolis à Nice, et son site de production à Besançon.

CONTACTS

TxCell Département BD & Communication Tel: +33(0) 497 218 300 Fax: +33(0) 493 641 580 contact@txcell.com	Image Box – Relations Presse Neil Hunter / Emma Marshall Tel: +44(0) 20 8943 4685 emma.marshall@imageboxpr.co.uk neil.hunter@imageboxpr.co.uk	NewCap – Relations Investisseurs Julien Perez / Pierre Laurent Tel: +33 (0)1 44 71 98 52 txcell@newcap.fr
---	--	---

¹ Selon EU Regulatory Workshop – EMA/450332/2012

² Selon GlobalData Report GDHC008POA - Dec. 2013

³ Selon EMA/COMP/105735/2013

Avertissement

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives. Bien que la Société considère que ses projections sont basées sur des hypothèses raisonnables, ces déclarations prospectives peuvent être remises en cause par un certain nombre d'aléas et d'incertitudes, de sorte que les résultats effectifs pourraient différer significativement de ceux anticipés dans lesdites déclarations prospectives.