

Bone Therapeutics se voit accorder par l'EMA et la FDA la Désignation de Médicament Orphelin pour son produit ALLOB® dans l'Ostéogénèse Imparfaite

Gosselies, Belgique, le 12 novembre 2015 - BONE THERAPEUTICS (code Euronext Bruxelles et Paris : BOTHE), société de thérapie cellulaire osseuse qui répond à d'importants besoins médicaux non satisfaits dans les domaines de la réparation et de la prévention des fractures, annonce aujourd'hui que son produit cellulaire osseux allogénique, ALLOB®, a reçu la Désignation Médicament Orphelin (DMO) de la part de l'Agence Européenne des Médicaments (AEM) et de la US Food and Drug Administration (FDA) pour le traitement de l'ostéogénèse imparfaite, une maladie osseuse génétique.

L'ostéogénèse imparfaite, également appelée maladie des os de verre, est une maladie génétique rare caractérisée par une fragilité osseuse, l'apparition de fractures et des malformations. La prévalence estimée en Europe et aux Etats-Unis est de 0,64 cas pour 10.000 habitants¹. Les manifestations cliniques sont hétérogènes et peuvent aller d'une légère fragilité osseuse jusqu'à des déformations osseuses sévères avec une stature réduite. Dans les cas les plus graves, cette maladie peut entraîner la mort. Les traitements actuels sont limités et font appel à la chirurgie ou à l'utilisation de bisphosphonates, deux approches souvent associées à des complications. Cependant ces traitements n'offrent pas de solutions à long terme et les fractures restent particulièrement difficiles à traiter.

Cette désignation de médicament orphelin offre la possibilité à Bone Therapeutics de développer son produit cellulaire osseux allogénique, ALLOB®, pour le traitement de l'ostéogénèse imparfaite. La cause sous-jacente de cette maladie étant génétique, les cellules ALLOB® - issues de donneurs en bonne santé - présentent de nombreux avantages. Les cellules osseuses allogéniques peuvent être administrées par voie systémique ou localement au niveau des fractures afin d'améliorer la structure osseuse en remplaçant les cellules défectueuses. Par conséquent chez ces patients, ALLOB® pourrait, en améliorant la solidité des os, réduire le risque de nouvelles fractures et accélérer la réparation des fractures.

Près de 10 ans se sont écoulés depuis que la FDA a accordé une désignation de médicament orphelin sur le territoire américain dans le domaine de l'ostéogénèse imparfaite. En Europe, ALLOB® serait le premier produit à recevoir cette désignation. La Société jouirait ainsi d'une exclusivité d'accès au marché une fois le médicament approuvé pour commercialisation, tant en Europe (10 ans d'exclusivité) qu'aux Etats-Unis (7 ans d'exclusivité). En outre, la Société pourrait bénéficier de réductions importantes de coûts au niveau de l'élaboration du protocole, des conseils scientifiques et des procédures d'enregistrement des produits. Bone Therapeutics a déjà reçu une désignation de médicament orphelin pour PREOB® et ALLOB® dans le traitement de l'ostéonécrose.

Enrico Bastianelli, CEO de Bone Therapeutics, a commenté : « *Nous sommes très heureux d'avoir reçu la désignation de médicament orphelin pour ALLOB® dans l'ostéogénèse imparfaite, une maladie très invalidante affectant de jeunes personnes. À ce stade, nous n'avons lancé aucun essai clinique dans ce domaine. Toutefois, la désignation de médicament orphelin nous offre la possibilité d'élargir davantage notre portefeuille de produits et de développer un traitement efficace qui pourrait traiter la cause même de la maladie, une première dans le domaine.* »

¹ Estimations basées sur des études épidémiologiques européennes (Andersen *et al.*, 1989 Clin Genet 36:205-5; Donnelly *et al.*, 2010 Ulster Med J 79:114-18; Heiberg 1983 Clin Genet 23:233; Kuurila *et al.*, 2002 Ann Otol Rhinol Laryngol 111:939-46; Martin *et al.*, 2007 Osteoporos Rep 5:91-7).

-Fin-

A propos de Bone Therapeutics

Bone Therapeutics est une société de biotechnologie leader dans le développement de produits de thérapie cellulaire destinés à la réparation et à la prévention des fractures. Le traitement de référence actuel dans ce domaine implique de la chirurgie lourde et une longue période de réhabilitation. Pour surmonter ces contraintes fortes, Bone Therapeutics développe une gamme de produits régénérateurs innovants à base de cellules ostéoblastiques/de reconstitution du tissu osseux, administrables sans chirurgie ouverte par voie percutanée ; une proposition unique sur le marché.

PREOB[®], produit cellulaire autologue de Bone Therapeutics est actuellement en étude clinique pivot de Phase IIb/III pour deux indications : l'ostéonécrose et les fractures au processus de guérison totalement interrompu, et en Phase II pour l'ostéoporose sévère. ALLOB[®], son produit cellulaire osseux allogénique « prêt à l'emploi » est en Phase II pour le traitement des fractures avec retard de consolidation et la fusion lombaire dans les cas de maladies dégénératives de la colonne vertébrale. La Société poursuit par ailleurs des programmes de recherche préclinique et développe de nouveaux produits candidats.

Fondée en 2006, Bone Therapeutics est basée à Gosselies (sud de Bruxelles, Belgique). Les produits régénérateurs de Bone Therapeutics sont fabriqués selon les normes BPF les plus élevées et sont protégés par un important portefeuille de 11 familles de brevets. Plus d'informations sont disponibles sur www.bonetherapeutics.com.

Pour plus d'informations :

Bone Therapeutics SA

Tél. : +32 (0)2 529 59 90

Enrico Bastianelli, Chief Executive Officer
Wim Goemaere, Chief Financial Officer

investorrelations@bonetherapeutics.com

Pour les médias belges et internationaux

Consilium Strategic Communications

Tél. : +44 (0) 20 370 5 701

Amber Fennell, Jessica Hodgson, Lindsey Neville
et Hendrik Thys

bonetherapeutics@consilium-comms.com

Pour les médias et investisseurs français

NewCap Investor Relations & Financial Communications

Tél. : + 33 (0)1 44 71 94 94

Pierre Laurent, Louis-Victor Delouvrier et
Nicolas Merigeau

bone@newcap.eu

Certaines déclarations, croyances ou opinions du communiqué de presse sont des déclarations prospectives, et reflètent les attentes actuelles et les projections futures relatives à des événements futurs de la Société ou, le cas échéant, de ses administrateurs. De par leur nature, les déclarations prospectives impliquent un certain nombre de risques, d'incertitudes et de suppositions qui pourraient entraîner des résultats ou événements effectifs substantiellement différents de ceux exprimés de manière explicite ou implicite dans les déclarations prospectives. Ces risques, incertitudes et suppositions peuvent affecter de manière négative les résultats et effets financiers des plans et événements décrits dans le communiqué. Une multitude de facteurs, notamment, sans s'y limiter, des modifications intervenant en matière de demande, de concurrence et de technologie, peuvent avoir pour conséquence que les événements, performances ou résultats diffèrent de manière importante des développements anticipés. Les déclarations prospectives contenues dans ce communiqué de presse qui se basent sur des tendances ou des activités passées ne constituent pas des garanties que ces tendances ou activités se poursuivront à l'avenir. En conséquence, la Société rejette expressément toute obligation ou engagement de publier des mises à jour ou révisions des déclarations prospectives de ce communiqué de presse suite à une modification des prévisions ou à une modification des événements, des conditions, des suppositions ou des circonstances sur lesquelles ces déclarations prospectives sont basées. Ni la Société ni ses conseillers ou représentants, ni aucune de ses filiales, ni aucun cadre ou employé de ces personnes ne garantit que les hypothèses sous-jacentes à ces déclarations prospectives sont exemptes d'erreurs et aucun de ceux-ci n'accepte la moindre responsabilité en ce qui concerne l'exactitude future des déclarations prospectives contenues dans ce communiqué de presse ou la survenance effective des événements prévus. Il ne faut pas placer une confiance induite dans les déclarations prospectives, qui ne concernent que la situation telle qu'elle se présente à la date de ce communiqué de presse.

