

Odiparcil reçoit la désignation de médicament orphelin par la FDA américaine dans le traitement de la MPS VI

- ▶ Confirmation du potentiel thérapeutique et du bénéfice d'odiparcil comparé aux options thérapeutiques existantes
- ▶ Odiparcil pourrait améliorer significativement le traitement des patients atteints de MPS VI et répondre à un besoin médical important
- ▶ Recrutement du premier patient dans l'étude de Phase IIa prévu fin 2017

Daix (France), le 10 Août 2017 – 17h45 CEST – Inventiva, société biopharmaceutique spécialisée dans le développement de traitements innovants, notamment contre la fibrose, annonce aujourd'hui que la *Food and Drug Administration* américaine (FDA) a rendu un avis favorable pour la désignation d'odiparcil (anciennement IVA336) comme médicament orphelin pour le traitement de la MPS VI.

La MPS VI (syndrome de Maroteaux-Lamy) est une maladie génétique rare et dégénérative qui touche les enfants. La prévalence de la MPS VI est 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.

« *Les MPS sont des maladies graves et odiparcil pourrait constituer une avancée importante en apportant un traitement optimal à de nombreux patients atteints de désordres lysosomaux,* » commente le Professeur Paul Hartzel du *Children's Hospital & Research Center of Oakland*, en Californie.

« *La décision de la FDA d'octroyer la désignation de médicament orphelin à odiparcil dans le traitement des patients atteints de MPS VI est une nouvelle étape importante. Elle confirme l'avantage thérapeutique significatif qu'odiparcil pourrait apporter comparé aux traitements actuels,* » ajoute Pierre Broqua, co-fondateur et Directeur Scientifique d'Inventiva. « *La MPS VI est une pathologie qui reste lourde malgré l'existence d'un traitement enzymatique de substitution. Cette décision est un encouragement et un signal fort de la FDA pour poursuivre notre programme de développement clinique.* »

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 d'initier une étude pivot de Phase III avec odiparcil dans la MPS VI, à la fois aux États-Unis et en Europe.

À propos de la désignation de médicament orphelin :

La désignation de médicament orphelin est accordée par la FDA à de nouveaux produits thérapeutiques pour des maladies affectant moins de 200 000 patients aux États-Unis, ou plus de 200 000 patients s'il n'y a aucune attente raisonnable pour que le coût de production du médicament soit couvert par ses ventes. La désignation de médicament orphelin permet à la société qui développe le médicament d'être éligible à une période de sept ans d'exclusivité commerciale aux États-Unis après l'autorisation de mise sur le marché du médicament, ainsi que, dans certains cas, à des crédits d'impôt sur les coûts de recherche clinique, la possibilité de présenter une demande de subvention annuelle, une assistance pour concevoir des essais cliniques et l'exonération des frais de dossier dans le cadre de la loi PDUFA (*Prescription Drug User Fee Act*).

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 i tiques (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

Fr d ric Cren
Pr sident et Directeur G n ral
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 Rouill 
Relations M dias
inventiva@newcap.eu
01 44 71 94 98

Avertissement :

Certaines d clarations figurant dans ce document ne se rapportent pas   des faits historiquement av r s, mais constituent des projections, estimations et autres donn es   caract re pr visionnel bas es sur l'opinion des dirigeants. Ces d clarations traduisent les opinions et hypoth ses qui ont  t  retenues   la date   laquelle elles ont  t  faites. Elles sont sujettes   des risques et incertitudes connus et inconnus   raison desquels les r sultats futurs, la performance ou les  v nements   venir peuvent significativement diff rer de ceux qui sont indiqu s ou induits dans ces d clarations.

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.