

## **Ipsen va présenter de nouvelles données lors de la réunion annuelle de l'ASBMR sur le traitement potentiel de la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP), comprenant les résultats de l'étude internationale de Phase III MOVE**

- Les sept abstracts soumis pour présentation représentent la plus large participation d'Ipsen à la réunion annuelle de l'ASBMR, la première organisation scientifique mondiale pour la recherche sur la santé osseuse.
- Les données d'Ipsen révèlent des avancées potentielles dans la compréhension de la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP), notamment des enseignements clés sur le conception de l'étude, l'histoire naturelle de la pathologie, les biomarqueurs, les options thérapeutiques expérimentales et les mesures des résultats rapportés par les patients.

**PARIS, FRANCE, le 10 septembre 2020** – Ipsen (Euronext : IPN : ADR : IPSEY) a annoncé aujourd'hui que de nouvelles données concernant le portefeuille croissant du Groupe dans l'aire thérapeutique des Maladies Rares seront partagées lors de sept présentations à l'occasion de la réunion annuelle de l'*American Society for Bone and Mineral Research* (ASBMR), qui se déroulera du 11 au 15 septembre 2020. Ipsen va notamment présenter les résultats de son essai MOVE (lors de la session orale « Novel Therapies for Rare Bone Disease » le samedi 12 septembre de 11h00 à 12h15 ET), la première et la seule étude multicentrique de Phase III sur la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP). Le Docteur Robert Pignolo, Division de médecine gériatrique et de gériatrie, Département de médecine interne, Mayo Clinic, présentera les données de l'étude du médicament expérimental par voie orale palovarotène dans la réduction du volume de nouvelles ossifications hétérotopiques (OH) chez 107 patients enfants et adultes atteints de FOP.<sup>1</sup> Les résultats d'efficacité de l'essai MOVE ont été comparés avec les données de patients n'ayant pas reçu de traitement dans le cadre de l'étude Ipsen de l'histoire naturelle (Natural History Study, NHS)<sup>2</sup>. Les résultats de l'essai MOVE en matière de tolérance seront également présentés.

*« Notre passion et notre engagement à mieux comprendre les maladies rares ont été un catalyseur de progrès dans ce programme de recherche. Nous sommes fiers de présenter les données que nous avons obtenues lors de la réunion annuelle de l'ASBMR 2020, »* a déclaré Howard Mayer, M.D., Vice-Président exécutif, Directeur de la Recherche et du Développement chez Ipsen. *« La collaboration est essentielle dans la recherche et le développement de traitements pour les maladies rares. Nous sommes impatients de poursuivre nos travaux avec des leaders d'opinion, des cliniciens, la communauté d'associations de patients et les autorités réglementaires pour capitaliser sur nos recherches et développer des agents thérapeutiques potentiels dans les maladies rares, y compris pour les patients atteints de FOP. »*

Quatre posters seront présentés sur les données de l'étude NHS d'Ipsen, qui représente la plus grande étude sur la FOP de ce type au monde. Elle constitue la première étude longitudinale mondiale, multicentrique conçue pour mesurer la progression de la maladie sur trois ans.<sup>2</sup> Les résultats de l'étude NHS confirment que la mesure de l'OH est un moyen viable de surveiller l'évolution de la FOP et d'évaluer l'effet potentiel du traitement pendant cette période.

Suivez Ipsen sur Twitter via @IpsenGroup et tenez-vous au courant des informations et actualités de la conférence 2020 de l'ASBMR en utilisant le hashtag #ASBMR2020.

## Récapitulatif des présentations d'Ipsen lors de la réunion annuelle de l'ASBMR 2020 :

Médicament/Pathologie	Numéro/titre de l'abstract	Auteurs de l'étude
Palovarotène/FOP	Palovarotene (PVO) for Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP): Data from the Phase III MOVE Trial	Robert J. Pignolo, Mona Al Mukaddam, Geneviève Baujat, Staffan K. Berglund, Angela M. Cheung, Carmen De Cunto, Patricia Delai, Maja Di Rocco, Nobuhiko Haga, Edward C. Hsiao, Peter Kannu, Richard Keen, Edna E. Mancilla, Donna R. Grogan, Rose Marino, Andrew Strahs, Frederick S. Kaplan
Palovarotène/FOP	Measuring outcomes in ultra-rare bone diseases: Methodology of the palovarotene fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) clinical development program	Robert J. Pignolo, Geneviève Baujat, Matthew A. Brown, Carmen De Cunto, Maja Di Rocco, Edward C. Hsiao, Richard Keen, Mona Al Mukaddam, Andrew Strahs, Donna R. Grogan, Rose Marino, Frederick S. Kaplan
FOP	Medications used by individuals with Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP): Data from a global natural history study	Richard Keen, Mona Al Mukaddam, Geneviève Baujat, Carmen De Cunto, Edward C. Hsiao, Robert J. Pignolo, Kathleen Harnett, Rose Marino, Frederick S. Kaplan
FOP	Longitudinal and flare-up-specific biomarkers in fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP): Data from a global natural history study	Robert J. Pignolo, Mona Al Mukaddam, Geneviève Baujat, Carmen De Cunto, Edward C. Hsiao, Richard Keen, Kathleen Harnett, Rose Marino, Frederick S. Kaplan
FOP	Use of assistive devices and adaptations by individuals with fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP): Data from a global natural history study	Edward C. Hsiao, Mona Al Mukaddam, Geneviève Baujat, Carmen De Cunto, Richard Keen, Robert J. Pignolo, Kathleen Harnett, Rose Marino, Frederick S. Kaplan
FOP	A global natural history study of fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP): 12-month outcomes	Mona Al Mukaddam, Robert J. Pignolo, Geneviève Baujat, Matthew A. Brown, Carmen De Cunto, Maja Di Rocco, Edward C. Hsiao, Richard Keen, Kim-Hanh Le Quan Sang, Andrew Strahs, Rose Marino, Frederick S. Kaplan
FOP	Validity and reliability of the fibrodysplasia ossificans progressiva physical function questionnaire (FOP-PFQ), a patient-reported, disease-specific measure	Robert J. Pignolo, Miriam Kimel, John Whalen, Ariane Kawata, Dennis Revicki, Rose Marino, Frederick S. Kaplan

### À propos du palovarotène

Le médicament expérimental par voie orale palovarotène est un agoniste hautement sélectif du récepteur gamma de l'acide rétinoïque (RAR $\gamma$ ), actuellement en développement comme traitement potentiel pour les patients atteints de fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP), un trouble génétique extrêmement rare et invalidant. Le palovarotène, qui a obtenu le statut de maladie pédiatrique ainsi qu'une procédure accélérée pour le traitement de la FOP, a été intégré au portefeuille d'Ipsen à travers l'acquisition de Clementia Pharmaceuticals en avril 2019.

### À propos de la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP)

La fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP) est une maladie rare et génétique, caractérisée par un os qui se forme en dehors du squelette normal, dans le muscle, les tendons ou les tissus mous.<sup>3</sup> La FOP fait partie des maladies les plus rares sur la planète. Bien qu'il existe environ 1 000 cas recensés dans le monde, la prévalence connue est d'environ 1,36 par million d'individus<sup>4,5</sup>.

## À propos d'Ipsen

Ipsen est un groupe biopharmaceutique mondial focalisé sur l'innovation et la médecine de spécialité. Le Groupe développe et commercialise des médicaments innovants dans trois domaines thérapeutiques ciblés – l'Oncologie, les Neurosciences et les Maladies Rares. Ipsen bénéficie également d'une présence significative en Santé Familiale. Avec un chiffre d'affaires de plus de 2,5 milliards d'euros en 2019, Ipsen commercialise plus de 20 médicaments dans plus de 115 pays, avec une présence commerciale directe dans plus de 30 pays. La R&D d'Ipsen est focalisée sur ses plateformes technologiques différenciées et innovantes situées au cœur des clusters mondiaux de la recherche biotechnologique ou en sciences de la vie (Paris-Saclay, France ; Oxford, UK ; Cambridge, US). Le Groupe rassemble plus de 5 800 collaborateurs dans le monde. Ipsen est coté en bourse à Paris (Euronext : IPN) et aux États-Unis à travers un programme d'American Depositary Receipt (ADR : IPSEY) sponsorisé de niveau I. Le site Internet d'Ipsen est [www.ipсен.com](http://www.ipсен.com).

## Avertissement Ipsen

Les déclarations prospectives et les objectifs contenus dans cette présentation sont basés sur la stratégie et les hypothèses actuelles de la Direction. Ces déclarations et objectifs dépendent de risques connus ou non, et d'éléments aléatoires qui peuvent entraîner une divergence significative entre les résultats, performances ou événements effectifs et ceux envisagés dans ce communiqué. Ces risques et éléments aléatoires pourraient affecter la capacité du Groupe à atteindre ses objectifs financiers qui sont basés sur des conditions macroéconomiques raisonnables, provenant de l'information disponible à ce jour. L'utilisation des termes "croît", "envisage" et "prévoit" ou d'expressions similaires a pour but d'identifier des déclarations prévisionnelles, notamment les attentes du Groupe quant aux événements futurs, y compris les soumissions et décisions réglementaires, ainsi que les résultats de cette étude ou d'autres études. De plus, les prévisions mentionnées dans ce document sont établies en dehors d'éventuelles opérations futures de croissance externe qui pourraient venir modifier ces paramètres. Ces prévisions sont notamment fondées sur des données et hypothèses considérées comme raisonnables par le Groupe et dépendent de circonstances ou de faits susceptibles de se produire à l'avenir et dont certains échappent au contrôle du Groupe, et non pas exclusivement de données historiques. Les résultats réels pourraient s'avérer substantiellement différents de ces objectifs compte tenu de la matérialisation de certains risques ou incertitudes, et notamment qu'un nouveau produit peut paraître prometteur au cours d'une phase préparatoire de développement ou après des essais cliniques, mais n'être jamais commercialisé ou ne pas atteindre ses objectifs commerciaux, notamment pour des raisons réglementaires ou concurrentielles. Le Groupe doit faire face ou est susceptible d'avoir à faire face à la concurrence des produits génériques qui pourrait se traduire par des pertes de parts de marché. En outre, le processus de recherche et développement comprend plusieurs étapes et, lors de chaque étape, le risque est important que le Groupe ne parvienne pas à atteindre ses objectifs et qu'il soit conduit à renoncer à poursuivre ses efforts sur un produit dans lequel il a investi des sommes significatives. Aussi, le Groupe ne peut être certain que des résultats favorables obtenus lors des essais pré cliniques seront confirmés ultérieurement lors des essais cliniques ou que les résultats des essais cliniques seront suffisants pour démontrer le caractère sûr et efficace du produit concerné. Il ne saurait être garanti qu'un produit recevra les homologations nécessaires ou qu'il atteindra ses objectifs commerciaux. Les résultats réels pourraient être sensiblement différents de ceux annoncés dans les déclarations prévisionnelles si les hypothèses sous-jacentes s'avèrent inexactes ou si certains risques ou incertitudes se matérialisent. Les autres risques et incertitudes comprennent, sans toutefois s'y limiter, la situation générale du secteur et la concurrence ; les facteurs économiques généraux, y compris les fluctuations du taux d'intérêt et du taux de change ; l'incidence de 6 réglementations de l'industrie pharmaceutique et de la législation en matière de soins de santé ; les tendances mondiales à l'égard de la maîtrise des coûts en matière de soins de santé ; les avancées technologiques, les nouveaux produits et les brevets obtenus par la concurrence ; les problèmes inhérents au développement de nouveaux produits, notamment l'obtention d'une homologation ; la capacité du Groupe à prévoir avec précision les futures conditions du marché ; les difficultés ou délais de production ; l'instabilité financière de l'économie internationale et le risque souverain ; la dépendance à l'égard de l'efficacité des brevets du Groupe et autres protections concernant les produits novateurs ; et le risque de litiges, notamment des litiges en matière de brevets et/ou des recours réglementaires. Le Groupe dépend également de tierces parties pour le développement et la commercialisation de ses produits, qui pourraient potentiellement générer des redevances substantielles ; ces partenaires pourraient agir de telle manière que cela pourrait avoir un impact négatif sur les activités du Groupe ainsi que sur ses résultats financiers. Le Groupe ne peut être certain que ses partenaires tiendront leurs engagements. À ce titre, le Groupe pourrait ne pas être en mesure de bénéficier de ces accords. Une défaillance d'un de ses partenaires pourrait engendrer une baisse imprévue de revenus. De telles situations pourraient avoir un impact négatif sur l'activité du Groupe, sa situation financière ou ses résultats. Sous réserve des dispositions légales en vigueur, le Groupe ne prend aucun engagement de mettre à jour ou de réviser les déclarations prospectives ou objectifs visés dans le présent communiqué afin de refléter les changements qui interviendraient sur les événements, situations, hypothèses ou circonstances sur lesquels ces déclarations sont basées. L'activité du Groupe est soumise à des facteurs de risques qui sont décrits dans ses documents d'information enregistrés auprès de l'Autorité des Marchés Financiers. Les risques et incertitudes présentés ne sont pas les seuls auxquels le Groupe doit faire face et le lecteur est invité à prendre connaissance du Document de Référence 2019 du Groupe, disponible sur son site web ([www.ipсен.com](http://www.ipсен.com)).

## Pour plus d'informations :

### Médias

Jess Smith  
Directeur Senior, Communication  
Globale Franchise  
+44 (0) 7557 267634  
[jess.smith@ipсен.com](mailto:jess.smith@ipсен.com)

Maryann Quinn  
Directeur, Communication Produit Amérique  
du Nord  
1-857-529-1151  
[Maryann.quinn@ipсен.com](mailto:Maryann.quinn@ipсен.com)

### Communauté financière

Eugenia Litz  
Vice-Président, Relations Investisseurs  
+44 (0) 1753 627721  
[eugenia.litz@ipсен.com](mailto:eugenia.litz@ipсен.com)

Myriam Koutchinsky  
Responsable Relations Investisseurs  
+33 (0)1 58 33 51 04  
[myriam.koutchinsky@ipсен.com](mailto:myriam.koutchinsky@ipсен.com)

## Références

1. Pignolo R et al. Palovarotene (PVO) for fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP): Data from the phase III MOVE trial. ASBMR September 2020.
2. Al Mukaddam M et al. A Natural History Study of Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP): 12-Month Outcomes. *J Endocr Soc.* 2020;4 (Supplement 1):OR29-05
3. The Medical Management of Fibrodysplasia Ossificans Progressiva: Current Treatment Considerations, IFOPA. Accessed: May 2020. Available:
4. Lilijestrom M & Bogard B. The Global Known FOP Population. Presented at the FOP Drug Development Forum. Boston, MA; 2016.
5. Baujat et al. Prevalence of fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) in France: an estimate based on a record linkage of two national databases. *Orphanet Journal of Rare Diseases.* 2017; 12:123.