



Communiqué de presse

ABIONYX Pharma annonce de nouveaux résultats cliniques positifs pour CER-001 dans les maladies rénales associées à un déficit en LCAT publiés dans la revue « *Journal of Internal Medicine* »

- **Efficacité démontrée dans l'indication rénale**
- **Démonstration de la capacité à normaliser les lipoprotéines**
- **Clarification du mécanisme d'action de CER-001**

Toulouse, FRANCE, Lakeland, ETATS-UNIS, 15 novembre 2021, 7h30 CET – ABIONYX Pharma (FR0012616852 – ABNX), société biotech de nouvelle génération dédiée à la découverte et au développement de thérapies innovantes, annonce aujourd'hui de nouveaux résultats cliniques positifs pour CER-001 dans les maladies rénales associées à un déficit familial en LCAT (FLD) publiés dans le « *Journal of Internal Medicine* », une revue de médecine interne de premier plan.

L'aggravation de la fonction rénale du patient a été ralentie par les perfusions de CER-001. La biopsie rénale a montré une réduction des dépôts lipidiques et une stabilisation de la maladie. Ces résultats démontrent que CER-001 a le potentiel de pouvoir être bénéfique dans d'autres maladies rénales caractérisées par des dépôts lipidiques rénaux.

Pour rappel, le traitement compassionnel par CER-001 d'un patient italien présentant un déficit en LCAT a été autorisé par le comité d'éthique régional de Friuli Venezia Giulia (avis CEUR-2020-EAP-012-ASUFC) en février 2020.

Le patient présentait une mutation homozygote du gène de la lécithine-cholestérol acyltransférase (LCAT) et avait développé une glomérulopathie agressive nécessitant trois transplantations rénales distinctes en 20 ans. Neuf mois après la troisième greffe rénale, la fonction rénale avait déjà diminué de moitié. Dans le cadre de ce traitement compassionnel de la maladie rénale associée au déficit en LCAT, le patient avait été traité avec CER-001, un mimétique de HDL contenant de l'apoA-I, pour tenter d'améliorer son insuffisance rénale rapidement évolutive.

Le CER-001 réduit les dépôts lipidiques rénaux

Après 12 semaines de traitement, l'analyse histologique a montré une réduction des dépôts lipidiques glomérulaires, malgré la présence de fibrose et d'atrophie. L'aggravation de la fonction rénale a été ralentie par le traitement. Les ratios albumine-créatinine et protéines-créatinine ont augmenté au cours des trois premières semaines de traitement, puis ont diminué au cours des semaines suivantes. Le traitement a été bien toléré.

Le CER-001 remodèle les lipoprotéines plasmatiques en réduisant les LpX

Le patient présentait un taux de cholestérol HDL très bas et des complexes lipoprotéiques anormalement élevés, appelés LpX, reconnus pour être toxiques pour le rein. Le traitement par CER-001 a conduit à une normalisation du profil lipoprotéique, avec la diminution des LpX anormaux au profit de lipoprotéines de taille normale.

L'effet bénéfique de CER-001 est médié par le remodelage des lipoprotéines et l'élimination directe du cholestérol des cellules rénales

Dans le but de clarifier le(s) mécanisme(s) d'action de l'effet bénéfique observé avec CER-001, des expériences *in vitro* ont été réalisées en utilisant des podocytes, les cellules rénales impliquées dans les dommages rénaux induits par la FLD. L'incubation des cellules podocytes avec le plasma du patient prélevé avant et à différents moments pendant le traitement par CER-001 a progressivement conduit à une moindre accumulation de lipides dans les cellules rénales, confirmant que le remodelage des lipoprotéines plasmatiques induit par le médicament est responsable de la réduction du dépôt de cholestérol dans les cellules.

Le présent rapport confirme les effets bénéfiques sur le rein de CER-001, un mimétique de HDL, précédemment observés dans le cas d'un déficit en LCAT en France et fournit de nouvelles informations sur les mécanismes de stabilisation de la fonction rénale exercés par le médicament.

L'effet bénéfique est médié par au moins une double action de CER-001, qui efflue directement le cholestérol des podocytes, mais induit également une normalisation des lipoprotéines plasmatiques par un mécanisme encore inconnu, réduisant ainsi le dépôt toxique de lipides dans le rein.

Le Dr. Laura Calabresi déclare : « *Ces données cliniques positives démontrent une nouvelle fois que CER-001 a empêché un déclin significatif de la fonction rénale. La FLD est une dyslipidémie rare qui entraîne de graves complications rénales et pour laquelle il n'existe actuellement aucun traitement. CER-001 peut représenter une option thérapeutique, avec l'objectif de retarder l'insuffisance rénale terminale. CER-001 a également le potentiel d'être testé dans des maladies rénales plus courantes caractérisées par des dépôts lipidiques rénaux.* »

L'ensemble de ces résultats peut être consulté dans l'article suivant : onlinelibrary.wiley.com

A propos de Journal of Internal Medicine

Le Journal of Internal Medicine (JIM) (Facteur d'impact : 8 989) est un journal scientifique international évalué par des pairs et publié en continu depuis 1863. Le JIM publie des travaux en science clinique, du laboratoire au chevet du patient, couvrant un large champ de la médecine interne et de ses sous-spécialités. Le JIM soutient et organise des réunions scientifiques sous forme de symposiums dans le cadre de la revue.

A propos d'ABIONYX Pharma

ABIONYX Pharma est une société biotech de nouvelle génération qui entend contribuer à la santé grâce à des thérapies innovantes dans des indications sans traitement efficace ou existant, même les plus rares. Grâce à ses partenaires chercheurs, médecins, producteurs de biomédicaments et actionnaires, la Société innove quotidiennement pour proposer des médicaments pour le traitement des maladies rénales et ophtalmologiques, ou de nouveaux vecteurs HDL utilisés pour la délivrance ciblée de médicaments.

Contacts

NewCap

Relations investisseurs
Louis-Victor Delouvrier
abionyx@newcap.eu
+33 (0)1 44 71 98 53

NewCap

Relations médias
Arthur Rouillé
abionyx@newcap.eu
+33 (0)1 44 71 00 15