



PRESS RELEASE

## Ipsen reçoit une lettre de réponse complète pour le palovarotène, traitement expérimental de la fibrodysplasie ossifiante progressive

- La lettre de réponse complète fait suite à la précédente demande de la FDA d'informations supplémentaires sur les données des essais cliniques évaluant le palovarotène.
- Ipsen prévoit de répondre à cette demande au premier trimestre 2023.

**PARIS, FRANCE**, le 23 décembre 2022 -- Les autorités réglementaires américaines (FDA) ont publié une lettre de réponse complète concernant la demande d'approbation du palovarotène, un traitement expérimental visant à diminuer la formation osseuse en dehors du système squelettique normal (ossification hétérotopique) chez les personnes atteintes de fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP). La lettre de réponse complète fait suite à la précédente demande de la FDA d'informations complémentaires, qui a été communiquée à Ipsen en octobre, ce n'est pas une demande de données supplémentaires sur l'efficacité et la tolérance du traitement au-delà du champ des études existantes. Ipsen prévoit de répondre à cette demande au premier trimestre 2023 et anticipe une période de revue de six mois par la FDA. La FDA n'a pas encore annoncé de nouvelle date de réunion éventuelle du Comité consultatif sur les traitements des maladies endocriniennes et métaboliques pour le médicament expérimental palovarotène.

*« Bien que cette demande prolonge la période d'examen de la demande d'approbation du palovarotène, nous continuons à travailler avec la FDA pour lui fournir les informations demandées et restons convaincus que le palovarotène expérimental peut constituer une solution thérapeutique innovante pour réduire la formation osseuse en dehors du système squelettique normal afin de ralentir la progression de la FOP, »* a déclaré Howard Mayer, Vice-Président Exécutif, Directeur de la Recherche et du Développement. *« Actuellement, les personnes vivant avec la FOP aux États-Unis ne disposent d'aucune option de traitement approuvée pour ralentir la progression de la maladie. Face à ce constat, nous continuons de tout mettre en œuvre pour mener à bien notre quête d'apporter une option de traitement aux patients atteints de cette maladie. »*

La FOP est une maladie ultra-rare qui provoque une formation osseuse continue et permanente dans les tissus mous et conjonctifs, comme les muscles, les tendons et les ligaments. Elle est également connue sous le nom d'ossification hétérotopique ou OH.<sup>1</sup> Comme la matière osseuse s'accumule continuellement dans les articulations et d'autres zones du corps au fil du temps, avec des épisodes de poussée provoquant une accélération soudaine de la formation osseuse, la FOP restreint considérablement la mobilité et la fonction corporelle du patient atteint<sup>2</sup>. La FOP impacte le quotidien de près de 400 personnes aux États-Unis et de 900 personnes dans le monde<sup>3</sup>. En raison d'une formation osseuse anormale pendant l'enfance et au début de l'âge adulte, les personnes vivant avec la FOP peuvent perdre définitivement la mobilité du cou, du dos, des épaules, de la poitrine, des jambes et de leurs bras au niveau des articulations<sup>4</sup>. En l'absence de traitement ayant pour effet de modifier l'évolution de la maladie, les soins palliatifs demeurent la seule option de traitement. L'espérance de vie médiane est de 56 ans, avec un décès prématuré causé par la formation de matière osseuse autour de la cage thoracique qui provoque des problèmes respiratoires et une défaillance cardiorespiratoire<sup>2</sup>.

**À propos du palovarotène**

Le palovarotène est autorisé chez les patients éligibles au Canada et aux Émirats arabes unis, où il est commercialisé sous le nom de Sohonos™ (capsules de palovarotène).<sup>4</sup> Plusieurs autorités réglementaires examinent actuellement le médicament expérimental palovarotène pour approbation.

## FIN

### À propos d'Ipsen

Ipsen est une société biopharmaceutique mondiale de taille moyenne focalisée sur la mise au point de médicaments innovants en Oncologie, dans les Maladies rares et en Neurosciences. Avec un chiffre d'affaires de 2,6 milliards d'euros en médecine de spécialité pour l'exercice 2021, Ipsen vend des médicaments dans plus de 100 pays. Outre sa stratégie d'innovation externe, les efforts d'Ipsen en matière de R&D sont focalisés sur ses plateformes technologiques différenciées et innovantes situées au cœur de clusters mondiaux de la recherche biotechnologique ou en sciences de la vie Paris-Saclay, France ; Oxford, Royaume-Uni ; Cambridge, États-Unis ; Shanghai, Chine. Ipsen emploie environ 5 000 collaborateurs dans le monde. Ipsen est coté 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 [ipsen.com](https://www.ipsen.com).

### Pour plus d'informations :

#### Contacts

#### Investisseurs

##### **Craig Marks**

Vice-président, Relations investisseurs  
44; 0-7584 349 193.

##### **Adrien Dupin de Saint-Cyr**

Responsable, Relations Investisseurs  
+33 6 64 26 17 49

#### Médias

##### **Anna Gibbins**

Directrice Communication Globale Franchise,  
Maladies Rares  
+44 7717801900

##### **Rachel Reiff**

ÉTATS-UNIS Directrice Communication  
Portefeuille  
+1 908 616 1680

### **Avertissement Ipsen**

Les déclarations prospectives et les objectifs contenus dans cette présentation sont basés sur la stratégie et les hypothèses actuelles de la Direction d'Ipsen. 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 d'Ipsen 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 « croit », « envisage » et « prévoit » ou d'expressions similaires a pour but d'identifier des déclarations prévisionnelles, notamment les attentes d'Ipsen quant aux événements futurs, y compris les soumissions et décisions réglementaires. 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 Ipsen. 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 médicament 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. Ipsen doit faire face ou est susceptible d'avoir à faire face à la concurrence des médicaments 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 qu'Ipsen ne parvienne pas à atteindre ses objectifs et qu'il soit conduit à renoncer à poursuivre ses efforts sur un médicament dans lequel il a investi des sommes significatives. Aussi, Ipsen 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 médicament concerné. Il ne saurait être garanti qu'un médicament 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 la réglementation 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 médicaments et les brevets obtenus par la concurrence ; les problèmes inhérents au développement de nouveaux médicaments, notamment l'obtention d'une homologation ; la capacité d'Ipsen 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 d'Ipsen et autres protections concernant les médicaments novateurs ; et le risque de litiges, notamment des litiges en matière de brevets et/ou des recours réglementaires. Ipsen dépend également de tierces parties pour le développement et la commercialisation de ses médicaments, qui pourraient potentiellement générer des redevances substantielles ; ces partenaires pourraient agir de telle manière que cela pourrait avoir un impact négatif sur les activités d'Ipsen ainsi que sur ses résultats financiers. Ipsen 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 des partenaires d'Ipsen pourrait engendrer une baisse imprévue de revenus. De telles situations pourraient avoir un impact négatif sur l'activité d'Ipsen, sa situation financière ou ses résultats. Sous réserve des dispositions légales en vigueur, Ipsen 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 d'Ipsen est soumise à des facteurs de risques qui sont décrits dans ses documents de référence enregistrés auprès de l'Autorité des marchés financiers. Les risques et incertitudes présentés ne sont pas les seuls auxquels Ipsen peut être confronté et le lecteur est invité à prendre connaissance du Document d'enregistrement universel 2021 du Groupe disponible sur son site web [www.ipsen.com](http://www.ipsen.com)

---

<sup>1</sup> Kaplan FS, et al. « The medical management of fibrodysplasia ossificans progressiva: current treatment considerations ». Proc Intl Clin Council FOP 1:1-111, 2019.

<sup>2</sup> Pignolo, RJ et al. Bone. 2020; 134:115274.

<sup>3</sup> Liljeström M, Pignolo RJ, Kaplan FS. Epidemiology of the Global Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP) Community. J Rare Dis Res Treat. (2020) 5(2): 31-36

<sup>4</sup> Communiqué de presse Ipsen du 24 janvier 2022. Disponible à l'adresse <https://www.ipsen.com/fr/press-releases/sante-canada-approuve-le-medicament-sohonos-dipsen-capsules-de-palovarotene-qui-devient-le-premier-traitement-approuve-contre-la-fibrodysplasie-ossifiante-progressive/>