

Advicenne franchit des étapes majeures aux Etats-Unis grâce à plusieurs opinions favorables de la FDA sur ADV7103

- *La FDA autorise le dépôt d'une demande d'AMM d'ADV7103 dans l'ATRd sans étude clinique supplémentaire*
- *La décision de désignation orpheline de ADV7103 dans la cystinurie a ouvert des échanges constructifs, en cours, avec la FDA sur le développement dans cette indication*
- *Ces réussites vont accélérer les perspectives partenariales pour la commercialisation d'ADV7103 aux Etats-Unis, alors que la société avait déjà reçu des marques d'intérêt*

Paris, France, le 1^{er} octobre 2024, à 7h00 (CET) – Advicenne (Euronext Growth Paris ALDVI - FR0013296746), société pharmaceutique spécialisée dans le développement et la commercialisation de traitements innovants pour les personnes souffrant de maladies rénales rares, annonce aujourd'hui le franchissement d'étapes majeures dans le programme de développement de son médicament ADV7103 aux Etats-Unis et la recherche de partenaires commerciaux.

ADV7103 dans l'ATRd (Acidose Tubulaire Rénale distale) : les données européennes sont jugées satisfaisantes par la FDA pour un dépôt d'AMM sans étude clinique additionnelle aux Etats-Unis

Après de nombreux échanges avec les experts de la FDA (Food & Drug Administration américaine), l'Agence a estimé que les données cliniques européennes peuvent servir de support à une demande d'enregistrement dans l'ATRd. En conséquence, Advicenne ne conduira pas d'étude clinique spécifique sur le territoire américain, réduisant ainsi de manière significative le temps et le coût nécessaires au dépôt d'une demande d'AMM outre-Atlantique dans cette indication.

Cette opinion favorable de la FDA a été obtenue à partir de l'ensemble des données cliniques disponibles en Europe. En particulier, celles de l'étude pivot de phase 3 (B21CS) et de l'étude suivi à long terme (B22CS), qui permettent à Advicenne de disposer de données cliniques d'efficacité et de tolérance chez des patients suivis sur une période de plus de 6 ans. Ces études, présentées notamment à l'*European Renal Association (ERA)* et à l'*European Society of Pediatric Nephrology (ESPN)*, seront complétées des données issues de cohorte en vie réelle (Real World Evidence – RWE), et des données de pharmacovigilance européenne.

A l'issue d'une première phase de discussions, la FDA avait considéré que les données de sécurité du médicament satisfaisaient leur demande en matière de tolérance à long terme du produit. Cette première phase avait ouvert le champ à une discussion sur la pertinence des données d'efficacité issues de ces mêmes études. Tel était l'objet de la deuxième phase d'échanges avec des données d'analyse complémentaires issues des études.



Advicenne travaille désormais à la production du dossier d'AMM accompagné notamment d'analyses complémentaires sur l'histoire naturelle des patients et de la maladie ; et prévoit le dépôt d'une demande d'AMM dans le courant de l'année 2025. Rappelons que ADV7103 dispose du statut de médicament orphelin dans l'indication ATRd aux Etats-Unis.

Les résultats des études précitées seront rappelés lors d'une réunion d'analystes qui sera programmée rapidement.

ADV7103 dans la cystinurie : préparation du développement clinique en concertation avec la FDA

L'obtention du statut de médicament orphelin de ADV7103 dans la cystinurie en mars dernier, a permis de valider, auprès de la FDA, la stratégie réglementaire et clinique choisie par Advicenne, appuyée par des résultats cliniques préliminaires obtenus en Europe, ainsi que les opinions d'expert sur les besoins médicaux dans cette maladie rénale rare. C'est dans ce contexte que la Société a souhaité évoquer avec la FDA le plan de développement clinique proposé pour servir de base à une autorisation de mise sur le marché dans cette indication. Un nouveau cycle d'échange aura lieu avant la fin de l'année 2024.

Cette démarche est fortement soutenue tant par les leaders d'opinion européens et américains, que par l'*International Cystinuria Foundation*, l'association américaine des patients cystinuriques. Tous conviennent de l'importance de l'alcalinisation dans la prise en charge de la maladie et l'absence d'un traitement alcalinisant à la fois bien toléré et permettant une maîtrise du pH sur 24 heures. Ainsi, les récentes données issues du registre européen de la cystinurie montrent que moins d'un quart des patients cystinuriques en Europe ont un pH urinaire au-dessus de 7,5, qui est l'objectif thérapeutique des recommandations internationales.

A la suite des échanges avec la FDA, Advicenne sera en mesure de mettre en place un essai clinique dans la cystinurie. Cette étude recruterait des patients simultanément aux Etats-Unis et en Europe, permettant de déposer une demande d'enregistrement sur les deux territoires. Rappelons qu'en Europe ADV7103 dispose également du statut de médicament orphelin dans l'indication cystinurie. La cystinurie affecte environ 30.000 patients aux Etats-Unis et 40.000 en Europe, et représente un marché potentiel significatif pour ADV7103.

Accélération vers un accord avec des partenaires potentiels aux Etats-Unis

Plusieurs acteurs de l'industrie pharmaceutique avaient montré un intérêt pour ADV7103 dans ses deux indications aux Etats-Unis, un territoire qu'Advicenne souhaite couvrir avec un partenaire. Advicenne a ainsi reçu une première proposition pour les droits de ADV7103 aux Etats-Unis, dont les conditions demeurent confidentielles. Le récent news flow devrait susciter d'autres marques d'intérêt, que la société entend poursuivre activement, et particulièrement à compter de la fin de l'année 2024.

Didier Laurens, Directeur Général d'Advicenne, a commenté : « *Les derniers échanges avec la Food and Drug Administration américaine ont été particulièrement pragmatiques et fructueux. Ils démontrent la qualité des données cliniques que nous avons accumulées ces dernières années et l'expertise des équipes en place. Avec l'autorisation de notre dépôt d'AMM pour ADV7103 sans avoir à conduire d'étude clinique supplémentaire aux Etats-Unis dans l'ATRd d'une part, et la simplification*



possible de son développement clinique dans la cystinurie d'autre part, Advicenne dispose désormais de toutes les cartes pour concrétiser dans un avenir proche un accord commercial structurant aux Etats Unis dans les deux indications couvertes par notre traitement. »

A PROPOS D'ADVICENNE

Advicenne (Euronext Growth Paris ALDVI - FR0013296746) est une entreprise pharmaceutique créée en 2007, spécialisée dans le développement de traitements innovants en néphrologie. Son médicament principal, Sibnaya[®] (ADV7103) a reçu une autorisation de mise sur le marché en Europe et en Grande-Bretagne dans le traitement de l'acidose tubulaire rénale distale (ATRd). ADV7103 est actuellement en phase avancée de développement clinique aux Etats-Unis et au Canada dans l'ATRd et dans la cystinurie en Europe et aux Etats-Unis. Basée à Paris, Advicenne, cotée sur le marché Euronext depuis 2017, est cotée depuis le 30 mars 2022 sur le marché Euronext Growth à Paris à la suite de son transfert de cotation. **Pour plus d'informations :** <https://advicenne.com/>

CONTACTS

Advicenne

Didier Laurens, Directeur Général
+33 (0) 1 87 44 40 17
Email: investors@advicenne.com

Ulysse Communication

Media relations
Bruno Arabian
+33 (0)6 87 88 47 26
Email: advicenne@ulyse-communication.com

Déclarations prospectives

Ce communiqué contient des déclarations prospectives. Ces déclarations ne constituent pas des faits historiques. Ces déclarations comprennent des projections et des estimations ainsi que les hypothèses sur lesquelles celles-ci reposent, des déclarations portant sur des projets, des objectifs, des intentions et des attentes concernant des résultats financiers, des événements, des opérations, le développement de produits et leur potentiel ou les performances futures. Ces déclarations prospectives peuvent souvent être identifiées par les mots « s'attendre à », « anticiper », « croire », « avoir l'intention de », « estimer » ou « planifier », ainsi que par d'autres termes similaires. Bien que la direction d'Advicenne estime que ces déclarations prospectives sont raisonnables, les investisseurs sont alertés sur le fait qu'elles sont soumises à de nombreux risques et incertitudes, difficilement prévisibles et généralement en dehors du contrôle d'Advicenne qui peuvent impliquer que les résultats et événements effectifs réalisés diffèrent significativement de ceux qui sont exprimés, induits ou prévus dans les informations et déclarations prospectives. Ces risques et incertitudes comprennent notamment les incertitudes inhérentes à la mise sur le marché et à la commercialisation des médicaments développés par Advicenne ainsi que ceux qui sont développés ou identifiés dans les documents publics déposés par Advicenne auprès de l'Autorité des marchés financiers y compris ceux énumérés dans le chapitre 3 « Facteurs de risque » du document d'enregistrement universel d'Advicenne déposé auprès de l'Autorité des marchés financiers le 5 avril 2024. Advicenne ne prend aucun engagement de mettre à jour les informations et déclarations prospectives sous



réserve de la réglementation applicable notamment les articles 223-1 et suivants du règlement général de l'Autorité des marchés financiers.