

# Ipsen fait le point sur l'essai de Phase II FALKON chez les patients atteints d'une maladie osseuse ultra-rare, la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP)

**PARIS, FRANCE – 19 décembre 2025** – Ipsen (Euronext : IPN ; ADR : IPSEY) annonce aujourd'hui que l'essai pivotale de Phase II FALKON n'a pas atteint son critère principal, à savoir la réduction du volume de formation anormale de nouvelle matière osseuse (ossification hétérotopique ou OH) chez l'adulte et l'enfant atteints de fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP), par rapport au placebo, en conséquence, l'étude sera clôturée. Le médicament expérimental (fidrisertib) a été généralement bien toléré, sans problème de sécurité dans le cadre de l'essai.

*« Ces résultats sont décevants pour la communauté FOP et les patients atteints de cette maladie dévastatrice, » a déclaré Christelle Huguet, PhD, Vice-Présidente exécutive, Directrice de la Recherche et du Développement chez Ipsen. « Nous sommes toutefois convaincus que les données obtenues contribueront à enrichir le corpus croissant de recherches sur la FOP, pour apporter aux patients et à leurs pourvoyeurs de soins de nouvelles perspectives sur la prise en charge de cette maladie. Nous tenons à remercier les patients, les soignants la communauté de la FOP et les leaders d'opinion qui ont consacré leur temps à l'essai FALKON. Cela a été un engagement sérieux qui nous a aidés à faire progresser notre compréhension de la FOP. »*

## À propos de la FOP

La FOP est une maladie génétique causée par des variants pathogènes de la kinase ALK2 qui entraînent la formation d'os dans les tissus mous et conjonctifs, comme les muscles, les tendons et les ligaments, un processus connu sous le nom d'ossification hétérotopique ou OH. Ce phénomène est irréversible. Les options de traitement pour les patients atteints de FOP sont aujourd'hui limitées. La maladie est diagnostiquée à l'âge moyen/médian de 5 ans. À terme, la FOP abrège l'espérance de vie pour la ramener à l'âge médian de 56 ans. La mort prématurée est causée par la formation de tissu osseux autour de la cage thoracique, conduisant à des troubles de la respiration et une insuffisance respiratoire. La prévalence de la FOP est d'approximativement 1,36 par million d'individus dans le monde. Cependant, le nombre de cas confirmés varie selon les pays.

## À propos du fidrisertib

Administré par voie orale, le fidrisertib est un puissant inhibiteur hautement sélectif de petites molécules ciblant les variants pathogènes de la kinase ALK2, cause sous-jacente de la FOP. Le fidrisertib a été conçu pour cibler le signal ALK2 sans ligand ainsi que la voie BMP et le signal aberrant du ligand de l'activine lors des poussées ; impactant à la fois l'OH précédée de poussées et l'OH

induite par d'autres facteurs. Le fidrisertib est administré par voie orale (capsule saupoudrée sur les aliments ou dissoute dans l'eau) sans modification de la dose pendant les poussées.

### À propos de l'essai FALKON

FALKON est le plus grand essai de Phase II sur la FOP. Structuré en trois parties, il a été conçu pour évaluer l'efficacité, la sécurité et la tolérance du fidrisertib, en tant que traitement de première ligne chez l'enfant et l'adulte atteints de FOP. La partie A est un essai mondial, multicentrique, contrôlée par placebo, en groupes parallèles et à trois bras, dans laquelle 113 patients âgés de 5 ans ou plus présentant la mutation R206H du gène ACVR1 ou d'autres variantes de la FOP associées à une OH progressive ont été recrutés et randomisés pour recevoir, soit une dose élevée de fidrisertib calculée selon le poids, soit une dose faible calculée selon le poids, soit un placebo. Le critère d'évaluation principal est la variation annuelle du volume d'OH par rapport à la valeur initiale. Dans la partie B de l'essai en double aveugle, les patients continuent de recevoir leur dose de fidrisertib, les patients sous placebo de la partie A étant également randomisés pour recevoir soit une dose élevée, soit une dose faible de fidrisertib. La partie C consiste en une période de prolongation pour tous les patients qui répondent au traitement.

### A propos d'Ipsen

Nous sommes un groupe biopharmaceutique mondial focalisé sur la mise au point de médicaments innovants pour les patients dans trois domaines thérapeutiques : l'Oncologie, les Maladies Rares et les Neurosciences. Notre portefeuille de produits en R&D s'appuie sur l'innovation interne et externe et sur près de 100 ans d'expérience de développement au sein de hubs mondiaux aux États-Unis, en France et au Royaume-Uni. Nos équipes, présentes dans plus de 40 pays, et nos partenariats à travers le monde nous permettent de proposer nos médicaments aux patients dans plus de 100 pays.

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. Pour plus d'informations, consultez [ipsen.com](http://ipsen.com)

### Contacts Ipsen

#### Investisseurs

<b>Henry Wheeler</b>	<a href="mailto:henry.wheeler@ipsen.com">henry.wheeler@ipsen.com</a>	+33 764471149
<b>Khalid Deojee</b>	<a href="mailto:khalid.deojee@ipsen.com">khalid.deojee@ipsen.com</a>	+33 666019526

#### Médias

<b>Sally Bain</b>	<a href="mailto:sally.bain@ipsen.com">sally.bain@ipsen.com</a>	+1 8573200517
<b>Anne Liontas</b>	<a href="mailto:anne.liontas.ext@ipsen.com">anne.liontas.ext@ipsen.com</a>	+33 0767347296

### Déclarations et/ou avertissement Ipsen

Les déclarations prospectives et les objectifs contenus dans ce communiqué sont basés sur la stratégie et les hypothèses actuelles de la Direction d'Ipsen. Ces déclarations et objectifs dépendent de risques et d'incertitudes connus ou non qui peuvent entraîner une divergence significative entre les résultats, performances ou événements effectifs et ceux envisagés dans ce communiqué. De tels risques et imprévus pourraient affecter la capacité d'Ipsen à atteindre ses objectifs financiers, lesquels reposent sur des hypothèses raisonnables quant aux conditions macroéconomiques à venir formulées d'après les informations disponibles à ce jour. L'utilisation des termes « croit », « envisage » et « prévoit » ou d'expressions similaires a pour but d'identifier des énoncés prospectifs, notamment les attentes d'Ipsen quant à des événements futurs tels que les soumissions et décisions réglementaires. De plus, les objectifs mentionnés dans ce document sont établis sans

tenir compte d'éventuelles opérations futures de croissance externe qui pourraient venir modifier tous 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 ou peut avoir à faire face à la concurrence de 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 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 précliniques 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 approbations réglementaires 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 des taux d'intérêt et des taux de change ; l'incidence de la réglementation de l'industrie pharmaceutique et de la législation en matière de santé ; les tendances mondiales vers une plus grande maîtrise des coûts 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 d'autres protections concernant les médicaments novateurs ; et le risque de litiges, notamment des litiges en matière de brevets ou des recours réglementaires. Ipsen dépend également de tierces parties pour le développement et la commercialisation de ses médicaments, ce qui peut donner lieu à des redevances substantielles ; en outre ces partenaires pourraient agir de manière à nuire aux activités d'Ipsen ainsi qu'à 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 de ses partenaires pourrait engendrer une baisse imprévue de revenus pour Ipsen. 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 énoncés prospectifs ou objectifs visés dans le présent communiqué afin de refléter des changements qui viendraient affecter les événements, situations, hypothèses ou circonstances sur lesquels ces énoncés se fondent. L'activité d'Ipsen 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 de la dernière édition du Document d'enregistrement universel d'Ipsen, disponible sur [ipsen.com](http://ipsen.com).