



Communiqué de presse

## **ABIONYX Pharma annonce sa stratégie dans l’ophtalmologie et de nouveaux résultats précliniques positifs dans le cadre du déploiement de deux plateformes innovantes : apothérapie et biovectorisation**

- **Résultats précliniques très prometteurs du biovecteur apoA-I dans un modèle d’inflammation aigüe**
- **Développement de biovecteurs dits « *safe corticoids* » pour limiter les effets secondaires des corticoïdes dans la DMLA ou l’OMD**
- **Projet de séparation des activités ophtalmologiques et changement de dénomination d’IRIS Pharma Holding en APOGEYE Pharma**

**Toulouse, FRANCE, Lakeland, ETATS-UNIS, le 31 mars 2023, 18h45 – ABIONYX Pharma (FR0012616852 – ABNX)**, société biotech de nouvelle génération dédiée à la découverte et au développement de thérapies innovantes, annonce aujourd’hui sa stratégie dans l’ophtalmologie et de nouveaux résultats précliniques positifs dans le cadre de deux nouvelles plateformes technologiques innovantes : *apothérapie* et *biovectorisation*.

Cyrille TUPIN, Directeur Général d’ABIONYX Pharma, déclare : « *Le rapprochement il y a un peu plus d’un an avec IRIS Pharma, l’un des leaders mondiaux de la Recherche sous Contrat en ophtalmologie, a pleinement porté ses fruits et permis de structurer une stratégie créatrice de valeur à partir de notre actif phare, la seule apolipoprotéine apoA-I naturelle recombinante au monde et l’un des biomédicaments les plus avancés. En effet, les études menées chez IRIS Pharma ont déterminé le déploiement d’une stratégie basée sur deux plateformes technologiques : l’apothérapie à partir de notre apoA-I naturelle recombinante seule, et la biovectorisation de divers principes actifs à partir du complexe d’apoA-I utilisé en tant que vecteur. Les résultats précliniques de notre biovecteur en ophtalmologie sont très prometteurs, notamment pour les corticoïdes, afin d’en optimiser l’efficacité tout en limitant leurs effets secondaires qui constituent l’une des préoccupations majeures de l’ophtalmologie actuellement dans le monde.* »

## Deux plateformes technologiques innovantes : apothérapie et biovectorisation

ABIONYX Pharma développe deux plateformes technologiques innovantes : l'*apothérapie* basée sur l'apolipoprotéine naturelle recombinante seule, et la *biovectorisation* qui utilise le complexe d'apoA-I comme vecteur pour transporter différents principes actifs. Les applications envisageables en ophtalmologie avec ces deux plateformes sont multiples.

ABIONYX Pharma a choisi de concentrer son approche d'*apothérapie* dans un premier temps sur la maladie ultra-rare LCAT, aussi connue en tant que maladie de Norum, et sur l'uvéite. Les candidats médicaments d'ABIONYX Pharma pour la LCAT et l'uvéite, respectivement CER-001 et ABNX-100, sont destinés à être administrés en injection intraveineuse systémique, afin de viser pour les patients souffrant d'une opacité cornéenne ou d'une inflammation oculaire dans le cadre d'une uvéite, une amélioration visuelle notable. Le candidat médicament le plus avancé d'ABIONYX Pharma en ophtalmologie, CER-001, ciblant la maladie de l'œil de Poisson (Fish-Eye Disease) dans la déficience LCAT est actuellement utilisé dans le cadre d'autorisations compassionnelles en Europe. Pour rappel, CER-001 a reçu le statut de Médicament Orphelin en Europe par l'EMA comme aux États-Unis par la FDA. ABNX-100 dans l'uvéite pourra entrer en phase clinique dès que la Société aura reçu le retour des autorités réglementaires pour l'avancement dans le sepsis, car son traitement systémique est très similaire au traitement visé dans l'uvéite en *apothérapie*.

L'uvéite est une maladie caractérisée par une inflammation de la tunique vasculaire de l'œil appelée l'uvée, relativement fréquente dans les pays industrialisés avec une fréquence estimée à plus de 100 cas pour 100 000 habitants en Europe et aux États-Unis. Les uvéites peuvent être à l'origine d'une réduction de la vision, et en l'absence d'un diagnostic précoce et d'une prise en charge adéquate, aboutir à une cécité. Dans la mesure où l'apoA-I naturelle recombinante d'ABIONYX Pharma a démontré son efficacité pour résoudre des inflammations, notamment dans l'étude de Phase 2 Racers, en plus d'offrir une action réparatrice pour les cellules épithéliales, l'apoA-I d'ABIONYX Pharma constitue un candidat médicament de choix pour lutter contre les uvéites pour lesquelles les traitements actuels ont des effets limités.

Concernant la *biovectorisation*, qui pourrait également traiter l'uvéite, la Société a choisi de viser deux autres indications majeures de l'ophtalmologie, à savoir la Dégénérescence Maculaire Liée à l'Age (DMLA) et l'œdème maculaire diabétique (OMD) à travers deux autres candidats médicaments, ABNX-1010 et ABNX-3010.

### Résultats très prometteurs de la biovectorisation

ABIONYX Pharma a toujours indiqué que la Société poursuivait le développement de nouveaux vecteurs HDL utilisés pour la délivrance ciblée de médicaments. Plusieurs études précliniques ont déjà validé le concept, montrant que le complexe d'apoA-I peut être utilisé en tant que plateforme dédiée à la délivrance de médicaments ciblant les cellules tumorales ou les cellules immunitaires. Les résultats d'une étude clinique TARGET validant ce mode de délivrance avaient été communiqués en décembre 2018.

Pour l'ophtalmologie, un complexe d'apoA-I encapsulant un corticoïde a été mis au point par ABIONYX Pharma et testé chez IRIS Pharma. De nombreux principes actifs utilisés en ophtalmologie sont hydrophobes, et la qualité principale du complexe d'apoA-I en tant que lipide est sa capacité, grâce à sa structure et sa taille, à solubiliser et transporter ce type de principe actif. Compte tenu de l'usage des corticoïdes en ophtalmologie et des effets secondaires associés (cataracte cortico-induite, glaucome, etc...), la mise au point d'un complexe d'apoA-I transportant un corticoïde est apparu très créatrice de valeur pour accroître les bénéfices du traitement pour les patients en injection

intraoculaire. ABNX-3010 a donc été testé en intraoculaire afin de valider une preuve de concept dans un modèle préclinique reconnu et validé de l'inflammation aigüe. Les groupes traités avec ABNX-3010 par voie intravitréenne ont montré statistiquement une réduction quasi-totale des signes de l'uvéïte, résultats objectivés par la mesure de la concentration des protéines et l'infiltration cellulaire dans l'humeur aqueuse.

Le profil de sécurité du complexe d'apoA-I encapsulant un corticoïde, tout comme l'apoA-I d'ABIONYX Pharma, permet le développement préclinique et clinique au niveau de la surface oculaire et à l'intérieur de l'œil, pour viser toutes les indications cornéennes ou rétinienne. Ces résultats précliniques pour la *biovectorisation* de l'apoA-I valident une nouvelle approche thérapeutique basée sur les mécanismes lipidiques dans les pathologies oculaires, et préfigurent un potentiel thérapeutique majeur en ophtalmologie.

Des essais cliniques de Phase 1/2 pour ABNX-1010 et ABNX-3010 pourraient, sous réserve de l'accord des agences réglementaires, débuter en 2024. La plateforme technologique de *biovectorisation* a été développée avec les équipes d'IRIS Pharma, et comme celle d'*apothérapie* en ophtalmologie, est protégée par de nouveaux brevets pour 20 ans.

Les propriétés anti-inflammatoires des apoA-I, observées en ophtalmologie dans différents modèles d'IRIS Pharma, pourraient contribuer à améliorer la vision chez les patients souffrant d'uvéïte, et plus généralement dans d'autres indications avec une composante inflammatoire. Les apoA-I en tant que complexes structurés permettant d'encapsuler les principes actifs, notamment les plus hydrophobes comme les corticoïdes, ouvrent le champ à de nouveaux types de traitements et à une nouvelle génération de biomédicaments, dont le « *safe corticoid* » est le premier candidat en ophtalmologie.

## **Projet de séparation des activités ophtalmologiques et changement de dénomination d'IRIS Pharma Holding en APOGEYE Pharma**

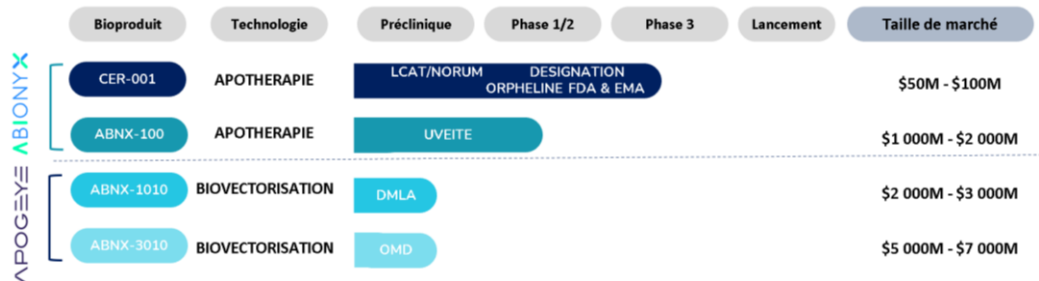
Compte tenu de la forte dynamique de développement des activités en ophtalmologie, ABIONYX Pharma a décidé la séparation de ces activités spécifiques, et envisage de transférer ses activités de biotech ophtalmologiques à IRIS Pharma Holding (IPH), avec notamment la mise en place d'un contrat de licence sur la *biovectorisation* dédiée à l'ophtalmologie.

Afin d'identifier cette activité propre à cette filiale, il a été décidé de rebaptiser IRIS Pharma Holding en APOGEYE Pharma, et de valoriser ainsi plus clairement l'activité d'*apothérapie* et de *biovectorisation* en ophtalmologie. La séparation des activités ophtalmologiques confère à ABIONYX Pharma une marge de flexibilité stratégique pour des partenariats futurs.

## Nouveau pipeline des indications ophtalmologiques

A partir de cette nouvelle stratégie, ABIONYX Pharma communique un nouveau pipeline d'indications ophtalmologiques plus précis :

### Pipeline des indications ophtalmologiques



#### 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  
Nicolas Merigeau  
abionyx@newcap.eu  
+33 (0)1 44 71 94 98