



Communiqué de presse

**ABIONYX Pharma annonce que la Food and Drug Administration (FDA) a accordé la désignation de médicament orphelin (ODD) au CER-001 pour le traitement du déficit en LCAT, dans la dysfonction rénale et/ou la maladie ophtalmologique**

- L'obtention de la désignation de médicament orphelin fait suite à l'obtention de résultats positifs dans deux cas d'utilisation compassionnelle
- Les données publiées issues des cas d'utilisation compassionnelle ont démontré pour la première fois que le traitement par la bio-HDL peut réduire les dépôts lipidiques dans les reins, ralentir le déclin de la fonction rénale tout en éliminant le besoin de dialyse, remodeler de manière bénéfique les lipoprotéines et atténuer la déficience visuelle due aux dépôts lipidiques cornéens
- La désignation de médicament orphelin ouvre une nouvelle stratégie pour le développement clinique de la bio-HDL dans les maladies rénales et ophtalmologiques aux États-Unis

Toulouse, FRANCE et Lakeland, ETATS-UNIS, le 29 mars 2022 à 17h45 – ABIONYX Pharma, (FR0012616852 – ABNX – éligible PEA PME), société biotech de nouvelle génération dédiée à la découverte et au développement de thérapies innovantes, annonce aujourd'hui que la *Food and Drug Administration* (FDA) américaine a accordé la désignation de médicament orphelin (ODD – *Orphan Drug Designation*) à la Bio-HDL CER-001 pour le traitement du déficit en lécithine-cholestérol acyltransférase (LCAT). Cette désignation couvre à la fois le déficit partiel en LCAT, caractérisé par le développement de la maladie des yeux de poissons (*Fish-eye Disease*), et le déficit complet en LCAT, qui se manifeste par des symptômes rénaux et des opacités cornéennes. L'évolution du déficit en LCAT, pour lequel il n'existe aucun traitement approuvé, peut conduire à terme à une insuffisance rénale nécessitant une dialyse ou une transplantation rénale et/ou à une opacification cornéenne complète nécessitant une transplantation.

L'Administration Européenne des Médicaments (EMA) a accordé le statut ODD au CER-001 pour le traitement du déficit en LCAT en juillet 2021. Des résultats cliniques positifs de CER-001 dans la maladie provoquée par la déficience en LCAT ont d'ores et déjà été publiés : une publication dans la revue *Annals of Internal Medicine* de mars 2021 décrivait le cas d'une patiente qui était sur le point de subir une dialyse en raison du déclin rapide de sa fonction rénale. La patiente a pu éviter le recours à la dialyse pendant son traitement par CER-001 et

les dépôts lipidiques dans ses cornées, qui provoquaient un flou visuel important, se sont estompés avec le traitement. L'amélioration de la fonction visuelle de cette patiente était toujours observée après un an de suivi. Un deuxième cas a été décrit dans le *Journal of Internal Medicine* en novembre 2021 et a montré que CER-001 réduisait les dépôts lipidiques glomérulaires et ralentissait le déclin de la fonction rénale du patient. De plus, CER-001 a remodelé les lipoprotéines plasmatiques de ce patient en réduisant le taux de LpX, de grands complexes lipidiques anormaux connus pour leur toxicité rénale.

*« Nous sommes heureux d'avoir reçu l'ODD aux Etats-Unis pour CER-001, huit mois seulement après l'ODD en Europe et une semaine après les premiers résultats cliniques positifs dans le traitement de la COVID-19. Ces désignations ODD de la FDA soulignent la pertinence de notre approche pour offrir une nouvelle option thérapeutique aux patients souffrant d'un déficit en LCAT, pour traiter à la fois la dysfonction rénale et la maladie ophtalmique », commente Cyrille TUPIN, Directeur Général d'ABIONYX Pharma. « Nous sommes impatients de présenter de nouveaux résultats cliniques dans les mois à venir et d'apporter un éclairage supplémentaire sur le potentiel de notre plateforme thérapeutique de Bio-HDL dans les maladies rénales et les maladies ophtalmologiques. L'ODD ouvre désormais la voie à ABIONYX Pharma pour le lancement d'un nouveau développement clinique stratégique de la bio-HDL dans les maladies rénales et les maladies ophtalmologiques aux États-Unis. »*

La désignation de médicament orphelin est accordée par la FDA à un médicament ou à un produit biologique destiné à traiter une maladie ou une affection rare, ce qui inclut généralement une maladie ou une affection qui touche moins de 200 000 personnes aux États-Unis. Soutenir le développement et l'évaluation de nouveaux traitements pour les maladies rares est une priorité essentielle pour la FDA. La désignation est accordée sur la base du mécanisme d'action du médicament ou du produit biologique, en tenant compte de la pathogenèse de la maladie ou de l'affection, de son évolution et de son pronostic, ainsi que de la disponibilité des traitements et/ou de la résistance aux traitements disponibles.

La désignation de médicament orphelin permet de bénéficier d'incitations, notamment de crédits d'impôt pour les essais cliniques qualifiés, d'une exemption des frais d'utilisation et d'une exclusivité commerciale potentielle de sept ans après l'approbation.

Prochain communiqué financier : Résultats annuels, le 28 avril 2022

### À propos du bio-HDL CER-001

CER-001 est le premier mimétique de bio-HDL de sa catégorie à cibler directement un défaut métabolique sous-jacent clé du déficit en LCAT. La bio-HDL CER-001 est l'un des biomédicaments les plus avancés et constitue un nouveau traitement potentiel pour les maladies rénales, la septicémie ou le COVID-19, mais aussi pour les maladies ophtalmologiques impliquant des anomalies lipidiques. Ces anomalies pourraient être modifiées par des agents pharmacologiques qui augmentent les taux plasmatiques d'ApoA-I et de HDL, mais surtout qui augmentent le nombre de HDL fonctionnelles. Les propriétés anti-inflammatoires et/ou l'augmentation du transport inverse du cholestérol (TCR) de CER-001 peuvent prévenir le déclin de la fonction rénale et améliorer la vision des patients atteints de LCAT. La Bio-HDL en tant que biomédicament s'est avérée totalement sûre et elle est très bien tolérée comme l'attestent plus de 600 patients impliqués dans toutes les études cliniques précédentes.

### 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