

TiGenix annonce l'obtention de la désignation de médicament orphelin pour le Cx601 en Suisse

Louvain (BELGIQUE) – 17 octobre 2016, 7 h 00 CEST – TiGenix NV (Euronext Bruxelles : TIG), une société biopharmaceutique de pointe spécialisée dans le développement et la commercialisation de nouvelles thérapies issues de ses plateformes exclusives de cellules souches allogéniques expansées, a annoncé aujourd'hui que le Cx601, son principal produit candidat en cours de développement pour le traitement des fistules périanales complexes chez les patients atteints de la maladie de Crohn, avait reçu le statut de médicament orphelin en Suisse. Il s'agit de la seconde désignation de médicament orphelin obtenue pour le Cx601.

Le Cx601, développé par TiGenix et dont la licence de développement et de commercialisation exclusive hors des États-Unis a été récemment acquise par Takeda Pharmaceutical Company Limited (« Takeda »), est une suspension de cellules souches allogéniques expansées dérivées de tissus adipeux (eASC) administrée par injection intra-lésionnelle pour le traitement des fistules périanales complexes chez les patients atteints de la maladie de Crohn chez lesquels la réponse à au moins un des traitements conventionnels ou biologiques est insuffisante. La maladie de Crohn est une maladie inflammatoire chronique de l'appareil gastro-intestinal. Les personnes atteintes de la maladie de Crohn peuvent présenter des fistules périanales complexes pour lesquelles il n'existe que peu d'options thérapeutiques.

Le 15 septembre 2016, Takeda a reçu le statut de médicament orphelin de l'Institut suisse des produits thérapeutiques (Swissmedic) pour le dossier de demande concernant le Cx601, ou eASC, des cellules souches dérivées de tissu adipeux pour la maladie rare que sont les fistules anales. Cette décision reposait sur la reconnaissance de la désignation de médicament orphelin par la Commission européenne en 2009, ainsi que sur la documentation justificative fournie à l'Institut, qui attestait de la qualité, de l'efficacité et de l'innocuité, ainsi que de la rareté de la maladie.

« La préparation et le succès de ce dossier représentent un excellent début pour le partenariat que nous avons récemment officialisé avec Takeda. Ils témoignent également de la valeur médicale considérable du Cx601 dans un domaine aux besoins médicaux non satisfaits », a déclaré Maria Pascual, Vice-présidente des Affaires réglementaires et de la Qualité de TiGenix.

Les désignations de médicaments orphelins sont octroyées à des médicaments ou à des agents biologiques qui ont été étudiés pour le traitement de maladies ou d'affections rares. En Europe, y compris la Suisse, cela s'applique aux maladies touchant moins de cinq personnes sur 10 000. La désignation de médicament orphelin procure au promoteur des mesures incitatives, qui peuvent inclure la possibilité d'une évaluation prioritaire par Swissmedic.

###

Pour plus d'informations

Claudia D'Augusta

Directrice financière

Tél : + 34 91 804 92 64

claudia.daugusta@tigenix.com

À propos de TiGenix

TiGenix NV (Euronext Brussels : TIG) est une société biopharmaceutique de pointe centrée sur le développement et la commercialisation de nouvelles thérapies issues de ses plateformes propriétaires de cellules souches allogéniques expansées, ou provenant de donneurs. Deux produits issus de la plateforme technologique de cellules souches dérivées de tissus adipeux sont en cours de développement clinique: une étude de phase III pour le Cx601 dans le traitement des fistules périanales complexes chez les patients atteints de la maladie de Crohn; et un essai de septicémie expérimentale de phase I et un essai de phase I/II dans l'arthrite rhumatoïde ont été réalisés avec le Cx611. Depuis le 31 juillet 2015, TiGenix a fait l'acquisition de Coretherapix, dont le produit cellulaire phare, AlloCSC-01, fait actuellement l'objet d'un essai clinique de phase II pour le traitement de l'infarctus aigu du myocarde (IAM). En outre, le second produit candidat issu de la plateforme de cellules souches cardiaques acquise de Coretherapix, AlloCSC-02, est actuellement en cours de développement dans une indication chronique. Le 4 juillet 2016, TiGenix a conclu une convention de licence avec Takeda, une société leader en gastro-entérologie, selon laquelle Takeda a acquis le droit exclusif de commercialiser le Cx601 pour le traitement des fistules périanales complexes en dehors des États-Unis. Le siège social de TiGenix est basé à Louvain (Belgique) et la société a également des activités à Madrid (Espagne). Pour plus d'informations, veuillez consulter le site <http://www.tigenix.com>

À propos du Cx601

Le Cx601 est une suspension de cellules souches allogéniques expansées dérivées de tissus adipeux (eASC) injectée localement. Le Cx601 est un médicament expérimental développé pour le traitement des fistules périanales complexes chez les patients atteints de la maladie de Crohn qui 'ont répondu de manière insuffisante à au moins une thérapie conventionnelle ou biologique incluant des antibiotiques, des immunosuppresseurs ou des agents anti-facteur de nécrose tumorale (TNF). La maladie de Crohn est une maladie inflammatoire chronique de l'intestin et les patients peuvent souffrir de fistules périanales complexes pour lesquelles il n'existe actuellement aucun traitement efficace. En 2009, la Commission européenne a octroyé la désignation orpheline au Cx601 pour le traitement des fistules anales, reconnaissant la nature invalidante de la maladie et l'absence d'options de traitement. Le Cx601 a atteint l'objectif principal de l'étude de Phase III ADMIRE-CD chez les patients atteints de la maladie de Crohn souffrant de fistules périanales complexes, un essai randomisé en double-aveugle, contrôlé par placebo, en Europe et en Israël et conçu pour satisfaire aux exigences fixées par l'Agence européenne du médicament. Le « Réseau de Madrid » a émis un prêt bonifié pour aider à financer cette étude de Phase III, financée par le Secrétariat d'état pour la recherche, le développement et l'innovation (Ministère de l'économie et de la compétitivité) dans le cadre du plan INNTEGRA. Le critère d'évaluation principal de l'étude était la rémission combinée, définie comme une évaluation clinique à la 24^e semaine de la cicatrisation de toutes les lésions extérieures ouvertes traitées à la base par drainage malgré une légère compression digitale, et l'absence de collections > 2cm, confirmée par IRM. Dans la population IDT (n = 212), le Cx601 a atteint une supériorité statistiquement significative (p = 0,024) sur le critère principal d'évaluation avec 50 % de rémission combinée à la 24^e semaine, comparée à 34 % dans le groupe placebo. Les résultats d'efficacité étaient solides et cohérents dans l'ensemble des populations statistiques. Les événements indésirables liés au traitement (graves et non-graves) et les arrêts en raison d'événement indésirables étaient équivalents dans le groupe du Cx601 et le groupe placebo. Les résultats de la 24^e semaine ont été publiés par The Lancet, un des revues médicales les plus appréciées et connues dans le monde. L'étude de Phase III a réalisé une analyse de suivi après 52 semaines, confirmant ainsi son efficacité et sa sécurité durables. Les grandes lignes des résultats de

suivi ont démontré qu'au sein de la population IDT, le Cx601 a atteint une supériorité statistique ($p = 0.012$) avec 54 % de rémissions combinées à la 52^e semaine, contre 37 % dans le groupe placebo. Les données de suivi de la 52^e semaine montrent également un taux plus élevé de cicatrisation prolongée chez les patients traités par le Cx601 et en rémission combinée à la 24^e semaine (75,0 %) par rapport aux patients du groupe placebo (55,9 %). Sur la base des résultats positifs de l'étude de Phase III de la 24^e semaine, TiGenix a présenté une demande d'autorisation de mise sur le marché auprès de l'EMA début 2016. TiGenix s'apprête à développer le Cx601 aux États-Unis après avoir conclu une entente avec la FDA à travers une procédure d'évaluation spéciale de protocole (Special Protocol Assessment (SPA) en 2015. Le 4 juillet 2016 TiGenix a conclu un accord de licence avec Takeda, un chef de file de l'industrie pharmaceutique en gastroentérologie, selon lequel Takeda a acquis un droit exclusif de commercialiser le Cx601 pour les fistules périanales complexes chez les patients atteints de la maladie de Crohn en dehors des États-Unis.

Information prospective

Ce communiqué de presse peut contenir des déclarations prospectives et des estimations à l'égard des futures performances de TiGenix et du marché dans lequel elle opère. Certaines de ces déclarations, prévisions et estimations se distinguent par l'utilisation de mots tels que, sans limitation, « croit », « anticipe », « s'attend », « essaye », « prévoit », « cherche à », « estime », « pourrait », « fera » et « continue » et autres expressions similaires. Elles comprennent toutes les questions qui ne sont pas des faits historiques. De telles déclarations, prévisions et estimations sont fondées sur diverses hypothèses et évaluations des risques connus et inconnus, incertitudes et autres facteurs, qui ont été jugés raisonnables quand ils ont été formulés, mais qui peuvent se révéler incorrects. Les événements réels sont difficiles à prédire et peuvent dépendre de facteurs qui échappent au contrôle de la Société. Par conséquent, les résultats réels, la situation financière, les performances et les réalisations de TiGenix, ou encore les résultats industriels, peuvent se révéler sensiblement différents des résultats, performances ou réalisations futurs exprimés ou sous-entendus par ces déclarations, prévisions et estimations. Compte tenu de ces incertitudes, aucune déclaration n'est faite quant à l'exactitude ou l'équité de ces déclarations prospectives, prévisions et estimations. En outre, les estimations prospectives, déclarations et estimations ne sont valables qu'à la date de publication de ce communiqué de presse. TiGenix décline toute obligation d'actualiser ces déclarations prospectives, prévisions ou estimations pour refléter tout changement dans les attentes de la Société à leur égard, ou toute modification des événements, conditions ou circonstances sur lesquels ces déclarations, prévisions ou estimations se fondent, sauf dans la mesure requise par la législation belge.