

L'Agence européenne des médicaments accepte le plan d'investigation pédiatrique pour le Cx601

Louvain (BELGIQUE) – le 8 septembre 2014 – TiGenix NV (Euronext Bruxelles : TIG), société biopharmaceutique avancée spécialisée dans le développement et la commercialisation de nouveaux produits thérapeutiques à base de sa plateforme propriétaire de cellules souches allogéniques adipeuses expansées (eASC), a annoncé aujourd'hui que le Comité pédiatrique de l'Agence européenne des médicaments (EMA) a émis un avis positif au sujet du plan d'investigation pédiatrique (PIP) de la Société pour le Cx601, un produit à base de cellules souches injecté localement, actuellement en Phase III de son développement clinique, destiné au traitement de fistules périanales complexes chez des patients atteints de la maladie de Crohn.

Un PIP accepté est une des conditions nécessaires pour demander à l'EMA une autorisation de mise sur le marché d'un nouveau médicament. Il décrit comment une société compte évaluer l'utilisation du nouveau produit chez les enfants. Une fois le PIP terminé, la société reçoit un brevet d'exclusivité supplémentaire de six mois pour le produit. Le Cx601 a obtenu l'appellation de Médicament orphelin de l'EMA en 2009, lui donnant ainsi une exclusivité sur le marché de dix ans à partir de la date d'autorisation de mise sur le marché.

Le PIP pour le Cx601 consiste en un essai non comparatif, multi-centres et ouvert afin d'évaluer l'effet du Cx601 en tant que traitement de fistules anales complexes chez au moins 20 patients atteints de la maladie de Crohn, âgés de 4 à 17 ans. L'étude évaluera son efficacité et sa fiabilité. L'objectif principal sera la rémission des fistules périanales dans le cadre de la maladie de Crohn à la semaine 24, définie comme la fermeture de toutes les ouvertures externes qui coulaient au début de l'étude. L'étude aura une période de suivi d'un an.

« Nous sommes ravis de l'avis positif émis par l'EMA concernant le PIP du Cx601, qui nous permet de continuer la procédure de demande d'autorisation de mise sur le marché du Cx601 au cours du premier semestre 2016 », a déclaré Maria Pascual, VP aux affaires réglementaires et à la qualité d'entreprise chez TiGenix. « En nous reposant sur les forces du programme de développement pour adultes et l'ensemble de données qui seront accumulées au cours de la phase de post-commercialisation, nous avons obtenu l'accord de l'Agence sur un essai très spécialisé. L'étude ne débutera pas avant 2020, soit trois ans après le lancement prévu du Cx601, en 2017. »

Pour plus d'informations

Richard Simpson
Senior Consultant, Comfi S.P.R.L.
Tél. +32 494 578 278
richard@comfi.be

À propos du Cx601

Le Cx601 est une suspension de cellules souches allogéniques expansées dérivées de tissu adipeux (eASC) administrée localement au moyen d'une injection intralésionnelle. Le Cx601 est développé pour le traitement des fistules périanales de la maladie de Crohn. La maladie de Crohn est une maladie inflammatoire chronique de l'intestin et les patients peuvent présenter des fistules périanales complexes pour lesquelles il n'existe actuellement aucun traitement efficace. En 2009, la Commission européenne a attribué la désignation orpheline au Cx601 pour le traitement des fistules anales, reconnaissant la nature invalidante de la maladie et le manque de possibilités de traitement. Lors d'un essai clinique de Phase II, le Cx601 s'est montré efficace à 24 semaines dans 56 % des canaux fistulaires traités, un résultat deux fois plus élevé que pour la norme de soin actuelle (inhibiteurs du TNF). L'efficacité a été déterminée par la fermeture et la réépithélisation totales de la

fistule traitée avec absence d'écoulement. De plus, 69,2 % des patients ont affiché une diminution du nombre de canaux présentant initialement un écoulement. L'essai a également confirmé la sécurité de l'utilisation de cellules souches allogéniques pour le traitement des fistules périanales. Compte tenu de ces résultats, TiGenix a sollicité un avis scientifique auprès de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) concernant le futur modèle de développement du Cx601. TiGenix a ensuite lancé un essai de Phase III à répartition aléatoire, en double insu et contrôlé par placebo en Europe et en Israël (278 patients recrutés, 8 pays, 52 centres) conçu conformément aux exigences formulées par l'EMA. Cette étude pivot est destinée à rendre possible la demande d'une autorisation de mise sur le marché en Europe et à servir d'étude justificative majeure pour effectuer des demandes d'approbation dans d'autres territoires, notamment les États-Unis. Le principal critère d'évaluation de l'étude consiste en la rémission de la maladie fistuleuse, à savoir la guérison à 100 % des canaux. L'essai livre une première analyse complète des résultats à 24 semaines ; une analyse de suivi est ensuite réalisée 52 semaines après le traitement. L'appréciation de la guérison comprend une évaluation clinique et une confirmation par IRM (absence d'abcès dont la taille est supérieure à 2 cm²). Le recrutement des patients de l'essai clinique de Phase III a commencé à la mi-2012 et le recrutement de l'échantillon entier de patients devrait se terminer dans le courant de l'année 2014. Le premier rapport clinique devrait être disponible au troisième trimestre de 2015. Si les résultats se révèlent positifs, TiGenix a l'intention de soumettre une demande d'autorisation de mise sur le marché auprès de l'EMA au début de l'année 2016 ; ainsi, la Commission européenne pourrait prendre une décision vers la fin de l'année 2016. TiGenix se prépare à développer le Cx601 pour le marché américain. La société a l'intention de désigner une organisation de fabrication en sous-traitance (CMO) aux États-Unis avec laquelle elle entamera le transfert de technologie destiné à permettre la production du Cx601 aux États-Unis ; la société sollicitera une évaluation spéciale de protocole (Special Protocol Assessment (SPA)) auprès de la FDA afin de s'assurer que la conception d'un nouveau essai de Phase III, à effectuer aux États-Unis, est conforme aux exigences de l'agence dans le cadre de l'approbation future du Cx601.

À propos de TiGenix

TiGenix NV (Euronext Bruxelles : TIG) est une société biopharmaceutique avancée spécialisée dans le développement et la commercialisation de nouveaux produits thérapeutiques à base de sa plateforme propriétaire de cellules souches allogéniques, ou venant de donneur, adipeuses expansées, connues sous le nom d'eASC, pour traiter les maladies inflammatoires et auto-immunes. Deux produits utilisant cette technologie sont actuellement en phase de développement clinique. Le Cx601 est en Phase III pour le traitement de fistules périanales complexes chez les patients atteints de la maladie de Crohn. Le Cx611 est en Phase IIb pour le traitement de la polyarthrite rhumatoïde précoce et en Phase Ib pour le traitement du sepsis sévère. TiGenix a également développé le ChondroCelect, un produit cellulaire autologue pour la réparation du cartilage du genou, qui fut le premier médicament thérapeutique avancé (ATMP) à être approuvé par l'Agence européenne des médicaments (EMA). Depuis juin 2014, les droits de commercialisation et distribution du ChondroCelect ont été exclusivement octroyés sous licence à Sobi pour l'Union européenne (sauf pour la Finlande, où le médicament est distribué par Finnish Red Cross Blood Service), la Norvège, la Russie, la Suisse et la Turquie, ainsi que les pays du Moyen-Orient et de l'Afrique du Nord. TiGenix a son siège social à Louvain (Belgique) et aussi des activités à Madrid (Espagne). Pour plus d'informations, allez sur www.tigenix.com.

Informations prospectives

Ce document peut contenir des déclarations prospectives et des estimations à l'égard des futures performances de TiGenix et du marché sur lequel elle opère. Certaines de ces déclarations, prévisions et estimations peuvent être reconnues par l'utilisation de mots tels que « croit », « anticipe », « s'attend à », « projette », « planifie », « cherche », « estime », « peut », « veut » et « continue » (liste non exhaustive) et d'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 des évaluations des risques, incertitudes et autres facteurs connus et inconnus, 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 indépendants de la volonté de TiGenix. Par conséquent, les résultats réels, conditions financières, performances ou réalisations de TiGenix, ou les résultats de l'industrie, peuvent s'avérer

sensiblement différents des résultats, performances ou réalisations futurs tels qu'ils sont 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, ces dernières ne sont valables qu'à la date de la publication du présent document. TiGenix décline toute obligation d'actualiser ces déclarations prospectives, prévisions ou estimations afin de refléter tout changement dans les attentes de la société à leur égard, ou tout changement dans les événements, conditions ou circonstances sur lesquels ces déclarations, prévisions ou estimations sont fondées, à l'exception de ce qui est requis par la législation belge.