

## TiGenix présentera les résultats positifs de la phase III du Cx601 lors de la *Digestive Disease Week*, aux États-Unis

**Louvain (BELGIQUE) – le 18 mai 2016, 07h00 CET – TiGenix NV (Euronext Brussels : TIG), une société biopharmaceutique avancée spécialisée dans le développement et la commercialisation de nouveaux produits thérapeutiques à partir de sa plateforme propriétaire de cellules souches allogéniques expansées, est fière de présenter les résultats positifs à la semaine 24 de son étude pivot de phase III ADMIRE-CD sur le Cx601 à l’occasion de la *Digestive Disease Week (DDW) 2016* à San Diego, Californie (États-Unis).**

Les résultats positifs à la semaine 24 de la phase III ADMIRE-CD seront présentés par le professeur Julian Panés, chef du service de gastroentérologie à la Clinique hospitalière de Barcelone et président du comité consultatif scientifique (CCS) ADMIRE-CD de TiGenix en Europe, lors de la session de la DDW dédiée aux essais cliniques contrôlés dans les maladies intestinales inflammatoires, le 24 mai 2016 à 8 h 00 PDT. La DDW est le plus grand congrès international de médecins, chercheurs et universitaires dans les domaines de la gastroentérologie, de l’hépatologie, de l’endoscopie et de la chirurgie gastrointestinale aux États-Unis.

Dans cette étude de phase III randomisée, à double insu et contrôlée par placebo, le Cx601 a satisfait au critère d’évaluation principal, la rémission combinée de fistules périanales complexes à la semaine 24. Comme rapporté précédemment, le Cx601 a continué de montrer un effet durable à la semaine 52, tout en confirmant le profil favorable de sécurité et de tolérabilité du traitement. La rémission combinée est définie comme l’évaluation clinique de la fermeture de tous les orifices externes traités qui présentaient un écoulement à l’origine, associée à l’absence d’abcès > 2 cm des fistules périanales traitées confirmée par l’évaluation centralisée en aveugle de l’Imagerie par Résonance Magnétique, et il s’agit d’une définition plus stricte de la rémission que celle habituellement utilisée dans les essais cliniques sur la maladie des fistules périanales.

« L’effet durable du Cx601 après une injection unique est remarquable, en particulier si l’on tient compte du fait qu’une majorité de patients traités étaient réfractaires aux traitements disponibles », a affirmé le docteur Julián Panés. « Le Cx601 s’est avéré fournir une alternative thérapeutique durable, efficace et sûre pour le traitement de cet état clinique grave », a-t-il poursuivi.

« Le fait que l’étude ADMIRE-CD ait été sélectionnée à la DDW pour une présentation orale est une preuve de sa qualité », a fait remarquer le docteur Marie Paule Richard, Chief Medical Officer chez TiGenix. « Nous sommes honorés de présenter les résultats de notre étude de phase III à la communauté médicale américaine à l’occasion d’un congrès si prestigieux, et nous sommes certains que cela les sensibilisera au Cx601, en particulier au moment où nous préparons le lancement de notre essai pivot de phase III en vue de son enregistrement aux États-Unis », a-t-elle déclaré.

« Après l’accord de la FDA sur le nouveau plan d’étude de phase III et l’analyse envisagée, le Cx601 suit une voie de développement et réglementaire clairement définie en vue de son approbation aux États-Unis », a commenté le docteur William J. Sandborn, professeur de médecine et professeur adjoint de chirurgie, chef du service de gastroentérologie et directeur de l’UCSD Inflammatory Bowel Disease Center à l’Université de Californie, à San Diego, et de l’UC San Diego Health System de San Diego. De plus, le docteur Sandborn est membre du CCS de TiGenix aux États-Unis, il a affirmé que « le Cx601 s’est avéré une nouvelle approche du traitement des fistules périanales complexes pour lesquelles il n’existe encore aucune guérison. Rien qu’aux États-Unis, 30 000 patients attendent un traitement efficace de cette maladie invalidante. »

Il s'agit du tout premier essai de phase III positif avec des cellules souches allogéniques, ce qui confirme la position de leader de TiGenix dans le domaine de la thérapie cellulaire. Au premier trimestre 2016, TiGenix a soumis à l'Agence Européenne des Médicaments une demande d'Autorisation de Mise sur le Marché pour le Cx601 et prévoit de lancer sa commercialisation sur les marchés européens au cours du second semestre 2017.

**Pour plus d'informations, veuillez contacter :**

TiGenix  
Claudia D'Augusta  
Chief Financial Officer  
Tél. : +34 91 804 92 64  
claudia.daugusta@tigenix.com

**À propos de TiGenix**

*TiGenix NV (Euronext Brussels : TIG) une société biopharmaceutique avancée spécialisée dans le développement et la commercialisation de nouveaux produits thérapeutiques à partir de sa plateforme propriétaire de cellules souches allogéniques, ou provenant de donneurs, expansées. Deux produits de la plateforme technologique de cellules souches dérivées de tissus adipeux sont en cours 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 a réalisé un essai de provocation du sepsis de phase I et un essai de phase I/II portant sur l'arthrite rhumatoïde. 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 est actuellement en cours de développement dans la perspective d'une indication chronique. Par ailleurs, TiGenix a développé le ChondroCelect, un produit cellulaire autologue pour la réparation du cartilage du genou, qui fut le premier médicament de thérapie innovante (Advanced Therapy Medicinal Product, ATMP) à être approuvé par l'Agence européenne des médicaments (EMA). Depuis juin 2014, les droits de commercialisation et de distribution du ChondroCelect font l'objet d'une licence exclusive accordée à Sobi pour l'Union européenne (à l'exception de la Finlande, où il est distribué par les services transfusionnels de la Croix-Rouge finlandaise), la Norvège, la Russie, la Suisse et la Turquie, ainsi que les pays du Moyen-Orient et d'Afrique du Nord. Basée à Louvain (Belgique), TiGenix a également des activités à Madrid (Espagne). Pour plus d'informations, veuillez visiter le site [www.tigenix.com](http://www.tigenix.com).*

**À propos du Cx601**

*Le Cx601 est une suspension de cellules souches allogéniques expansées dérivées de tissus adipeux (eASC) administrée par injection intralésionnelle. Le Cx601 est actuellement en cours de développement pour le traitement des fistules périanales complexes chez les patients atteints 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 accordé la désignation de médicament orphelin au Cx601 en ce qui concerne le traitement des fistules anales, reconnaissant ainsi le caractère invalidant de cette maladie et le manque d'options de traitement. Compte tenu des résultats positifs de la phase II, TiGenix a sollicité l'avis scientifique de l'Agence européenne des Médicaments (EMA) au sujet du trajet de développement futur du Cx601. TiGenix a ensuite lancé un essai randomisé en double aveugle contre placebo de phase III en Europe et en Israël en vue de réunir les critères imposés par l'EMA (l'essai ADMIRE-CD). Madrid Network, une organisation active dans la Région autonome de Madrid aidant des sociétés à croître par l'innovation de haute technologie, a accordé un prêt à taux réduit pour contribuer au financement de cette étude de phase III. Le programme est financé par le secrétaire d'État à la Recherche, au Développement et à l'Innovation (ministère de l'Économie et de la Compétitivité) dans le cadre du plan INNTegra. Le*

principal critère d'évaluation de l'étude était la rémission combinée (définie par l'évaluation clinique à la semaine 24 de la fermeture de tous les orifices externes traités qui présentaient un écoulement à l'origine, malgré une pression digitale douce), associée à l'absence d'abcès > 2 cm confirmée à l'IRM. Dans l'essai ADMIRE-CD, dont les résultats ont été rapportés en août 2015, le Cx601 affichait une supériorité statistiquement significative ( $p < 0,025$ ) concernant le critère principal d'évaluation, avec 49,5 % de rémissions combinées à la semaine 24, contre 34,3 % dans le groupe placebo en ITT<sup>1</sup>. Ces résultats correspondent à un risque relatif de 1,44, ce qui signifie que les patients recevant le Cx601 présentaient une probabilité de parvenir à une rémission combinée 44 % supérieure à celle des patients du groupe placebo. Les résultats d'efficacité étaient solides et constants dans toutes les analyses statistiques. Les événements indésirables liés au traitement (graves et non graves) et les arrêts de traitement liés à des événements indésirables étaient comparables entre les groupes Cx601 et placebo. L'essai ADMIRE-CD a réalisé une analyse de suivi à 52 semaines post-traitement. Sur la base des résultats positifs de l'essai de phase III après 24 semaines, TiGenix a introduit une demande d'autorisation de mise sur le marché auprès de l'EMA début 2016. TiGenix s'apprête à développer le Cx601 pour le marché américain après avoir conclu un accord avec la FDA par le biais d'une évaluation spéciale de protocole (special protocol assessment ou SPA), une procédure concernant son protocole proposé le 7 août 2015.

### **Informations prospectives**

Le présent communiqué de presse peut contenir des énoncés et estimations de nature prospective liés, entre autres, à l'anticipation des performances futures de TiGenix et du marché sur lequel la société est active. 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. Par ailleurs, les énoncés, prévisions et estimations prospectifs ne valent qu'à la date de publication du présent communiqué de presse. TiGenix n'a pas l'obligation de mettre à jour ces déclarations prévisionnelles, prévisions ou estimations pour refléter tout changement des attentes de la Société concernant des événements, conditions ou circonstances utilisés pour fonder ces déclarations, prévisions ou estimations, sauf dans la mesure exigée par le droit belge.

<sup>1</sup> ITT: Analyse en intention de traiter, c'est-à-dire en analysant tous les patients randomisés