

## TiGenix lance un essai clinique global de phase III pour Cx601

**Louvain (BELGIQUE) - 13 juin 2017, 07h CEST - TiGenix NV (Euronext Brussels et NASDAQ : TIG), société biopharmaceutique de pointe axée sur l'exploitation des propriétés anti-inflammatoires des cellules souches allogéniques expansées, ou provenant de donneurs, pour le développement de nouveaux traitements destinés à des conditions médicales graves, a annoncé aujourd'hui la convocation de sa première réunion de chercheurs européens en vue de lancer officiellement l'essai clinique pivot de phase III au niveau global de Cx601 pour le traitement des fistules périanales complexes chez les patients souffrant de la maladie de Crohn. À partir du dernier trimestre 2017, des réunions similaires sont prévues en Europe (UE), en Israël, aux États-Unis et au Canada. Le but de cet essai global est de soutenir une prochaine demande d'autorisation pour le Cx601 aux États-Unis.**

La première réunion de chercheurs qui s'est tenue les 8 et 9 juin à Rome (Italie) a rassemblé plus de 60 gastro-entérologues importants, des chirurgiens colorectaux et des coordinateurs de l'étude venus de plus de 30 centres participant à l'essai clinique en Belgique, en Espagne, en Italie, en Pologne et en République Tchèque. La réunion comprenait des exposés de plusieurs coordinateurs nationaux et régionaux, parmi lesquels il convient de mentionner le coordinateur principal spécialisé en gastro-entérologie en UE/Israël, le professeur Julián Panés, Chef de l'Unité des maladies inflammatoires de l'intestin à l'Hôpital Clínic de Barcelone (Espagne), président de l'Organisation Européenne de la Maladie de Crohn et de la Colite (ECCO), et le coordinateur de l'étude chirurgicale en UE/Israël, le Dr. Damián García Olmo, chef du Service de Chirurgie à l'Hôpital Universitaire Fundación Jiménez Díaz, de l'Université Autonome de Madrid (Espagne).

L'essai clinique pivot de phase III au niveau global est une étude randomisée, en double aveugle et contrôlée par placebo, conçue pour confirmer les niveaux d'efficacité et de sécurité d'une dose unique de Cx601 dans le cadre du traitement des fistules périanales complexes chez les patients souffrant de la maladie de Crohn. La conception de cette étude est semblable à l'essai européen de phase III ADMIRE-CD pour Cx601 et le critère principal d'évaluation est le même dans les deux cas. En janvier 2017, la Food and Drug Administration (FDA) aux États-Unis a autorisé la mise au point du protocole pour l'essai global de phase III et a confirmé qu'une prochaine demande d'autorisation de produits biologiques (Biologics License Application, BLA) pourrait se fonder sur les résultats de l'étude pour la semaine 24, et non pas pour la semaine 52, pour un groupe de patients plus grand que l'évaluation du protocole spécial (Special Protocol Assessment, SPA) initialement souscrite en août 2015. Grâce à ces ajustements, l'essai bénéficiera d'un processus de sélection plus flexible pour écourter les délais, ainsi qu'une demande plus rapide et la possibilité d'accélérer l'obtention de l'autorisation du produit aux États-Unis.

« Les réunions de chercheurs sont essentielles pour assurer le succès d'un essai clinique quelconque. La participation et la collaboration d'un ensemble d'experts de renom dans le domaine de la médecine gastro-intestinale confirme le vif intérêt de la communauté médicale pour notre essai global de phase III et, en dernier lieu, pour le traitement de Cx601 comme nouveau traitement possible chez les patients », a déclaré la Dr. Marie-Paule Richard, directrice médicale de TiGenix.

« Après avoir participé en tant que chercheur essentiel à l'essai européen ADMIRE-CD, dont le critère principal d'évaluation et le profil de sécurité et d'efficacité ont été remplis, je suis ravi de coopérer dans cet essai global en tant que coordinateur de l'étude pour l'Europe et Israël », a déclaré le professeur Julián Panés. « Nous espérons pouvoir continuer à améliorer les résultats obtenus avec l'essai ADMIRE-CD pour offrir aux patients un remède durable dans le traitement des fistules périanales complexes, qui sont encore une complication grave et invalidante de la maladie de Crohn. »

## Pour plus d'informations

**Claudia D'Augusta**

Chief Financial Officer

T: +34 91 804 92 64

[claudia.daugusta@tigenix.com](mailto:claudia.daugusta@tigenix.com)

## À propos de TiGenix

*TiGenix NV (Euronext Bruxelles et Nasdaq : TIG) est une société biopharmaceutique de pointe spécialisée dans le développement de nouvelles thérapies centrées sur l'exploitation des propriétés anti-inflammatoires de cellules souches allogéniques expansées ou issues de donneurs.*

*L'essai clinique de phase III européen du produit phare de TiGenix, le Cx601, dans le traitement des fistules périanales complexes - une complication grave et invalidante de la maladie de Crohn, a été achevé avec succès. Le Cx601 a fait l'objet d'un dépôt pour approbation en Europe et un essai de phase III global visant à soutenir une demande de licence de produits biologiques (BLA) devrait être initié en 2017. TiGenix a conclu un accord de licence avec Takeda, une société pharmaceutique mondiale spécialisée en gastro-entérologie, selon lequel Takeda a acquis le droit exclusif de développer et commercialiser le Cx601 pour le traitement des fistules périanales complexes en dehors des États-Unis. Le deuxième produit de TiGenix dérivé des cellules adipeuses, le Cx611, est en cours d'essai de phase I/II dans le sepsis sévère - une cause majeure de mortalité dans les pays développés. Enfin, l'AlloCSC-01, qui cible les cardiopathies ischémiques aiguës, a montré des résultats positifs dans un essai de phase I/II dans l'infarctus aigu du myocarde (IAM). 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 de Cx601

*Le Cx601 est une suspension de cellules souches allogéniques (ou dérivées de donneurs) expansées dérivées de tissus adipeux (eASC) injectée localement pour le traitement des fistules périanales complexes chez des patients atteints d'une maladie de Crohn qui ont précédemment répondu de manière insuffisante à une thérapie conventionnelle. La maladie de Crohn est une maladie inflammatoire chronique de l'intestin et les fistules périanales complexes représentent une complication grave et invalidante pour laquelle il n'existe actuellement aucun traitement efficace. Le Cx601 a reçu la désignation de médicament orphelin par la Commission européenne en 2009. TiGenix a terminé un essai clinique de phase III européen (ADMIRE-CD) en août 2015 au cours duquel le critère d'évaluation principal ainsi que le profil de sécurité d'emploi et d'efficacité ont été atteints, la probabilité que les patients traités par le Cx601 atteignent une rémission combinée par rapport à un témoin (placebo) étant supérieure à 44 %. Une analyse du suivi a été réalisée jusque 104 semaines après le traitement, confirmant le profil de sécurité et d'efficacité durable du produit. Les résultats à la semaine 24 de l'essai de phase III ADMIRE-CD ont été publiés dans la revue The Lancet en juillet 2016 (Panés J et al. Lancet. 2016;388:1281-90). Sur la base des résultats positifs de l'étude de Phase III à la 24<sup>e</sup> semaine, TiGenix a présenté une demande d'autorisation de mise sur le marché auprès de l'Agence européenne des médicaments (European Medicines Agency, EMA) et une décision est attendue en 2017. Un essai clinique mondial de phase III conçu pour supporter la future demande d'homologation de produit biologique (Biologics License Application, BLA) aux États-Unis devrait débuter en 2017, sur la base d'un protocole d'essai qui a été approuvé par l'Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux (Food and Drug Administration, FDA) grâce à une procédure d'évaluation spéciale de protocole (special protocol assessment procedure, SPA). En juillet 2016, TiGenix a conclu un accord de licence avec Takeda, une société pharmaceutique mondiale spécialisée en gastro-entérologie, selon lequel Takeda a acquis les droits exclusifs de développer et commercialiser le Cx601 pour le traitement des fistules périanales complexes chez les patients atteints d'une 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 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 évaluations des risques, incertitudes et autres facteurs connus et inconnus, qui ont été jugés raisonnables quand ils ont été formulés, mais qui pourraient s'avérer ou ne pas s'avérer corrects. 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 communiqué de presse. 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.*