

## La FDA américaine accorde à TiGenix l'appellation de médicament orphelin pour le Cx601

Louvain (BELGIQUE) - 23 octobre 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 que l'Agence Américaine des Aliments et des Médicaments (*Food and Drug Administration, FDA*) a accordé l'appellation de médicament orphelin (*Orphan Drug Designation, ODD*) au Cx601 pour le traitement des patients atteints de la maladie de Crohn et souffrant de fistules.

TiGenix a initié un essai clinique pivot de phase III au niveau global durant la première moitié de 2017 dans le but de présenter auprès de la FDA une prochaine demande d'autorisation de produits biologiques (*Biologics License Application, BLA*) pour le Cx601, un produit innovant fondé sur des cellules souches allogéniques dans le cadre du traitement de fistules périanales complexes chez les patients souffrant de la maladie de Crohn qui ont précédemment répondu de manière insuffisante à une thérapie biologique ou conventionnelle. En parallèle, TiGenix explore d'autres procédures permettant d'accélérer la soumission et le processus de révision pour l'approbation du médicament aux États-Unis.

« L'obtention de l'appellation de médicament orphelin accordée par la FDA est un grand pas en avant dans le programme de développement du Cx601 », a déclaré le Docteur María Pascual, vice-présidente des Affaires Règlementaires et de la Qualité au sein de TiGenix. « La reconnaissance du Cx601 comme médicament orphelin de la part de la FDA entraîne un ensemble d'avantages financiers potentiels et reflète nos efforts constants dans la recherche de voies permettant d'accélérer l'approbation du produit aux États-Unis. »

La FDA accorde l'appellation de médicament orphelin aux produits innovants destinés au traitement de conditions médicales qui touchent plus de 200 000 personnes aux États-Unis. Cette appellation, dont le but est de faciliter le développement de médicaments pour le traitement de maladies rares, présente d'importants avantages pour le parrain, dont sept ans d'exploitation commerciale en exclusivité après l'obtention de l'autorisation de commercialisation, des crédits d'impôts pour les coûts de recherche clinique, l'accès à des subventions pour des produits orphelins ou l'exonération de certains tarifs administratifs.

### Pour plus d'informations :

**Claudia Jiménez**

Senior Director Investor Relations and Communications

Tél. : +34918049264

Claudia.jimenez@tigenix.com

## **À propos de TiGenix**

TiGenix NV (Euronext Brussels et NASDAQ : TIG) est une société biopharmaceutique qui développe 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) qui a débuté en 2017 aux États-Unis. 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) et à Cambridge (Massachusetts, États-Unis). 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 complété un essai clinique européen de phase III (ADMIRE-CD) en août 2015. Les données de la semaine 24 ont été publiées dans *The Lancet* et ont prouvé que l'objectif d'évaluation primaire et le profil de sécurité et d'efficacité ont bien été remplis<sup>1</sup>. Une analyse du suivi a été réalisée jusqu'à 104 semaines après le traitement, confirmant le profil de sécurité et d'efficacité durable du produit<sup>2</sup>. Les résultats à la semaine 24[2] de l'essai de phase III ADMIRE-CD ont été publiés dans la revue *The Lancet* en juillet 2016<sup>1</sup>. Sur la base des résultats positifs de l'étude de Phase III à la 24ème 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 du CHMP est attendue en 2017. Un essai clinique mondial de phase III (ADMIRE\_CD\_III) conçu pour supporter la future demande d'homologation de produit biologique (Biologics License Application, BLA) aux États-Unis a débuté 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) ([clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov); NT03279081). 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

<sup>1</sup> Panés J, García-Olmo D, Van Assche G *et al.*, Expanded allogeneic adipose-derived mesenchymal stem cells (Cx601) for complex perianal fistulas in Crohn's disease: a phase 3 randomized, double-blind controlled trial. *The Lancet*. 2016; 388(10051):1281-90.

<sup>2</sup> Panes, J. *et al.*, OP009 Long-term efficacy and safety of Cx601, allogeneic expanded adipose-derived mesenchymal stem cells, for complex perianal fistulas in Crohn's disease: 52-week results of a phase III randomised controlled trial. *J Crohn's Colitis*. 2017; 11: S5-S5.

*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.*