



The apoA-I companY

Communiqué de presse

## **Journée Mondiale des Maladies Rares : ABIONYX s’engage plus que jamais dans la Déficience LCAT (Maladie de Norum) et fait le point sur ses avancées**

- **Engagement auprès de la communauté des malades LCAT pour la création d’une association de patients et une aide au diagnostic précoce**
- **Préparation du dépôt de la demande d’Autorisation de Mise sur le Marché auprès de l’EMA suite à l’exemption de phase 3 clinique et à l’accord pour la validation de deux lots de bio-production**
- **Bénéfice de la Désignation de Maladie Orpheline à la fois sur la forme rénale et ophtalmologique en Europe et aux Etats-Unis**

Toulouse, FRANCE, Lakeland MI, USA, 28 février 2025 à 7h30 – ABIONYX Pharma (FR0012616852 - ABNX - éligible PEA PME), biopharma de nouvelle génération dédiée au développement de biomédicaments innovants basés sur une apolipoprotéine apoA-I recombinante pour le traitement des maladies inflammatoires les plus sévères, fait aujourd’hui le point sur ses avancées et confirme son engagement dans une maladie rare, la Déficience LCAT ou « Maladie de Norum ».

### **Engagement auprès de la communauté des malades LCAT pour la création d’une association de patients et une aide au diagnostic précoce**

Conformément à sa *Raison d’Etre* inscrite dans ses statuts, « *Développer des thérapies innovantes dans des indications sans traitement efficace ou existant, même les plus rares, pour le bénéfice des patients* », ABIONYX Pharma est engagée dans les maladies inflammatoires les plus sévères où les besoins médicaux sont les plus élevés et sans traitement existant.

De ce fait, en plus du ciblage des maladies à composantes inflammatoires très sévères telles que la septicémie, la société est engagée dans le développement d’un biomédicament pour la Déficience LCAT ou Maladie de Norum. Cette maladie rare, qui touche moins de 1 personne sur 1 000 000 dans le monde, se caractérise par un trouble rare du métabolisme des lipoprotéines qui engendre une atteinte rénale et/ou ophtalmologique très sévère qui peut conduire à la dialyse, la transplantation d’organes et/ou la perte de la vision. La mission d’offrir enfin une option de traitement à ces patients LCAT s’appuie sur une expertise R&D dans les maladies métaboliques et marque un engagement fort auprès de la communauté de ces patients.

À l'occasion de la journée internationale des Maladies Rares qui a lieu tous les ans le dernier jour de février, ABIONYX Pharma fait part de son engagement pour améliorer le parcours de soins et la prise en charge des patients, et lutter contre l'errance diagnostique, véritable frein pour les patients atteints d'une maladie rare. Ainsi, la société a par exemple encouragé l'identification des patients LCAT en ophtalmologie dans plusieurs centres médicaux français de référence, dont l'Hôpital Cochin à Paris ou l'Hôpital de Rangueil à Toulouse, sur la base de l'identification plus fréquente de la forme oculaire de la maladie, également connue sous le nom de « Fish Eye Disease ».

ABIONYX Pharma est déterminée à agir sans relâche pour faire tomber les barrières rencontrées par la communauté des malades LCAT dans le monde. La société aide à la reconnaissance de cette maladie très rare et a pu offrir gracieusement, malgré des moyens financiers encore limités, son biomédicament à des patients en Europe, dans le cadre d'un usage compassionnel. Ces actions ont été effectuées en faveur de personnes éprouvant des difficultés d'accès aux traitements. ABIONYX espère ainsi que chaque patient LCAT puisse rester en meilleure santé grâce à un diagnostic fiable le plus précoce et un traitement spécifique.

A ce titre, ABIONYX Pharma s'engage à soutenir d'ores et déjà la création d'une association européenne de patients LCAT pour aider à la reconnaissance de cette maladie très rare et ses deux formes particulières rénale et ophtalmologique. Enfin, la société collabore étroitement avec la Filière de Santé Maladies Rares et les sociétés savantes en néphrologie et ophtalmologie pour favoriser le diagnostic précoce (biochimique et génétique) de cette maladie génétique aux conséquences dramatiques.

### **Préparation du dépôt de la demande d'Autorisation de Mise sur le Marché auprès de l'EMA suite à l'exemption de phase 3 clinique et l'accord pour la validation de deux lots de bioproduction uniquement**

Suite à un avis positif de l'EMA pour le CER-001 dans la Déficience en LCAT pour soumettre les données provenant de seulement deux lots prospectifs de validation au lieu des 3 lots exigés habituellement, ABIONYX Pharma présentera d'ici la fin de l'année les données cliniques de CER-001 liées à son utilisation compassionnel auprès des patients LCAT traités issus de quatre pays européens, en vue d'une demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM).

Il convient de rappeler que les premiers résultats cliniques positifs de CER-001 dans la Déficience LCAT ont été publiés en mars 2021 en exclusivité dans la revue scientifique « Annals of Internal Medicine ». Ils révélaient que la patiente qui était sur le point d'être dialysée en raison du déclin rapide de sa fonction rénale, a pu éviter la nécessité d'une dialyse grâce à son traitement avec CER-001. La patiente qui souffrait de dépôts lipidiques au niveau des cornées, a également constaté la disparition du flou visuel.

### **Bénéfice de la Désignation de Maladie Orpheline à la fois sur la forme rénale et ophtalmologique en Europe et aux Etats-Unis**

Début 2021, l'Agence européenne des médicaments (EMA) avait émis un avis positif sur la demande de désignation de médicament orphelin de la société pour le candidat-biomédicament CER-001, comme traitement potentiel de la Déficience LCAT. Début 2022, la Food and Drug Administration (FDA) accordait à son tour la désignation de

médicament orphelin (ODD) au CER-001 pour le traitement du déficit LCAT, dans la dysfonction rénale et/ou la maladie ophtalmologique

Cette désignation de maladie orpheline offre une reconnaissance forte de la Déficience LCAT encore trop méconnue en Europe et aux Etats-Unis, et marque l'importance du besoin pressant d'un traitement innovant pour ces patients atteints de cette maladie grave, invalidante et permanente. Cette désignation permettra l'accélération sécurisée du futur développement commercial, grâce à un accès à la procédure centralisée d'autorisation de mise sur le marché (AMM) de part et d'autre de l'Atlantique, ainsi qu'à l'exclusivité commerciale de 10 à 12 ans à partir de l'obtention de l'AMM.

La désignation de médicament orphelin par l'EMA et la FDA offre enfin à la société des incitations et avantages importants, notamment une assistance pour les protocoles cliniques, des procédures d'évaluation différenciées pour les évaluations des technologies de la santé, et surtout des frais réglementaires réduits.

#### A propos d'ABIONYX Pharma

ABIONYX Pharma est une société de biotechnologie de nouvelle génération qui a pour objectif de contribuer à la santé par des thérapies innovantes dans des indications où il n'existe pas de traitement efficace ou existant, même les plus rares. Grâce à ses partenaires dans la recherche, la médecine, la biopharmacie et l'actionnariat, la société innove au quotidien pour proposer des médicaments pour le traitement des maladies rénales et ophtalmologiques, ou de nouveaux vecteurs apoA-I utilisés pour l'administration ciblée de médicaments.

#### Contacts

##### **NewCap**

Investor relations  
Louis-Victor Delouvrier  
Nicolas Fossiez  
abionyx@newcap.eu  
+33 (0)1 44 71 98 53

##### **NewCap**

Media relations  
Arthur Rouillé  
abionyx@newcap.eu  
+33 (0)1 44 71 94 98