

## Biophytis dépose une demande de désignation de Médicament Orphelin pour Sarconeos dans la Dystrophie Musculaire de Duchenne (DMD)

### Présentation du nouveau programme de développement clinique dans la myopathie de Duchenne baptisé MYODA

Paris (France), 20 mars 2018, 18h45 - BIOPHYTIS (Euronext Growth Paris : ALBPS), société de biotechnologie spécialisée dans le développement de candidats médicaments pour traiter les maladies dégénératives du vieillissement, annonce avoir déposé une demande de désignation de médicament orphelin auprès de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) et présente MYODA, le nouveau programme de développement clinique de Sarconeos dans la Dystrophie Musculaire ou myopathie de Duchenne (DMD).

**Stanislas Veillet, PDG de BIOPHYTIS, déclare :** « *Le dépôt de la demande de désignation de Médicament Orphelin auprès de l'EMA, et bientôt auprès de la FDA, marque une étape importante dans le développement de Sarconeos dans la myopathie de Duchenne. Les preuves de concept chez l'animal, présentées en 2017 au congrès de la World Muscle Society, ainsi que les discussions avec les cliniciens et les associations de patients nous ont incités à étudier le potentiel de Sarconeos dans le traitement de cette indication orpheline pédiatrique particulièrement sévère. Nous avons pu ainsi préciser les éléments principaux du plan de développement clinique de Sarconeos dans cette dystrophie musculaire, qui sera constitué de deux études : une étude de pharmacocinétique de phase I/II MYODA-PK qui devrait débuter en 2018 et une étude d'efficacité de phase II/III MYODA-INT qui pourrait démarrer en 2019. Alors qu'il n'existe que très peu d'options thérapeutiques efficaces, Sarconeos est un candidat médicament d'une nouvelle classe qui a le potentiel de ralentir significativement l'évolution de la maladie et pourrait être utilisé seul ou en combinaison avec la thérapie génétique, quand celle-ci sera disponible, chez les enfants atteints de la myopathie de Duchenne.* »

- **Le statut de médicament orphelin pour Sarconeos dans la myopathie de Duchenne**

Biophytis a déposé une demande de désignation de médicament orphelin pour Sarconeos dans la myopathie de Duchenne auprès de l'EMA, et va faire cette même demande auprès de la FDA dans les prochains jours. La réponse des deux agences est attendue dans les prochains mois, et pourrait conférer à Sarconeos les avantages associés au statut de médicament orphelin, en particulier une procédure d'enregistrement accélérée et une protection de 8 ou 10 ans après autorisation de mise sur le marché.

Cette demande fait suite aux études de preuve de concept présentées au congrès de la World Muscle Society en 2017, ayant démontré que dans le modèle animal de référence de la myopathie de Duchenne, Sarconeos avait significativement amélioré la tolérance à l'effort et la force musculaire, et réduit la fibrose. Elle est la première étape réglementaire visant à obtenir les autorisations de développer Sarconeos dans la myopathie de Duchenne, en parallèle de son développement dans la sarcopénie. Elle est la concrétisation de la mise en place d'une stratégie de développement des candidats médicaments de Biophytis non seulement dans des maladies gériatriques chroniques, mais aussi dans des maladies dégénératives d'origine génétique.

- **Le plan de développement clinique de Sarconeos dans la myopathie de Duchenne**

Le plan de développement clinique de Sarconeos dans la myopathie de Duchenne est constitué de deux études cliniques principales : une étude de pharmacocinétique de phase I/II MYODA-PK qui devrait débuter en 2018 et une étude d'efficacité de phase II/III MYODA-INT qui pourrait démarrer en 2019. Alors qu'il n'existe que très peu d'options thérapeutiques efficaces, Sarconeos est un candidat médicament d'une nouvelle classe qui a le potentiel de ralentir significativement l'évolution de la maladie et pourrait être utilisé seul ou en combinaison avec la thérapie génétique quand celle-ci sera disponible chez les enfants atteints de la myopathie de Duchenne.

#### **MYODA-PK**

L'étude MYODA-PK de phase I/II a pour objectif de confirmer la sécurité, de préciser la pharmacocinétique et la pharmacodynamique de Sarconeos chez des jeunes enfants atteints de la myopathie de Duchenne. L'étude sera conduite chez environ 24 garçons atteints de la myopathie de Duchenne âgés de 2 à 18 ans, en double-aveugle, contrôlée par placebo, en 2 phases : administration à dose unique ascendante (SAD) et dose multiple ascendante (MAD). Les données collectées serviront à préciser la posologie qui sera retenue pour l'essai clinique de phase II/III. MYODA-PK se déroulera en Europe dans plusieurs centres d'investigation pédiatrique.

#### **MYODA-INT**

L'étude multicentrique internationale de phase II/III MYODA-INT évaluera l'innocuité et l'efficacité d'une dose de Sarconeos chez 60 garçons ambulants atteints de la myopathie de Duchenne. D'une durée minimale d'administration de 6 mois, l'étude sera randomisée, en double-aveugle, contre placebo. Le principal critère d'évaluation sera le North Star Ambulatory Assessment (NSAA), qui mesure les capacités motrices des enfants ambulants atteints de DMD. Conduite en Europe et aux Etats-Unis, les résultats de cette étude devraient permettre de déposer une demande conditionnelle d'autorisation de mise sur le marché.

\*\*\*\*\*

#### **A propos de MYODA**

MYODA est le nom du nouveau programme de développement clinique du candidat médicament Sarconeos dans la Dystrophie Musculaire ou myopathie de Duchenne (DMD). Sarconeos est un candidat médicament qui active le récepteur MAS, stimulant l'anabolisme musculaire et réduisant l'apparition de fibroses musculaires, ayant le potentiel de ralentir l'évolution de la maladie, en particulier de retarder la perte de mobilité. Le programme de développement clinique comprendra une étude de pharmacocinétique de phase I/II (MYODA-PK) qui devrait débuter en 2018 et une étude de phase II/III (MYODA-INT) qui devrait démarrer en 2019.

#### **A propos de la Dystrophie Musculaire de Duchenne**

La dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) est une maladie musculaire héréditaire liée au chromosome X, qui concerne 1 garçon sur 3500, et qui se caractérise par une faiblesse musculaire évolutive et une cardiomyopathie, entraînant une mort prématurée. Les muscles subissent des cycles répétés de nécrose/régénération et sont remplacés par des tissus conjonctifs et adipeux. Les glucocorticoïdes et les traitements de soutien sont le standard de soins actuel, ce qui laisse de nombreux patients sans solution thérapeutique.

#### **A propos de SARCONEOS**

Sarconeos est le premier représentant d'une nouvelle classe de candidat médicament, activateur du récepteur MAS (acteur majeur du système Rénine Angiotensine), stimulant l'anabolisme musculaire, inhibant la myostatine, et favorisant le développement de la masse musculaire dans des modèles animaux de dystrophies musculaires. Sarconeos est développé dans le traitement de la Sarcopénie, une dystrophie musculaire liée à l'âge caractérisée par une perte de masse et de force musculaire, entraînant une perte de mobilité chez les seniors. Cette nouvelle condition pathologique, sans traitement médicamenteux, décrite pour la première fois en 1993 et qui vient d'être répertoriée dans le catalogue des maladies de l'OMS (M62.84), touche plus de 50 millions de patients dans le monde.

## A propos de BIOPHYTIS

BIOPHYTIS est une société de biotechnologie créée en 2006, spécialisée dans les maladies liées au vieillissement. Elle développe des solutions thérapeutiques innovantes sur des pathologies, sans traitement, en vue de restaurer les fonctions musculaires et visuelles. Ainsi BIOPHYTIS concentre ses efforts de recherche et de développement dans la lutte contre la dégénérescence maculaire liée à l'âge (DMLA) et la dystrophie musculaire liée à l'âge (sarcopénie). Sur ces deux pathologies particulièrement invalidantes, la société dispose de candidats médicaments propriétaires entrant en phase 2b : Sarconeos et Macuneos.

Le modèle économique de BIOPHYTIS est d'assurer la conduite des projets jusqu'à la preuve d'activité clinique chez le patient, puis de licencier les technologies pour poursuivre le développement en partenariat avec un laboratoire pharmaceutique.

Installée sur le campus de l'Université Pierre et Marie Curie (UPMC, Paris), BIOPHYTIS s'appuie sur des collaborations de recherche de premier plan avec l'Université Pierre & Marie Curie, l'Institut de Myologie et l'Institut de la Vision.

BIOPHYTIS est une société cotée sur le marché Euronext Growth d'Euronext Paris (ALBPS ; ISIN : FR0012816825).

Pour plus d'informations : <http://www.biophytis.com>

 Suivez-nous sur Twitter @biophytis

BIOPHYTIS est éligible au dispositif PEA-PME



### Avertissement

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives. Bien que la Société considère que ses projections sont basées sur des hypothèses raisonnables, ces déclarations prospectives peuvent être remises en cause par un certain nombre d'aléas et d'incertitudes, de sorte que les résultats effectifs pourraient différer significativement de ceux anticipés dans lesdites déclarations prospectives. Pour une description des risques et incertitudes de nature à affecter les résultats, la situation financière, les performances ou les réalisations de BIOPHYTIS et ainsi à entraîner une variation par rapport aux déclarations prospectives, veuillez-vous référer à la section « Facteurs de Risque » du Prospectus d'Admission des actions de la Société à la cotation sur le marché Euronext Growth d'Euronext à Paris déposé auprès de l'AMF et disponible sur les sites Internet de l'AMF ([www.amf-france.org](http://www.amf-france.org)) et de BIOPHYTIS ([www.biophytis.com](http://www.biophytis.com)).

Le présent communiqué, et les informations qu'il contient, ne constituent ni une offre de vente ou de souscription, ni la sollicitation d'un ordre d'achat ou de souscription, des actions BIOPHYTIS dans un quelconque pays. Les éléments qui figurent dans cette communication peuvent contenir des informations prospectives impliquant des risques et des incertitudes. Les réalisations effectives de la Société peuvent être substantiellement différentes de celles anticipées dans ces informations du fait de différents facteurs de risque et d'incertitude. Ce communiqué de presse a été rédigé en langues Française et Anglaise ; en cas de différence entre les textes, la version française prévaudra.

**BIOPHYTIS**  
**Stanislas VEILLET**  
CEO  
contact@biophytis.com  
Tel: +33 (0) 1 41 83 66 00

**Citigate Dewe Rogerson**  
**Presse internationale & Investisseurs**  
**Laurence BAULT/Antoine DENRY**  
[Laurence.bault@citigatedewerogerson.com](mailto:Laurence.bault@citigatedewerogerson.com)  
[antoine.denry@citigatedewerogerson.com](mailto:antoine.denry@citigatedewerogerson.com)  
Tel: +33 (0)1 53 32 84 78  
Mob: +33(0)6 64 12 53 61

**LifeSci Advisors**  
**Chris MAGGOS**  
Managing Director, Europe  
chris@lifesciadvisors.com  
Tel: +41 79 367 6254