

## Biophytis obtient le statut de Médicament Orphelin aux Etats-Unis pour Sarconeos dans la Dystrophie Musculaire de Duchenne (DMD)

Paris (France), 15 mai 2018, 19h30 - BIOPHYTIS (Euronext Growth Paris : ALBPS), société de biotechnologie spécialisée dans le développement de candidats médicaments pour lutter contre les maladies dégénératives liées à l'âge, annonce que la FDA (Food and Drug Administration) a accordé le statut de Médicament Orphelin à son candidat médicament Sarconeos dans la Dystrophie Musculaire ou myopathie de Duchenne (DMD).

**Stanislas Veillet, PDG de BIOPHYTIS, déclare :** « *Le statut de médicament orphelin attribué par la FDA marque une étape importante pour le développement de Sarconeos dans la myopathie de Duchenne, une indication pédiatrique particulièrement sévère. Nous espérons obtenir ce statut en Europe dans les prochaines semaines. Nous pourrions ainsi conduire le programme clinique MYODA. Ce programme serait constitué de deux études : une étude de pharmacocinétique de phase 1/2a MYODA-PK qui pourrait débuter en 2018 et une étude d'efficacité de phase 2/3 MYODA-INT, qui pourrait démarrer en 2019.* »

La désignation de Sarconeos comme Médicament Orphelin par la FDA lui confère les avantages suivants aux Etats-Unis : une protection de 7 ans après autorisation de mise sur le marché, un co-financement des études cliniques par la FDA sous réserve d'approbation, et la possibilité d'une procédure d'enregistrement accélérée. Biophytis a également déposé une demande de désignation de Médicament Orphelin pour Sarconeos dans la myopathie de Duchenne auprès de l'EMA (Agence Européenne du Médicament), dont la réponse est attendue dans les prochaines semaines.

L'efficacité de Sarconeos dans le traitement de la myopathie de Duchenne a été présentée au congrès de la World Muscle Society en 2017 : il a été démontré que dans le modèle animal de référence, Sarconeos avait significativement amélioré la tolérance à l'effort et la force musculaire, et réduit la fibrose. Il n'existe que très peu d'options thérapeutiques efficaces et 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 génique quand celle-ci sera disponible chez les enfants atteints de la myopathie de Duchenne.

\*\*\*\*

### 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 Sorbonne Université à Paris, BIOPHYTIS s'appuie sur des collaborations de recherche de premier plan avec plusieurs Instituts de Sorbonne Université : l'Institut de Biologie Paris Seine, 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