



Communiqué de presse

ABIONYX Pharma annonce une nouvelle Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC) pour CER-001 en Europe dans la maladie rare Déficience LCAT ou maladie de Norum

- **4^{ème} patient européen dans le cadre des AAC dans la maladie rare Déficience LCAT dite maladie de Norum**
- **Cohérence et consistance scientifiques des données cliniques des 3 premiers patients**
- **Données de sécurité et de tolérance du traitement toujours aussi positives**
- **Discussions constructives avec les autorités réglementaires européennes pour définir une voie rapide de développement clinique de CER-001 pour les patients atteints de cette maladie rare**
- **Défi médical majeur pour le traitement de la Déficience LCAT ou maladie de Norum compte tenu de la progression constante de la maladie et du déclin rapide de la fonction rénale, même après une greffe de rein**

Toulouse, FRANCE, Lakeland, ETATS-UNIS, 10 juillet 2023, 18h00 – ABIONYX Pharma, (FR0012616852 – ABNX – éligible PEA PME), société biotech de nouvelle génération dédiée à la découverte et au développement de thérapies innovantes basées sur la seule ApoA-I humaine recombinante au monde, annonce que la société s'est vu accorder une nouvelle Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC) en Europe pour CER-001 dans la maladie rénale rare sans traitement existant de la Déficience LCAT.

C'est le quatrième patient atteint de Déficience LCAT dite maladie de Norum à pouvoir être traité dans le cadre d'une Autorisation d'Accès Compassionnel pour ABIONYX Pharma en Europe. Les quatre patients atteints de cette maladie rare très impactante sur la qualité et la durée de vie, représentent des stades d'évolution très divers de la maladie pour laquelle CER-001 peut s'avérer efficace, que les patients soient transplantés ou non et ce, quel que soit leur âge.

CER-001 constituerait une avancée thérapeutique unique pour les patients qu'il convient de diagnostiquer le plus tôt possible pour leur éviter la dialyse, puis une ou plusieurs transplantations durant leur vie. L'administration précoce de CER-001 chez les patients jeunes atteints de la maladie de Norum pourrait avoir un réel effet bénéfique sur ces patients et transformer leur vie et surtout retarder la fin de leur vie, tout en réduisant de manière très significative la prise en charge de leur maladie, que ce soit avec la dialyse ou une ou plusieurs transplantations.

Les données de sécurité et de tolérance du traitement sont toujours aussi positives, aucun événement indésirable n'ayant été signalé pour aucun des patients.

Des discussions constructives ont de fait été engagées avec les autorités réglementaires européennes afin de définir une voie permettant de faire avancer rapidement le développement clinique de CER-001 dans la population de patients atteints de cette maladie rare.

Le traitement de la Déficience LCAT ou maladie de Norum est un enjeu médical important, compte tenu de la progression constante de la maladie qui entraîne un déclin néphrologique rapide, suivi souvent par le décès prématuré, et de l'absence totale de traitements approuvés permettant de ralentir ou de modifier l'évolution de la maladie.

ABIONYX Pharma continue de recevoir et de satisfaire des demandes d'Autorisation d'Accès Compassionnel émanant d'hôpitaux du monde entier. La bioproduction du dernier lot et des lots suivants de CER-001 au plus haut standard de qualité GMP permettra de répondre à ces demandes, et les résultats cliniques des premiers patients seront communiqués en exclusivité par voie de publication scientifique.

A propos de la Déficience LCAT ou Maladie de Norum

La Déficience LCAT est une maladie dégénérative rare qui touche environ 1 nouveau-né sur 1 000 000. Elle se caractérise par une insuffisance rénale et une anémie hémolytique, parfois par des opacités de la cornée, et biochimiquement par un taux de HDL-cholestérol sévèrement réduit. Elle est causée par des mutations du gène LCAT dont l'activité enzymatique catalyse la formation d'esters de cholestérol dans les lipoprotéines. L'accumulation du cholestérol non estérifié dans le corps, notamment dans la cornée, les globules rouges et les reins, entraîne une dégénérescence grave qui peut mener à un décès précoce. Il n'existe actuellement aucune option thérapeutique susceptible de modifier le cours de la maladie des patients atteints de la déficience LCAT, dite Maladie de Norum du nom du médecin norvégien Kaare Norum qui l'a identifiée et étudiée dans les années 60. À ce jour, il n'existe aucun traitement approuvé pour cette maladie.

A propos d'ABIONYX Pharma

ABIONYX Pharma est une société biotech de nouvelle génération qui entend contribuer à la santé grâce à des thérapies innovantes dans des indications sans traitement efficace ou existant, même les plus rares. Grâce à ses partenaires chercheurs, médecins, producteurs de biomédicaments et actionnaires, la société innove quotidiennement pour proposer des médicaments pour le traitement des maladies rénales et ophtalmologiques, ou de nouveaux vecteurs HDL utilisés pour la délivrance ciblée de médicaments.

Contacts :

NewCap

Relations investisseurs
Louis-Victor Delouvrier
Nicolas Fossiez
abionyx@newcap.eu
+33 (0)1 44 71 94 94

NewCap

Relations médias
Arthur Rouillé
abionyx@newcap.eu
+33 (0)1 44 71 94 94