Cambridge, États-Unis, le 15 décembre 2023 — Biogen Inc. (Nasdaq : BIIB) annonce que le Comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) s'est prononcé en faveur de l'autorisation de mise sur le marché de SKYCLARYS® (omaveloxolone) dans le traitement de l'ataxie de Friedreich chez les adultes et les adolescents âgés de plus de 16 ans. S'il est autorisé par la Commission européenne, SKYCLARYS sera le premier traitement indiqué dans l'Union européenne pour cette maladie rare, génétique, neuromusculaire, à caractère évolutif [1]. S'il est autorisé, le traitement sera commercialisé sous le nom de SKYCLARYS®.

« La recommandation du CHMP en faveur de SKYCLARYS est une étape importante pour atteindre notre objectif et proposer aux patients européens un traitement ralentissant la progression de l'ataxie de Friedreich », déclare Priya Singhal, Docteure en médecine et Directrice mondiale du développement de Biogen. *« Dès l'obtention de l'autorisation de mise sur le marché de SKYCLARYS, nous nous appuierons sans attendre sur notre expertise et nos compétences dans le domaine des maladies rares pour proposer ce traitement innovant aux professionnels de santé et aux patients de l'Union européenne.* »

L'avis positif rendu par le CHMP est fondé sur les données relatives à l'efficacité et la tolérance du traitement issues de la deuxième partie de l'essai clinique versus placebo MOXIe, d'une durée de 48 semaines. À la fin de cette période, les patients ayant reçu SKYCLARYS présentaient moins de déficits physiques que ceux ayant reçu le placebo, tel que mesuré par l'échelle mFARS (*modified Friedreich Ataxia Rating Scale* ou échelle modifiée d'évaluation de l'ataxie de Friedreich). L'évaluation des sous-rubriques de la mFARS, notamment la stabilité en position verticale, la coordination des membres inférieurs, la coordination des membres

supérieurs et la déglutition, a également montré des améliorations chez les patients traités avec SKYCLARYS, versus le placebo. Des données complémentaires étayant ces résultats ont été fournies dans une analyse post hoc avec appariement sur score de propension dans laquelle les patients traités par SLYCLARYS lors de l'étude MOXIe (première et deuxième parties) présentaient un score inférieur sur l'échelle mFARS à 3 ans, comparé à un groupe de patients issus d'une étude sur l'histoire naturelle de la maladie. Les événements indésirables les plus courants sont augmentation des enzymes hépatiques, perte de poids et de l'appétit, nausées, vomissements, diarrhée, maux de tête, fatigue, douleurs oropharyngées et dorsales, contractures musculaires et grippe.

La recommandation du CHMP doit désormais faire l'objet d'un examen par la Commission européenne afin de statuer sur l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché dans l'Union européenne, décision attendue pour le premier trimestre 2024. En février 2023, l'agence américaine du médicament (*U.S. Food and Drug Administration – FDA*) a autorisé l'omaveloxolone (commercialisée sous le nom de SKYCLARYS ®) aux États-Unis, pour le traitement de l'ataxie de Friedreich chez les adultes et les adolescents âgés de 16 ans et plus.

À propos de SKYCLARYS® (omaveloxolone)

SKYCLARYS® (omaveloxolone) est un médicament administré une fois par jour par voie orale indiqué dans le traitement de l'ataxie de Friedreich chez les adultes et les adolescents âgés de 16 ans et plus aux États-Unis. La FDA l'a désigné comme médicament orphelin et médicament pour une maladie pédiatrique rare et l'a évalué dans le cadre d'une procédure accélérée, dite « *fast track* ».

La Commission européenne a accordé à l'omaveloxolone la désignation de médicament orphelin en Europe pour le traitement de l'ataxie de Friedreich.

À propos de l’ataxie de Friedreich

L’ataxie de Friedreich (AF) est une maladie génétique rare caractérisée par une dégénérescence neuromusculaire, à caractère évolutif et invalidant. Elle diminue l’espérance de vie des personnes qui en sont atteintes. Elle est la plus fréquente des ataxies héréditaires.[2, 3]

Les premiers symptômes de l'AF, tels que la perte progressive de coordination, la faiblesse musculaire et la fatigue, apparaissent généralement dans l’enfance et peuvent s’ajouter à d'autres maladies.[4]

La plupart des personnes atteintes d’AF devront utiliser un fauteuil roulant dans les 10 à 20 ans suivant l’apparition des premiers symptômes.[2]

L’espérance de vie moyenne des patients atteints d’AF est de seulement 37 ans, bien qu’avec des soins appropriés et ciblés, certains puissent vivre de nombreuses années après avoir été immobilisés en fauteuil roulant.[5-7]

À propos de Biogen

Créée en 1978, Biogen est une entreprise internationale de biotechnologies pionnière dans le traitement des maladies du cerveau sans solution, complexes et dévastatrices. Biogen est à l’origine de nombreuses innovations thérapeutiques, incluant une large offre thérapeutique dans la sclérose en plaques, le premier traitement autorisé dans l’amyotrophie spinale et deux traitements co-développés dans la maladie d'Alzheimer (aux États-Unis), le premier traitement ciblant une forme génétique de la sclérose latérale amyotrophique ou Maladie de Charcot (aux États-Unis), le premier traitement oral autorisé dans la dépression post-partum (aux États-Unis) et le premier traitement autorisé dans l’ataxie de Friedreich (aux États-Unis). Biogen est à la pointe de la science et de l’innovation sur les médicaments de demain en neurologie, neuropsychiatrie, immunologie et maladies rares. Biogen s’engage au service de

l'humain grâce à la science, pour bâtir un monde en meilleure santé, plus durable et plus équitable.

Biogen Safe Harbor

This news release contains forward-looking statements about the potential benefits, safety and efficacy of omaveloxolone; potential regulatory discussions, submissions and approvals and the timing thereof; the treatment of Friedreich's ataxia; the potential of Biogen's commercial business and pipeline programs, including Friedreich's ataxia; and risks and uncertainties associated with drug development and commercialization. These statements may be identified by words such as "aim," "anticipate," "believe," "could," "estimate," "expect," "forecast," "intend," "may," "plan," "possible," "potential," "will," "would" and other words and terms of similar meaning. Drug development and commercialization involve a high degree of risk, and only a small number of research and development programs result in commercialization of a product. Results in early-stage clinical studies may not be indicative of full results or results from later stage or larger scale clinical studies and do not ensure regulatory approval. You should not place undue reliance on these statements.

These statements involve risks and uncertainties that could cause actual results to differ materially from those reflected in such statements, including without limitation unexpected concerns that may arise from additional data, analysis or results obtained during clinical studies; the occurrence of adverse safety events; risks of unexpected costs or delays; the risk of other unexpected hurdles; regulatory submissions may take longer or be more difficult to complete than expected; regulatory authorities may require additional information or further studies, or may fail or refuse to approve or may delay approval of Biogen's drug candidates, including omaveloxolone; actual timing and content of submissions to and decisions made by the regulatory authorities regarding omaveloxolone; uncertainty of success in the development and potential commercialization of omaveloxolone; failure to protect and enforce Biogen's data, intellectual property and other proprietary rights and uncertainties relating to intellectual property claims and challenges; product liability claims; third party collaboration risks; and the direct and indirect impacts of the ongoing COVID-19 pandemic on Biogen's business, results of operations and financial condition. The foregoing sets forth many, but not all, of the factors that could cause actual results to differ from Biogen's expectations in any forward-looking statement. Investors should consider this cautionary statement as well as the risk factors identified in Biogen's most recent annual or quarterly report and in other reports Biogen has filed with the U.S. Securities and Exchange Commission. These statements speak only as of

the date of this news release. Biogen does not undertake any obligation to publicly update any forward-looking statements.

Références :

1. Friedreich's Ataxia Research Alliance. "What is FA?" Disponible à l'adresse suivante : https://www.curefa.org/what-is-friedreichs-ataxia#
.
Consulté en novembre 2023.

2. National Institute of Neurological Disorders and Stroke. Friedreich Ataxia. Disponible à l'adresse suivante : https://www.ninds.nih.gov/health-information/disorders/friedreich-ataxia
.
Consulté en novembre 2023.

3. Schulz JB, Boesch S, Bürk K, Dürr A, Giunti P, Mariotti C, Pousset F, Schöls L, Vankan P, Pandolfo M. Diagnosis and treatment of Friedreich ataxia: a European perspective. Nat Rev Neurol. 2009 Apr;5(4):222-34. doi: 10.1038/nrneurol.2009.26. PMID: 19347027.

4. Fogel BL, Perlman S. Clinical features and molecular genetics of autosomal recessive cerebellar ataxias. Lancet Neurol. 2007 Mar;6(3):245-57. doi: 10.1016/S1474-4422(07)70054-6. PMID: 17303531.

5. Parkinson MH, Boesch S, Nachbauer W, Mariotti C, Giunti P. Clinical features of Friedreich's ataxia: classical and atypical phenotypes. J Neurochem. 2013 Aug;126 SupplÂÂ 1:103-17. doi : 10.1111/jnc.12317. PMID: 23859346.

6. Tsou AY, Paulsen EK, Lagedrost SJ, Perlman SL, Mathews KD, Wilmot GR, Ravina B, Koeppen AH, Lynch DR. Mortality in Friedreich ataxia. J Neurol Sci. 2011 Aug 15;307(1-2):46-9. doi: 10.1016/j.jns.2011.05.023. Publication électronique, 8ÂÂ juin 2011. PMID : 21652007.

7. Corben LA, Collins V, Milne S, Farmer J, Musheno A, Lynch D, Subramony S, Pandolfo M, Schulz JB, Lin K, Delatycki MB; Clinical Management Guidelines Writing Group. Clinical management guidelines for Friedreich ataxia : best practice in rare diseases. Orphanet J Rare Dis. 2022 Nov 12;17(1):415. doi: 10.1186/s13023(-022)-02568-3. PMID: 36371255; PMCID: PMC9652828.