



## Advicenne obtient l'opinion positive de l'EMA pour la Désignation de Médicament Orphelin pour ADV7103 dans la Cystinurie en Europe

**Nîmes, France, le 18 décembre 2019 – 17h45 CET** - Advicenne (Euronext : ADVIC - FR0013296746), société pharmaceutique spécialisée dans le développement et la commercialisation de traitements innovants pour maladies orphelines rénales, annonce aujourd'hui avoir reçu, de la part de l'Agence européenne des médicaments (EMA), une opinion positive pour la désignation de médicament orphelin pour son candidat médicament ADV7103 dans le traitement de la cystinurie en Europe.

**Le Dr Luc-André Granier, PDG et co-fondateur d'Advicenne,** commente : « *L'opinion positive de l'Agence européenne d'accorder la désignation de médicament orphelin à ADV7103 dans le traitement de la cystinurie revêt une importance stratégique pour le développement de notre produit. Cette désignation nous offre un avantage important en nous donnant un accès à la procédure centralisée d'autorisation de mise sur le marché ainsi qu'une exclusivité commerciale dans la Communauté Européenne de dix ans à partir de l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché.* »

La désignation de médicament orphelin est accordée aux médicaments en développement destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic d'une maladie grave ou débilitante dont la prévalence ne dépasse pas 5 cas sur 10 000 personnes dans l'Union européenne et pour laquelle il n'existe pas de solution satisfaisante ou de traitements alternatifs.

La cystinurie est une maladie génétique caractérisée par une accumulation de cystine dans les reins et la vessie conduisant à la formation récurrente de calculs de cystine. Ces calculs de cystine entraînent diverses complications, comme l'hypertension, de fortes douleurs abdominales, des infections urinaires à répétition, des troubles de la fonction rénale pouvant entraîner à terme une défaillance rénale.

Sa prévalence est estimée à 1 pour 10 000 soit environ 70 000 patients touchés en Europe. Un essai clinique pivot de phase II/III (étude CORAL) est actuellement en cours afin d'évaluer l'efficacité, la sécurité, la tolérance et l'observance d'ADV7103 chez les patients atteints de cystinurie en Europe.

ADV7103 dispose également d'une désignation de médicament orphelin en Europe depuis 2017 dans le traitement de l'acidose tubulaire rénale distale (ATRd), une maladie rénale rare qui survient lorsque les reins sont incapables d'éliminer efficacement l'accumulation des acides circulants dans le sang. ADV7103 a déjà démontré son efficacité et sa sécurité dans l'ATRd lors d'études cliniques de phase III européennes et est actuellement en essai clinique de phase III dans cette indication aux États-Unis et au Canada.

### Qu'est-ce qu'une Désignation de Médicament Orphelin ?

La désignation de médicament orphelin est un statut destiné à encourager le développement de médicaments pour des maladies rares. Elle offre d'importants avantages stratégiques dont, notamment, une exclusivité commerciale de 10 ans suivant l'autorisation de mise sur le marché en Europe. De plus, elle donne droit à des subventions et des crédits d'impôt, une assistance à l'élaboration de protocoles

cliniques et des exonérations ou réductions de frais réglementaires pendant le développement, voire l'enregistrement du produit.

## **A propos d'Advicenne**

Advicenne (Euronext : ADVIC) est une société pharmaceutique spécialisée dans le développement et la commercialisation de traitements innovants pour maladies orphelines. Notre programme phare fait actuellement l'objet d'essais cliniques avancés dans deux maladies du rein.

En 2017, ADV7103 a obtenu la désignation de médicament orphelin par la Commission européenne dans le traitement de l'acidose tubulaire rénale distale (ATRd), une maladie rénale rare qui survient lorsque les reins sont incapables d'éliminer efficacement l'accumulation des acides circulants dans le sang. Actuellement en essais cliniques de phase III pour cette indication en Europe, aux Etats-Unis et au Canada, ADV7103 rentre dans le cadre d'une procédure centralisée européenne pour sa demande de mise sur le marché.

En parallèle de la préparation du lancement commercial européen d'ADV7103 dans l'ATRd, Advicenne mène des essais dans le traitement de la cystinurie, une maladie génétique caractérisée par une accumulation de cystine dans les reins et la vessie. Les essais cliniques européens de phase II/III d'ADV7103 dans cette deuxième indication, ont récemment été étendus à la Belgique.

Chez Advicenne, nous nous engageons à innover aussi dans les domaines de la formulation et de la galénique. Nos travaux de recherches visent en particulier à développer des candidats médicaments sans goût et facile à administrer, sous forme de granules ou de comprimés de petite taille permettant un dosage adapté et personnalisé – parce que des traitements innovants pour les maladies rares devraient être accessibles aux patients de tous âges.

Basée à Nîmes, Advicenne est cotée sur Euronext Paris depuis 2017 et sur Euronext Bruxelles depuis 2019 en cotation croisée.

## **Contacts :**

### **Advicenne**

Luc-André Granier, Paul Michalet,  
Julie Rachline  
Email : [investors@advicenne.com](mailto:investors@advicenne.com)  
+33 (0)4 66 05 54 20

### **Relations Presse**

Alize RP  
Caroline Carmagnol  
Email : [advicenne@alizerp.com](mailto:advicenne@alizerp.com)  
+33 (0)6 64 18 99 59

### **Communication financière**

NewCap  
Emmanuel Huynh & Alexia Faure  
Email : [advicenne@newcap.eu](mailto:advicenne@newcap.eu)  
+33 (0)1 44 71 94 94

## **Déclarations prospectives - Advicenne**

Ce communiqué contient des déclarations prospectives. Ces déclarations ne constituent pas des faits historiques. Ces déclarations comprennent des projections et des estimations ainsi que les hypothèses sur lesquelles elles reposent, des déclarations portant sur des projets, des objectifs, des intentions et des attentes concernant des

résultats financiers, des événements, des opérations, le développement de produits et leur potentiel ou les performances futures.

Ces déclarations prospectives peuvent souvent être identifiées par les mots « s'attendre à », « anticiper », « croire », « avoir l'intention de », « estimer » ou « planifier », ainsi que par d'autres termes similaires. Bien que la direction d'Advicenne estime que ces déclarations prospectives sont raisonnables, les investisseurs sont alertés sur le fait qu'elles sont soumises à de nombreux risques et incertitudes, difficilement prévisibles et généralement en dehors du contrôle d'Advicenne qui peuvent impliquer que les résultats et événements effectifs réalisés diffèrent significativement de ceux qui sont exprimés, induits ou prévus dans les informations et déclarations prospectives. Ces risques et incertitudes comprennent notamment les incertitudes inhérentes à la mise sur le marché et à la commercialisation des médicaments développés par Advicenne ainsi que ceux qui sont développés ou identifiés dans les documents publics déposés par Advicenne auprès de l'Autorité des marchés financiers y compris ceux énumérés dans le chapitre 4 « Facteurs de risque » du document de référence d'Advicenne enregistré auprès de l'Autorité des marchés financiers le 3 décembre 2018 sous le numéro R.18-073 et dans la section 8 de son rapport financier annuel publié le 30 avril 2019. Advicenne ne prend aucun engagement de mettre à jour les informations et déclarations prospectives sous réserve de la réglementation applicable notamment les articles 223-1 et suivants du règlement général de l'Autorité des marchés financiers.

Les informations sur l'utilisation de candidats médicaments éventuellement présentées dans ce communiqué de presse se basent sur les résultats issus de nos études à l'heure de sa publication ; étant précisé qu'un candidat médicament est un produit n'ayant pas encore fait l'objet d'une autorisation de mise sur le marché délivrée par une Agence de Santé.