

L'Agence européenne du médicament va examiner la demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) de tofersen dans le traitement d'une forme génétique rare de SLA

- La sclérose latérale amyotrophique (SLA)¹ avec mutation du gène *SOD1* est une maladie rare présente chez environ 2 % des personnes atteintes de SLA.²
- Si tofersen était approuvé, il deviendrait le premier traitement à cibler un gène responsable de la SLA.

Cambridge, États-Unis. – le 5 décembre 2022 – [Biogen Inc.](#) (Nasdaq : BIIB) annonce que l'Agence européenne du médicament (EMA) a accepté d'examiner la demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) de tofersen, candidat médicament pour le traitement chez l'adulte de la sclérose latérale amyotrophique (SLA) liée au gène *SOD1* (superoxyde dismutase 1). La SLA- *SOD1* est une maladie progressive dont l'issue toujours mortelle touche moins d'un millier de personnes en Europe.² Il n'existe à l'heure actuelle aucun traitement pour les personnes atteintes de SLA-*SOD1*.³

« Grâce à notre programme d'essais cliniques, nous avons pu constater le potentiel de tofersen pour ralentir la progression de cette maladie à l'issue mortelle inexorable », déclare Priya Singhai, M.D., M.P.H, directrice mondiale de la sécurité et de la science réglementaire et directrice par intérim de la recherche et du développement de Biogen. *« Les demandes d'autorisation de mise sur le marché initiées auprès des autorités européennes et américaines marquent une étape importante pour mettre à disposition des patients et des professionnels de santé, dans les meilleurs délais, le premier traitement ciblé par la génétique, pour les personnes atteintes de SLA-*SOD1*. »*

La demande d'AMM inclut les résultats de l'essai de phase III VALOR, de son étude d'extension en ouvert et d'une étude de phase I sur des sujets volontaires sains ainsi qu'une étude de phase I/II évaluant les doses croissantes. Figurent également dans la demande les derniers résultats intégrés à douze mois issus de VALOR et de son étude d'extension qui ont fait l'objet d'une publication récente dans la revue [The New England Journal of Medicine](#).

*« L'étude VALOR est un véritable tournant dans le champ de la thérapie des SLA génétiques car elle démontre un effet combiné de tofersen sur sa cible et sur la progression de la maladie. Nous nous réjouissons que la demande d'autorisation de tofersen pour traiter les patients SLA mutés sur le gène *SOD1* puisse être examinée »* déclare le Pr. Philippe Couratier, animateur national de la filière de santé maladies rares française FiISLAN.

Tofersen fait également l'objet d'un d'examen prioritaire de la part de la FDA aux États-Unis, procédure dont la date butoir a été fixée au 25 avril 2023.

Le programme d'accès anticipé à tofersen, actuellement disponible dans 34 pays, dont la France, sera maintenu par Biogen. Biogen poursuit ses échanges avec les autorités réglementaires d'autres pays et communiquera, le cas échéant, les dernières informations.

À propos de Tofersen

Tofersen est un médicament antisens en cours d'évaluation dans le traitement de la SLA-SOD1. Tofersen est conçu pour se lier à l'ARNm du gène *SOD1*, induisant sa dégradation par la RNase-H pour réduire la production de la protéine SOD1. En plus de l'extension de l'essai VALOR, tofersen fait l'objet de l'étude de phase 3 ATLAS, qui vise à évaluer si tofersen peut retarder l'apparition des symptômes lorsqu'il est administré à des personnes présymptomatiques présentant une mutation du gène *SOD1* et des biomarqueurs d'activité de la maladie. Biogen a acquis la licence de tofersen auprès de Ionis Pharmaceuticals, Inc. dans le cadre d'un accord de licence et de développement en collaboration.

À propos de la sclérose latérale amyotrophique (SLA) et de la SLA-SOD1

La sclérose latérale amyotrophique (SLA) est une maladie neurodégénérative rare, progressive et mortelle entraînant la perte de motoneurons dans le cerveau et la moelle épinière qui commandent les muscles volontaires responsables de la motricité. Les personnes atteintes de SLA peuvent présenter un affaiblissement progressif et une atrophie des muscles, puis une perte d'autonomie due à la perte progressive de leur capacité à se mouvoir, à parler, à s'alimenter et, en définitive, à respirer. Leur espérance de vie moyenne est de trois à cinq ans après l'apparition des premiers symptômes.³

De nombreux gènes sont impliqués dans le développement de la SLA. Le dépistage génétique peut aider à déterminer si la SLA est due à une mutation génétique, même chez les personnes sans antécédents familiaux. À l'heure actuelle, aucun traitement ciblant les gènes responsables de la SLA n'est disponible. La mutation du gène *SOD1* est présente chez 2 % environ des 168 000 personnes qui seraient atteintes de SLA dans le monde.² L'espérance de vie des personnes ayant une SLA-SOD1 varie fortement et ne dépasse pas un an dans certains cas.⁶

L'engagement continu de Biogen dans la SLA

Depuis plus de dix ans, Biogen s'est engagé à faire progresser la recherche sur la sclérose latérale amyotrophique afin de mieux comprendre toutes les formes de la maladie. L'entreprise pionnière dans la recherche sur cette maladie continue d'investir malgré la décision difficile d'arrêter le développement pourtant avancé d'un médicament en 2013. Biogen a tiré des enseignements importants pour son large portefeuille de candidats dédié aux formes génétiques et non-génétiques de SLA, afin d'augmenter les chances de pouvoir fournir un traitement aux patients qui en ont besoin. Ces enseignements concernent l'évaluation de cibles génétiquement validées dans des populations de patients définies, la recherche de la modalité la plus appropriée en fonction de chaque cible et l'utilisation de critères d'évaluation clinique sensibles. Aujourd'hui, la société dispose d'un large portefeuille de médicaments en développement en cours d'évaluation dans la SLA, notamment tofersen et BIIB105.

À propos de Biogen

Pionnier en neurosciences, Biogen découvre, développe et propose aux patients du monde entier des thérapies innovantes pour le traitement de maladies neurologiques graves ainsi que les traitements adjacents. Fondée en 1978 par Charles Weissmann, Heinz Schaller, Sir Kenneth Murray et les prix Nobel Walter Gilbert et Phillip Sharp, Biogen est l'une des premières entreprises mondiales de biotechnologie. Elle dispose aujourd'hui du premier portefeuille de traitements de la sclérose en plaques (SEP), a introduit le premier traitement de l'amyotrophie spinale et a développé le premier et seul traitement autorisé aux Etats-Unis ciblant une pathologie caractéristique de la maladie d'Alzheimer. Biogen commercialise aussi des biosimilaires et œuvre à l'élaboration de l'un des pipelines les plus diversifiés en neurosciences qui révolutionnera la prise en charge actuelle des patients atteints de maladies pour lesquelles les besoins ne sont pas couverts.

En 2020, Biogen a lancé une initiative ambitieuse dotée de 250 millions de dollars sur vingt ans ciblant les enjeux interdépendants du climat, de la santé et de l'égalité. À travers Healthy Climate, Healthy Lives™, Biogen cherche à éliminer les combustibles fossiles de ses activités et à collaborer avec des institutions renommées dans le but d'améliorer la santé humaine, en particulier celle des populations les plus vulnérables.

Des informations importantes pour les investisseurs sont régulièrement publiées sur notre site Internet : www.biogen.com. Vous pouvez nous suivre sur les réseaux sociaux : [Twitter](#), [LinkedIn](#), [Facebook](#), [YouTube](#).

Biogen Safe Harbor

This news release contains forward-looking statements, including statements made pursuant to the safe harbor provisions of the Private Securities Litigation Reform Act of 1995, including statements about results from the Phase 3 VALOR study of tofersen or its OLE; the potential clinical effects of tofersen; the potential benefits, safety and efficacy of tofersen; the clinical development program for tofersen; the potential approval of tofersen; the identification and treatment of ALS; our research and development program for the treatment of ALS; the potential of our commercial business and pipeline programs, including tofersen; and risks and uncertainties associated with drug development and commercialization. These forward-looking statements may be accompanied by words such as “aim,” “anticipate,” “believe,” “could,” “estimate,” “expect,” “forecast,” “intend,” “may,” “plan,” “potential,” “possible,” “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 trials may not be indicative of full results or results from later stage or larger scale clinical trials and do not ensure regulatory approval. You should not place undue reliance on these statements or the scientific data presented.

These statements involve risks and uncertainties that could cause actual results to differ materially from those reflected in such statements, including without limitation, uncertainty of success in the development and potential commercialization of tofersen; the risk that we may not fully enroll our clinical trials or enrollment will take longer than expected; unexpected concerns may arise from additional data, analysis or results obtained during our clinical trials; regulatory authorities may require additional information or further studies, or may fail or refuse to approve or may delay approval of our drug candidates, including tofersen; the occurrence of adverse safety events; the risks of unexpected hurdles, costs or delays; failure to protect and enforce our data, intellectual property and other proprietary rights and uncertainties relating to intellectual property claims and challenges; product liability claims; and the direct and indirect impacts of the ongoing COVID-19 pandemic on our 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 our expectations in any forward-looking statement. Investors should consider this cautionary statement, as well as the risk factors identified in our most recent annual or quarterly report and in other reports we have filed with the U.S. Securities and Exchange Commission. These statements are based on our current beliefs and expectations and speak only as of the date of this news release.

We do not undertake any obligation to publicly update any forward-looking statements, whether as a result of new information, future developments or otherwise.

Références :

1. Trist BG, et al. Altered SOD1 maturation and post-translational modification in amyotrophic lateral sclerosis spinal cord. *Brain*. 145(9):3108-3130. doi: 10.1093/brain/awac165. 14 septembre 2022.
2. Brown CA, Lally C, Kupelian V, Flanders WD. Estimated Prevalence and Incidence of Amyotrophic Lateral Sclerosis and SOD1 and C9orf72 Genetic Variants. *Neuroepidemiology*. 2021;55(5):342-353. doi: 10.1159/000516752. Publication électronique, 9 juillet 2021
3. Brown RH, Al-Chalabi A. Amyotrophic Lateral Sclerosis. *New England Journal of Medicine*. 13 juillet 2017.

CONTACT MÉDIAS:

Biogen France

Marlène Petrolo

+ 33 6 25 58 36 37

marlene.petrolo@biogen.com

CONTACT INVESTISSEURS:

Biogen

Mike Hencke

+1 781 464 2442

IR@biogen.com

Biogen

Jack Cox

+ 1 210 544 7920

public.affairs@biogen.com