



Communiqué de presse
Paris, le 25 novembre 2020

Vivet Therapeutics et Pfizer Inc. annoncent l'autorisation de la FDA pour commencer l'étude de Phase 1/2 GATEWAY du VTX-801 sur la thérapie génique expérimentale de Vivet pour la maladie de Wilson

PARIS, France et NEW YORK, NY - 18 novembre 2020 - Vivet Therapeutics («Vivet»), une société privée de biotechnologie de thérapie génique spécialisée dans le développement de traitements pour des maladies hépatiques héréditaires aux besoins médicaux élevés non satisfaits, et Pfizer Inc. (NYSE: PFE) ont annoncé aujourd'hui que la Food and Drug Administration (FDA) a autorisé la demande d'IND (« *Investigational New Drug* ») de Vivet pour l'étude GATEWAY, un essai clinique de Phase 1/2 évaluant la thérapie génique expérimentale VTX-801, propriété de Vivet, pour le traitement potentiel de la maladie de Wilson, une maladie hépatique rare et potentiellement mortelle. L'essai devrait commencer début 2021.

« Nous sommes heureux d'annoncer la première autorisation d'essai thérapeutique de Vivet par la FDA, pour notre étude de Phase 1/2 GATEWAY pour le VTX-801 », a déclaré Jean-Philippe Combal, Président et cofondateur de Vivet. « Il s'agit d'une étape très importante pour la communauté de la maladie de Wilson pour qui le VTX-801 pourrait potentiellement apporter un bénéfice thérapeutique significatif. Le VTX-801 vise à restaurer le métabolisme naturel du cuivre et l'essai GATEWAY mesurera des biomarqueurs pertinents pour évaluer la restauration physiologique de l'élimination et du transport du cuivre chez les patients. Nous sommes impatients de faire entrer le VTX-801 en clinique début 2021. »

VTX-801 est un nouveau traitement expérimental de thérapie génique utilisant un virus adéno-associé (AAV) conçu pour délivrer un transgène ATP7B miniaturisé codant pour une protéine fonctionnelle, qui a démontré la restauration de l'homéostasie du cuivre, l'amélioration de la pathologie hépatique et la réduction du cuivre accumulé dans le cerveau chez un modèle murin de maladie de Wilson. Le sérotype d'AAV du VTX-801 a été sélectionné en fonction de son tropisme démontré pour la transduction des cellules hépatiques humaines.

En mars 2019, les 2 sociétés ont annoncé que Pfizer avait acquis une participation minoritaire dans Vivet et obtenu une option exclusive pour l'acquisition du capital restant. En septembre 2020, Vivet et Pfizer ont annoncé la signature d'un accord pour la fabrication par Pfizer du vecteur VTX-801 pour l'étude GATEWAY.

« L'acceptation par la FDA de l'IND de Vivet marque une étape importante pour le programme VTX-801, qui, selon nous, a le potentiel de devenir une thérapie pouvant transformer la vie des personnes atteintes de la maladie de Wilson », a déclaré Seng Cheng, directeur scientifique de

l'unité de recherche sur les maladies rares de Pfizer. « Pfizer a commencé à fabriquer la forme clinique de la thérapie pour l'étude GATEWAY et attend avec impatience le début de l'étude. »

« Cet IND est une reconnaissance de l'expertise de l'équipe de recherche de Vivet dirigée par notre Directrice scientifique et cofondatrice, le Dr Gloria González-Aseguinolaza, de nos collaborations de recherche, notamment avec la Fundación para la Investigación Médica Aplicada (FIMA), et notre équipe de développement expérimentée. Nous pensons que notre expertise globale en développement, ainsi que notre collaboration avec Pfizer, nous permettront d'avancer rapidement et d'apporter aux patients avec des besoins médicaux importants non satisfaits, cette thérapie potentiellement transformative », a ajouté Jean-Philippe Combal.

Le texte du communiqué issu d'une traduction ne doit d'aucune manière être considéré comme officiel. La seule version du communiqué qui fasse foi est celle du communiqué dans sa langue d'origine. La traduction devra toujours être confrontée au texte source, qui fera jurisprudence.

A propos de GATEWAY - Essai clinique de phase 1/2 du VTX-801 dans la maladie de Wilson

L'essai GATEWAY est un essai clinique multicentrique, non randomisé, ouvert, de phase 1/2, conçu pour évaluer l'innocuité, la tolérance et l'activité pharmacologique d'une seule perfusion intraveineuse de VTX-801 chez des patients adultes atteints de la maladie de Wilson, avant et après l'arrêt du traitement de fond.



Six centres majeurs dans la prise en charge de la maladie de Wilson aux États-Unis et en Europe devraient participer à l'essai GATEWAY Phase 1/2. L'essai devrait recruter jusqu'à seize patients adultes atteints de la maladie de Wilson et évaluera jusqu'à trois doses de VTX-801. Les patients participeront à une période d'observation avant le dosage et recevront un traitement prophylactique de stéroïdes.

Le critère d'évaluation principal de l'essai GATEWAY est l'innocuité et la tolérance du VTX-801 à 52 semaines après une seule perfusion. Les critères d'évaluations secondaires incluent des changements dans les biomarqueurs liés à la maladie, y compris l'activité du cuivre sérique libre et de la céruloplasmine sérique, ainsi que les paramètres liés au radiocuisse et le statut de répondeur VTX-801 pour permettre le retrait standard des soins. Vivet Therapeutics prévoit de recruter le premier patient début 2021.

Plus de détails sur :

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04537377?term=VIVET&draw=2&rank=1>

À propos de Vivet Therapeutics

Vivet Therapeutics est une société de biotechnologie émergente qui développe de nouveaux traitements de thérapie génique pour les maladies métaboliques héréditaires rares.

Vivet construit un portefeuille de thérapie génique diversifié basé sur de nouvelles technologies de virus adéno-associés recombinants (rAAV) développées grâce à ses partenariats et à des licences exclusives de la Fundación para la Investigación Médica Aplicada (FIMA), une fondation à but non lucratif au Centro de Investigación Médica Aplicada (CIMA), de l'Université de Navarre basée à Pampelune, Espagne.

Le programme phare de Vivet, VTX-801, est une nouvelle thérapie génique expérimentale pour la maladie de Wilson qui a reçu la désignation de médicament orphelin par la FDA et la Commission européenne. Cette maladie génétique rare est causée par des mutations dans le gène codant pour la protéine ATP7B, ce qui réduit la capacité du foie et d'autres tissus à réguler les niveaux de cuivre, provoquant de graves lésions hépatiques, des symptômes neurologiques et potentiellement la mort.

Le deuxième produit de thérapie génique de Vivet, le VTX-803 pour PFIC3, a reçu la désignation de médicament orphelin aux États-Unis et en Europe en mai 2020.

Vivet est soutenu par des investisseurs internationaux dans les sciences de la vie, notamment Novartis Venture Fund, Roche Venture Fund, HealthCap, Pfizer Inc., Columbus Venture Partners, Ysios Capital, Kurma Partners et Idinvest Partners.

Vous trouverez plus d'informations sur le site : www.vivet-therapeutics.com et sur Twitter avec @Vivet_tx et LinkedIn.

À propos de Pfizer – Des avancées qui changent la vie des patients

Chez Pfizer, nous mobilisons la science et nos ressources mondiales pour développer des thérapies qui permettent de prolonger et d'améliorer significativement la vie de chacun. Nous recherchons la qualité, la sécurité et l'excellence dans la découverte, le développement et la production de nos solutions en santé humaine, parmi lesquelles figurent des médicaments et des vaccins innovants. Chaque jour, sur les marchés développés et émergents, Pfizer œuvre à faire progresser le bien-être, la prévention et les traitements pour combattre les maladies graves de notre époque. Conscients de notre responsabilité en tant que leader mondial de l'industrie biopharmaceutique, nous collaborons également avec les professionnels de santé, les autorités et les communautés locales pour soutenir et étendre l'accès à des soins de qualité et abordables à travers le monde. Depuis plus de 150 ans, nous faisons la différence pour tous ceux qui comptent sur nous. Nous publions régulièrement des informations susceptibles de présenter un intérêt pour les investisseurs sur notre site www.pfizer.com. Pour en savoir plus, veuillez consulter www.pfizer.com. Vous pouvez également nous suivre sur Twitter (@Pfizer et @Pfizer_News), LinkedIn et YouTube, et nous rejoindre sur Facebook à l'adresse [Facebook.com/Pfizer](https://www.facebook.com/Pfizer).

Avis de divulgation Pfizer

Les informations contenues dans ce communiqué datent du 18 novembre 2020. Pfizer n'assume aucune obligation de mettre à jour les déclarations prospectives contenues dans ce communiqué à la suite de nouvelles informations, d'événements ou développements futurs.

Ce communiqué contient des informations prospectives sur la thérapie génique expérimentale de Vivet Therapeutics (Vivet), le VTX-801, et la collaboration de Pfizer avec Vivet sur le développement du VTX-801, y compris leurs avantages potentiels, qui impliquent des risques et des incertitudes substantiels qui pourraient entraîner des résultats sensiblement différents de ceux exprimés ou sous-entendus par ces déclarations. Les risques et incertitudes sont, entre autres, que les risques liés à la réalisation des

bénéfices attendus de la collaboration ne se concrétisent pas ou ne se matérialisent pas dans le temps prévu; les incertitudes inhérentes liées à la recherche et au développement, y compris la capacité à respecter les critères d'évaluation cliniques prévus, les dates de début et / ou d'achèvement de nos essais cliniques, les dates de soumission réglementaire, les dates d'approbation réglementaire et / ou les dates de lancement, ainsi que la possibilité d'avoir de nouvelles données cliniques défavorables et analyses complémentaires; le risque que les données des essais cliniques fassent l'objet d'interprétations et d'évaluations différentes par les autorités réglementaires;

Les risques et incertitudes de la satisfaction des autorités réglementaires concernant la conception et les résultats des études cliniques; des demandes pouvant être déposées dans une juridiction pour le VTX-801; si et quand de telles applications peuvent être approuvées par les autorités réglementaires, ce qui dépendra de plusieurs facteurs, y compris la balance bénéfices risques et l'efficacité du produit et, si le VTX-801 est approuvé, avoir un succès commercial; les décisions des autorités réglementaires ayant une incidence sur l'étiquetage, les processus de fabrication, la sécurité et / ou d'autres questions susceptibles d'affecter la disponibilité ou le potentiel commercial du VTX-801; les incertitudes concernant l'impact du COVID-19 sur l'activité, les opérations et les résultats financiers de Pfizer; et les développements concurrentiels.

Une description plus détaillée des risques et incertitudes se trouve dans le rapport annuel de Pfizer sur formulaire 10-K pour l'exercice clos le 31 décembre 2019 et dans ses rapports ultérieurs sur formulaire 10-Q, y compris dans les sections de celui-ci intitulées «Facteurs de risque» et «Informations prospectives et facteurs susceptibles d'affecter les résultats futurs», ainsi que dans ses rapports ultérieurs sur formulaire 8-K, qui sont tous déposés auprès de l'organisme fédéral américain de réglementation et de contrôle des marchés financiers aux États-Unis et disponibles sur www.sec.gov et www.pfizer.com.

Contacts presse pour PFIZER FRANCE

Pfizer - Virginie Saracino

Tél : 06 61 78 31 88

virginie.saracino@pfizer.com

COMM Santé – Claire Syndique

Tél : 06 85 22 72 24

claire.syndique@comm-sante.com