

Ferring et Blackstone Life Sciences investissent plus de 570 millions de dollars US dans une thérapie génique novatrice pour les patients atteints d'un cancer de la vessie

- *Ferring lance FerGene, une nouvelle société dédiée au développement international et à la commercialisation aux Etats-Unis du nadofaragene firadenovec, pour les patients avec un cancer de la vessie de haut grade non invasif sur le plan musculaire et ne répondant pas au Bacille de Calmette-Guérin*
- *Blackstone Life Sciences investit 400 millions de dollars US et son expertise pour accélérer le développement futur et la commercialisation du nadofaragene firadenovec, une thérapie génique expérimentale*
- *La FDA a accepté la demande d'autorisation de licence pour produit biologique (Biologics License Application – BLA) pour soumission et accordé la revue prioritaire du nadofaragene firadenovec*
- *Les résultats de phase 3 seront présentés au 20^e congrès annuel de la Société d'Uro-Oncologie (SUO) à Washington DC le 5 décembre 2019*

Saint-Prex, Suisse et Cambridge, Massachusetts, USA – 25 novembre 2019 – Ferring Pharmaceuticals et Blackstone Life Sciences ont annoncé aujourd'hui un investissement commun de plus de 570 millions de dollars US pour le nadofaragene firadenovec (rAd-IFN/Syn3), une thérapie génique expérimentale novatrice en phase finale de développement, à destination des patients présentant un cancer de la vessie de haut grade non invasif sur le plan musculaire (NMIBC) et ne répondant pas au Bacille de Calmette-Guérin (BCG).

FerGene, une filiale de Ferring, est une nouvelle société de thérapie génique créée pour la commercialisation éventuelle du nadofaragene firadenovec aux Etats-Unis et pour faire avancer le développement clinique mondial. L'objectif de FerGene est de mettre cette thérapie prometteuse à disposition d'une population de patients qui, ces vingt dernières années, n'a bénéficié que d'améliorations très minimes de leurs standards de soin. Blackstone et Ferring investissent ainsi respectivement 400 millions et 170 millions de dollars US dans FerGene. Ferring va potentiellement introduire et commercialiser le nadofaragene firadenovec également en dehors des Etats-Unis.

«L'introduction d'une nouvelle thérapie génique sur le marché requiert un engagement total et une expertise spécifique. La société de Ferring, FerGene, a les ressources et les équipes nécessaires pour mettre potentiellement le nadofaragene firadenovec à disposition des patients,» explique Frederik Paulsen, Président de Ferring Pharmaceuticals. *«Grâce à ce nouveau modèle de financement conjoint entre Ferring and Blackstone Life Sciences, nous visons à faire bénéficier plus de patients atteints d'un cancer de la vessie de haut grade non invasif sur le plan musculaire et ne répondant pas au traitement par BCG de cette nouvelle thérapie génique si celle-ci est approuvée.»*

Le nadofaragène firadenovec, actuellement en phase finale de développement – phase 3, s’est vu accorder la désignation de Traitement révolutionnaire (Breakthrough Therapy) par la FDA, qui a accepté la demande d’autorisation de licence pour produit biologique (Biologics License Application – BLA) pour la soumission et lui accordé une revue prioritaire.

«Ce partenariat innovant avec Ferring reflète la valeur unique de Blackstone Life Sciences quand il s’agit d’introduire sur le marché des thérapies transformationnelles. Notre expertise et notre expérience dans les développements cliniques concrets et leur commercialisation initiale contribuera à l’avancée décisive de ce traitement prometteur pour les patients souffrant d’un cancer de la vessie, aux Etats-Unis et partout dans le monde,» confie Nick Galakatos, Ph.D. et directeur de Blackstone Life Sciences.

«Avec FerGene, Blackstone et Ferring visent à commercialiser et développer avec succès cette thérapie génique à médiation adénovirale de l’interféron alfa-2b, une percée potentielle dans le traitement pour les patients atteints d’un cancer de la vessie de haut grade non invasif sur le plan musculaire et qui ne répondent pas au traitement par BCG,» souligne Paris Panayiotopoulos, directeur général de Blackstone Life Sciences.

Les résultats de l’étude Clinique de phase 3 seront présentés au 20^e congrès annuel de la Société d’Uro-Oncologie (SUO) à Washington DC le 5 décembre 2019, par le Dr Colin Dinney, Professeur et Président du Département d’Urologie de l’Anderson Cancer Center (MDACC) de l’Université du Texas MD, également fondateur et ancien président du Clinical Trials Consortium de la Société d’Uro-Oncologie (SUO-CTC). Le Dr Dinney a été le pionnier du développement du nadofaragène firadenovec et a co-dirigé le programme de développement avec le Dr Nigel Parker⁶ de FKD Therapies Oy (FKD). Après l’approbation potentielle de la FDA, FerGene détiendra l’autorisation de mise sur le marché du nadofaragène firadenovec.

FKD est une société spécialiste en thérapie génique basée en Finlande, dont l’activité est consacrée au développement et à la gestion des déclarations réglementaires du nadofaragène firadenovec, pour lequel l’étude clinique de phase 3 a été menée dans 33 centres aux Etats-Unis, en collaboration avec le SUO-CTC.

«Nous sommes impatients de présenter bientôt nos données de phase 3 au congrès de la SUO,» se réjouit le Dr Stephen A. Boorjian, investigateur coordinateur de l’étude et Carl Rosen, Professeur d’urologie à la clinique Mayo de Rochester, dans le Minnesota. *«Cette étude élargit la recherche visant à trouver des alternatives efficaces à la cystectomie radicale pour les patients atteints d’un cancer de la vessie de haut grade non invasif sur le plan musculaire et qui ne répondent pas au traitement par BCG. Elle pourrait mener à une amélioration significative des futurs traitements.»*

A propos du nadofaragène firadenovec

Le nadofaragène firadenovec (rAd-IFN/Syn3) est une thérapie expérimentale développée pour le traitement des patients avec NMIBC de haut grade ne répondant pas au BCG. Il s’agit d’une thérapie génique à base d’un vecteur adéno viral contenant le gène interféron alfa-2b, administrée directement dans la vessie par cathéter tous les trois mois. Le virus pénètre dans les cellules de la paroi vésicale où il se décompose et libère le gène actif, alors à même d’agir. La machinerie génétique/AND des cellules capte le gène et le transforme en séquence ADN, induisant une sécrétion élevée de protéines interféron alfa-2b, une protéine d’origine naturelle utilisée par le corps pour combattre le cancer. Cette nouvelle approche de thérapie génique transforme donc les propres cellules de la paroi vésicale du patient en une multitude de micro-fabriques d’interféron, renforçant ainsi les défenses naturelles du corps contre le cancer.

A propos du cancer de la vessie

Le cancer de la vessie est l'un des cancers les plus fréquents, avec un nombre estimé de 430'000 patients diagnostiqués chaque année à travers le monde, ce qui le classe au neuvième rang des cancers les plus communs à l'échelle mondiale.^{1,2} Aux Etats-Unis, le cancer de la vessie est le sixième cancer le plus fréquent. On estime qu'aux Etats-Unis, 699'450 personnes vivent avec un cancer de la vessie et que 80'000 nouveaux cas sont diagnostiqués chaque année.³ Le BCG est le traitement standard pour les patients atteints d'un NMIBC de haut grade, avec, même s'il est efficace, un nombre de récurrence des tumeurs de plus 60%.^{2,4} La cystectomie radicale (retrait total de la vessie et de certains organes reproducteurs) visant à empêcher la propagation du cancer à d'autres organes est alors l'option thérapeutique recommandée, mais elle s'accompagne d'un taux de morbidité élevé.⁵ Il existe donc, pour la population de patients ne répondant pas au BCG, un important besoin clinique à combler, d'ailleurs souligné dans les lignes directrices pour l'industrie – 'Guidance for Industry' – de la FDA en février 2018.⁷

A propos de Blackstone Life Sciences

Blackstone Life Sciences est une plateforme d'investissement privée qui permet d'investir tout au long du cycle de vie des entreprises et des produits des principaux secteurs des sciences de la vie. Associant investissements à large échelle et direction opérationnelle concrète, Blackstone Life Sciences aide à mettre sur le marché de nouveaux traitements prometteurs qui améliorent la vie des patients. Dans le cadre du lancement de cette nouvelle plateforme, Blackstone a acquis Clarus, une entreprise leader du Secteur des sciences de la vie.

A propos de Ferring Pharmaceuticals

Ferring Pharmaceuticals est un groupe biopharmaceutique axé sur la recherche qui s'engage à améliorer la qualité de vie de chacun et à lui permettre de fonder une famille. Basé à Saint-Prex, en Suisse, Ferring est un leader dans les domaines de la médecine de la reproduction et de la santé maternelle ainsi que dans les spécialités de la gastroentérologie et de l'urologie. Fondé en 1950, emploie aujourd'hui quelque 6'500 personnes à travers le monde, possède des filiales opérant dans près de 60 pays et commercialise ses produits dans 110 pays.

Plus d'informations sur www.ferring.com ou en nous suivant sur [Twitter](#), [Facebook](#), [Instagram](#), [LinkedIn](#) et [YouTube](#).

A propos de FKD Therapies Oy

FKD Therapies Oy, société spécialisée dans les thérapies géniques basée à Kuopio, en Finlande, a été fondée par le Dr Nigel R Parker et le Professeur Seppo Yla-Herttuala⁶, issus des communautés médicale et scientifique, dans le but spécifique de développer l'adénovirus interféron alfa-2b. FKD a ainsi dirigé l'ensemble du développement du nadofaragène firadenovec, y compris sa fabrication par FinVector Oy, les essais cliniques en phase finale et l'actuelle demande de BLA. FinVector Oy et FKD Oy font partie du Trizell Group.

A propos du SUO-CTC

La société d'Uro-Oncologie (SUO) a développé en 2008 un réseau d'étude cliniques. Créé, détenu et opéré par ses membres, le Clinical Trials Consortium de la Société d'Uro-Oncologie (SUO-CTC) est un réseau d'investigateurs de recherche clinique, qui réunit plus de 340 membres actifs dans plus de 180 sites cliniques aux Etats-Unis et au Canada. Cette alliance nationale, basée sur une communauté de chercheurs et de praticiens en uro-oncologie, s'engage pour l'avancée de la recherche en urologie. Le SUO-CTC, société enregistrée (501c3) à but non lucratif, entretient des relations de coopérations avec la Société d'Uro-Oncologie. Le SUO-CTC réalise, avec le soutien de sponsors, des essais cliniques qui étudient les interventions thérapeutiques dédiées au traitement des cancers urologiques, parmi lesquels les cancers de la vessie, de la prostate et des reins. En collaboration avec l'industrie, le SUO-CTC élargit les possibilités de la recherche, avec pour résultat final, une meilleure qualité de vie pour nos patients.

###

Pour de plus amples informations, veuillez contacter :

Bhavin Vaid

Head of Corporate Communications and Public Affairs, Ferring Pharmaceuticals

+41 58 301 0952 (direct)

+41 79 191 0632 (portable)

bhavin.vaid@ferring.com

Jennifer Friedman

Senior Vice President – Global Public Affairs, Blackstone

+1 (212) 583-5122

Jennifer.Friedman@blackstone.com

Références

¹ Antoni, S et al. Bladder Cancer Incidence and Mortality: A Global Overview and Recent Trends. *Eur Urol.* 2017;17(1):96–108.

² Maruf, M et al. Non invasive bladder cancer: a primer on immunotherapy. *Cancer Biol Med.* 2016;13(2):194-205.

³ National Cancer Institute. Cancer Stat Facts: Bladder Cancer. Disponible sous: <https://seer.cancer.gov/statfacts/html/urinb.html>. Dernier accès: 13 novembre 2019.

⁴ Derré, L et al. Intravesical Bacillus Calmette Guerin Combined with a Cancer Vaccine Increases Local T-Cell Responses in Non-muscle-Invasive Bladder Cancer Patients. *Clin Cancer Res.* 2017;23(3):717-725.

⁵ Cookson, M *et al.*, Use of intravesical valrubicin in clinical practice for treatment of nonmuscle-invasive bladder cancer, including carcinoma in situ of the bladder. *Therapeutic Advances in Urology.* 2014, Vol. 5(5):181-191.

⁶ AIV Institute for Molecular Sciences, Kuopio, Finland.

⁷ Food and Drug Administration. BCG-Unresponsive Nonmuscle Invasive Bladder Cancer: Developing Drugs and Biologics for Treatment Guidance for Industry. Available at: <https://www.fda.gov/media/101468/download>. Last accessed: November 2019.