

- COMMUNIQUE DE PRESSE -

Le LFB annonce que l'Agence européenne des médicaments (EMA) a validé le dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché d'eptacog beta (activé), un facteur de coagulation VIIa recombinant.

Par ailleurs, le LFB annonce la publication en ligne dans la revue *Haemophilia* des résultats de l'étude exploratoire *in vitro* associant eptacog beta et emicizumab.

Les Ulis (France) - 1^{er} mars 2021 - Le LFB annonce aujourd'hui que l'Agence européenne des médicaments (EMA), l'autorité réglementaire européenne, a validé le dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché d'eptacog beta, un facteur de coagulation VIIa recombinant (rFVIIa).

Le dossier de demande comprend trois essais cliniques prospectifs de phase 3 (PERSEPT 1, PERSEPT 2 et PERSEPT 3) évaluant l'efficacité et la sécurité d'emploi d'eptacog beta dans le traitement des épisodes hémorragiques chez des enfants et des adultes atteints d'hémophilie congénitale A ou B avec inhibiteurs, ainsi que dans la prévention des hémorragies survenant chez ces patients lors d'interventions chirurgicales ou de procédures invasives. Le résultat final de l'évaluation par l'EMA est attendu pour la mi-2022.

Cette annonce survient moins d'un an après l'approbation en avril 2020 par la *Food and Drug Administration* américaine (FDA) de la demande d'autorisation de mise sur le marché (*Biologics License Application*) pour le facteur de coagulation VIIa (recombinant)-jncw (eptacog beta), sous le nom de SEVENFACT[®], pour le traitement et le contrôle des épisodes hémorragiques survenant chez des adultes et adolescents (12 ans et plus) atteints d'hémophilie A ou B avec inhibiteurs. Une demande d'extension de cette autorisation sur la base de nouvelles données d'efficacité (*Supplemental Biologics License Application, sBLA*) est actuellement en cours d'examen par la FDA et un avis réglementaire est attendu pour la mi-2021. Une licence exclusive pour la commercialisation de SEVENFACT[®] aux États-Unis a été accordée à HEMA Biologics, une joint-venture entre le LFB et US WorldMeds.

En parallèle, le LFB annonce la publication en ligne dans la revue *Haemophilia*¹ des résultats de l'étude exploratoire *in vitro* de l'association eptacog beta et emicizumab. L'association d'eptacog beta et d'emicizumab entraîne une augmentation concentration-dépendante de la production de thrombine dans le plasma d'hémophiles, qui reste inférieure à celle du plasma normal de donneur non-hémophile.

Les résultats de cette étude exploratoire apportent des données *in vitro* soutenant le concept de l'utilisation d'eptacog beta lors de saignements intercurrents chez les patients hémophiles traités avec emicizumab. Une étude clinique est planifiée au cours du premier trimestre 2021 pour évaluer l'utilisation de SEVENFACT[®] chez cette population de patients². La recommandation du *Medical and Scientific Advisory Council* (MASAC) de la *National Hemophilia Foundation* aux États-Unis soutient

¹ Grandoni J, Duretz V, Bonzo D, et al. Exploratory *in vitro* evaluation of thrombin generation of eptacog beta (recombinant human FVIIa) and emicizumab in congenital haemophilia A plasma. *Haemophilia* 2021 Feb; <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/full/10.1111/hae.14253> Online ahead of print.

² ATHN16 study coordinated by the American Thrombosis and Hemostasis Network: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04647227>

l'utilisation de SEVENFACT® pour le traitement des événements hémorragiques intercurrents chez les patients sous traitement prophylactique avec emicizumab³.

À propos de l'étude exploratoire *in vitro*

Le but de cette étude était de déterminer l'activité procoagulante *in vitro* d'eptacog beta et d'emicizumab (seul et en association) en utilisant un test de génération de thrombine sur du plasma de patients ayant une hémophilie A avec et sans inhibiteurs.

Une augmentation significative du pic de thrombine, du potentiel endogène de thrombine et de l'index de vélocité a été constatée au décours de l'association d'eptacog beta (0, 1, 2 ou 5 µg/mL) et d'emicizumab (0, 50 ou 100 µg/mL) dans le plasma d'hémophiles A et d'hémophiles A avec inhibiteurs ; l'effet est resté inférieur à celui observé dans le plasma normal de donneurs non-hémophiles.

Cette étude a été sponsorisée par le LFB. Pour plus de détails, voir le manuscrit de l'étude disponible à l'adresse suivante : <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/full/10.1111/hae.14253>

A propos du LFB

Le LFB est un groupe biopharmaceutique qui développe, fabrique et commercialise des médicaments dérivés du sang et des protéines recombinantes pour la prise en charge des patients atteints de pathologies graves et souvent rares. Créé en 1994 en France, le LFB est aujourd'hui l'un des premiers acteurs européens proposant aux professionnels de santé, essentiellement sur prescription hospitalière, des médicaments dérivés du sang, avec pour mission la mise à disposition de nouvelles options de traitement pour les patients, dans trois domaines thérapeutiques majeurs : l'immunologie, l'hémostase et les soins intensifs.

Le LFB commercialise à ce jour 15 médicaments dans plus d'une trentaine de pays. Pour plus d'informations, visitez le site internet www.groupe-lfb.com.

A propos de HEMA Biologics :

HEMA Biologics est une entreprise biopharmaceutique basée à Louisville dans le Kentucky aux États-Unis. HEMA Biologics détient une licence pour la commercialisation et la distribution de SEVENFACT® aux États-Unis et au Canada. HEMA Biologics salue les efforts réalisés par le LFB dans le développement et l'élaboration du SEVENFACT®.

L'entreprise s'engage à répondre aux besoins des patients atteints de troubles hémorragiques rares, à soutenir toutes les personnes qui prennent soin d'eux et à proposer des produits et services importants pour aider à améliorer leur vie quotidienne. Pour plus d'information, visitez le site internet www.hemabio.com.

Contacts LFB :

Didier Véron - Directeur des affaires corporate

+33 (0)1.69.82.72.97 or +33 (0)6.08.56.76.54

veronidier@lfb.fr

Contacts HEMA Biologics (US) :

Chris Macie, Senior Director, Medical Affairs

+1 770-331-5761 - chris.macie@hemabio.com

³ MASAC Document 263 - MASAC Recommendations Concerning Products Licensed for the Treatment of Hemophilia and Other Bleeding Disorders (Revised August 2020). National Hemophilia Foundation. Available at:

https://www.hemophilia.org/sites/default/files/document/files/263_treatment.pdf last accessed on February 7th, 2020.