

益普生集团正式完成对 Clementia 的收购

巴黎, 2019年4月18日——在 Clementia 股东和魁北克高等法院批准相关收购案后, Ipsen (泛欧交易所: IPN; ADR: IPSEY) 和 Clementia Pharmaceuticals (纳斯达克: CMTA) 今天对外宣布完成对 Clementia 的收购。根据收购案, Clementia 股东将获得每股 25.00 美元的现金预付款, 且每股附有一项期待价值权 (CVR), 这使得他们有权在美国食品药品监督管理局 (FDA) 接受 palovarotene 治疗多发性骨软骨瘤 (MO) 的注册备案后每 CVR 获得 6.00 美元。

Clementia 的关键晚期临床资产——palovarotene 是一种在研的维甲酸受体 γ (RAR γ) 选择性激动剂, 可用于治疗两种罕见的骨疾病, 即进行性骨化性纤维发育不良 (FOP) 和多发性骨软骨瘤 (MO) 以及其他疾病。

关于用 palovarotene 预防 FOP 患者异位骨化 (HO) 的相关注册文件预计将于 2019 年下半年提交给美国监管机构。将要提交的资料提示 palovarotene 可使新异位骨化 (HO) 或骨形成减少 (减少 >70%, 在所有三种剂量水平下), 该资料基于二期临床研究中超过 100 次的影像学疾病发作数据。

益普生集团首席科学官 Alexandre Lebeaut 博士评论道: “根据大量二期项目得出的令人信服且一致的临床数据, 以及 FDA 授予批准的快速通道、突破性疗法、孤儿药和罕见儿科疾病等资格, 我们受到了极大的鼓舞。我们工作的重点是在 2019 年下半年成功将 palovarotene 作为进行性骨化性纤维发育不良患者发作期的首个治疗方案提交给监管机构。”

Clementia 首席执行官 Clarissa Desjardins 博士补充道: “我非常感谢帮助推进 palovarotene 项目而一直努力工作的 Clementia 专业团队、患者组织和进行临床研究的研究者们。展望未来, 我们相信, 凭借以患者为中心的文化、成熟的开发能力和全球性商业足迹, 益普生集团将尽快实现我们向全球患者提供 palovarotene 的目标。”

进行性骨化性纤维发育不良 (FOP) 介绍



FOP 是一种极为罕见的严重致残性疾病, 其特征是异位骨化 (HO), 即在正常骨骼之外、在肌肉、肌腱或软组织中形成骨骼。HO 通过锁定关节进行性地限制 FOP 患者的运动, 导致逐渐功能丧失、渐进性残疾, 和早逝风险的增加。FOP 是由 ACVR1 基因突变引起的, 同时通过配体依赖和配体独立的机制, 导致骨形态发生通路 (控制骨生长发育的关键通路)

信号过量。FOP 的患病率约为 1.3/1,000,000，全球约有 9,000 名患者。目前没有获得批准的 FOP 治疗方法。

多发性骨软骨瘤介绍 (MO)

MO，也称为多发性遗传性外生骨疣 (MHE)，是一种罕见、严重致残的慢性进行性疾病，其中多发性良性骨肿瘤，也称为骨软骨瘤 (OC) 或骨软骨外生骨疣，主要发生于骨骼。MO 通常是在幼儿期 (当 OC 可被肉眼发觉时) 被诊断，诊断时的中位年龄为 4 岁。由于其在关节周围发育，儿童在成长过程中会出现肢体畸形和行动受限的情况。如今，治疗 MO 的唯一方法是手术和姑息治疗，许多患者都选择在成年前接受手术，有些甚至接受多达 30 次手术。据估计，每百万人口中有 20 人受到 MO 的影响，全球共约 150,000 人。MO 是最常见的遗传性骨疾病之一，在多代人中可有多个家庭成员受此疾病影响。

palovarotene 介绍

palovarotene 是一种 RAR γ 激动剂，用于治疗极罕见/罕见和退行性骨病患者，包括进行性骨化性纤维发育不良 (FOP) 和多发性骨软骨瘤 (MO) 以及其他疾病。palovarotene 是罗氏制药公司 (Roche Pharmaceuticals) 授权给 Clementia 的药物，之前已在超过 800 名受试者中进行了评价，其中 450 名患者接受治疗长达 2 年。palovarotene 已经美国食品药品监督管理局 (FDA) 和欧洲药品管理局 (EMA) 确认为治疗 FOP 和 MO 的孤儿药。此外，FDA 已授予 palovarotene 用作 FOP 治疗的快速通道、突破性疗法和罕见儿科疾病用药的资格。

益普生集团介绍

益普生集团是全球专业性生物制药集团，专注于创新和专科治疗领域，针对肿瘤学、神经科学和罕见疾病这三个关键治疗领域开发创新药物并将其商业化。该集团对肿瘤学的承诺体现在其为前列腺癌、神经内分泌肿瘤、肾细胞癌和胰腺癌提供关键的治疗手段。益普生集团还有一项成熟的多元健康业务。2018 年，益普生集团的总销售额超过 22 亿欧元，在超过 115 个国家销售 20 多种药品，并在 30 多个国家直接开展商业活动。益普生集团的研发部门专注于在领先的生物技术和生命科学中心 (法国巴黎萨克雷；英国牛津；美国剑桥) 打造创新和差异化技术平台。本集团在全球约有 5,700 名雇员。欲了解益普生集团的更多信息，请访问 www.ipsen.com。

Clementia Pharmaceuticals Inc. 介绍

Clementia 是一家专注于临床开发研究的公司，为极罕见的骨骼疾病和其他医疗需求较高的疾病患者提供创新治疗方法。该公司正准备向美国食品药品监督管理局提交 2019 年新药申请 (NDA)，以使其主要在研产品 palovarotene 获批上市。palovarotene 是一种新型 RAR γ 激动剂，用于预防与成人和儿童进行性骨化性纤维发育不良 (FOP) 发作相关的异位骨化 (HO) 发作期症状。正在进行的 MOVE 三期临床试验将评估 palovarotene 治疗 FOP 的额外剂量方案。palovarotene 也运用于治疗多发性骨软骨瘤 (MO，也称为多发性遗传性外生骨疣，或称 MHE) 的二期临床试验 (MO-Ped 试验) 中。此外，Clementia 已经开始了 palovarotene 滴眼液配方的一期试验，以便将其用于干眼症的潜在治疗方案中，此外还在研究其他可能受益于 RAR γ 疗法的情况。欲了解更多信息，请访问 www.clementiapharma.com。