



## **EspeRare annonce un partenariat avec Dermelix Biotherapeutics pour DMX-101, et le lancement de la phase pivotale pour une thérapie *in utero* pour XLHED**

- **DMX-101 est le premier médicament destiné à être administré par voie intra-amniotique afin de corriger une maladie génétique.**
- **EspeRare et Dermelix lanceront l'essai clinique pivotal au cours du second semestre 2019 en Europe, puis aux Etats-Unis.**
- **Conformément au modèle d'EspeRare, les deux partenaires ont signé une charte éthique dans laquelle ils s'engagent à collaborer avec les associations de patients pour le développement du traitement.**

Genève Suisse - le 2 avril 2019 - EspeRare, une organisation à but non lucratif ayant pour mission d'accélérer le développement de traitements pour les maladies rares, et Dermelix Biotherapeutics, LLC, une biotech spécialisée dans le développement de traitements innovants pour les maladies génétiques rares de la peau, annonce aujourd'hui la signature d'un accord de co-développement pour le développement anténatal du DMX-101. DMX-101 est un traitement substitutif de la protéine EDA, et est administré *in utero* pour la Dysplasie Ectodermique Hypohidrotique liée à l'X (XLHED), une maladie génétique infantile rare.

Selon les termes de cet accord, EspeRare sera le promoteur du développement clinique du DMX-101 (anciennement ER-004) en Europe, où le traitement bénéficie du programme « PRIME » (médicaments prioritaires) par l'EMA ainsi que de la désignation de médicament orphelin par l'EMA et la FDA. Dermelix sera le promoteur du développement du DMX-101 aux États-Unis et sera responsable de sa production et de sa commercialisation dans le monde entier.

XLHED est une maladie génétique rare liée à une mutation de la protéine EDA et touchant les structures ectodermiques, notamment les glandes sudoripares, les glandes respiratoires, la peau, les cheveux et les dents. Les principales manifestations cliniques de XLHED entraînent un risque augmenté de mortalité infantile dû à l'incapacité de transpirer et de réguler la température corporelle et à un risque accru d'infections graves des voies respiratoires. Il n'existe actuellement aucun traitement curatif approuvé ou en développement pour le traitement de cette pathologie.

DMX-101 est un traitement par une protéine de fusion qui vient se substituer à la protéine EDA endogène, absente ou non fonctionnelle chez les patients XLHED. Ce traitement, uniquement administré avant la naissance, est délivré dans le liquide amniotique au cours du développement fœtal pendant les deuxième et troisième trimestres de la grossesse. Cette approche anténatale a démontré chez des fœtus traités une efficacité sur la fonction des glandes sudoripares et la thermorégulation associée, ainsi que des bénéfices sur les dents et la fonction respiratoire. Ces résultats ont été récemment publiés dans le *New England Journal of Medicine*<sup>1</sup> et sont parus dans les « highlights » de l'édition 2018 de *Nature Medicine Research*<sup>2</sup>.

EspeRare et Dermelix lanceront au cours du second semestre 2019 en Europe, puis aux États-Unis, l'étude clinique prénatal pivot afin d'établir l'efficacité et l'innocuité de ce traitement et en vue de l'obtention de son enregistrement auprès des agences réglementaires européenne et nord-américaine pour sa commercialisation. DMX-101 bénéficie des désignations de médicament orphelin et de « fast track » par la FDA.



Caroline Kant, fondatrice et directrice générale d'EspeRare a commenté : «La plupart du temps, il n'existe pas de traitements pour les patients atteints de maladies rares. Le partenariat avec Dermelix représente une opportunité unique de développer un traitement innovant qui peut changer fondamentalement la vie de ces patients et de leur famille. Nous avons bon espoir que cette approche permettra d'ouvrir la voie à de nouvelles thérapies anténatales et de corriger d'autres maladies génétiques avant la naissance. »

Dr. Nick France, Directeur Médical de Dermelix a commenté : « Dermelix est extrêmement enthousiaste et touché de pouvoir participer à un programme aussi innovant. La possibilité de corriger une maladie grave avant la naissance représente un progrès thérapeutique considérable. Nous espérons développer un partenariat constructif avec EspeRare et allons travailler en proche collaboration avec les familles atteintes de cette maladie, XLHED. »

Conformément à leurs valeurs communes et à leur approche centrée sur le patient, les deux partenaires ont également signé une charte éthique en vertu de laquelle ils se sont engagés à impliquer pleinement et de manière transparente les groupes de patients. Grâce à la création d'un conseil consultatif des patients, les deux partenaires entendent faciliter le partage d'informations et la collecte de données pour le développement de DMX-101.

#### References :

1. N Engl J Med 2018; 378: 1604-1610
2. Nature Medicine 2018; 24: 702

-Fin-

Pour plus d'informations, veuillez contacter :

Genevensis.com

Laetitia Defaye

E: [laetitia.defaye@genevensis.com](mailto:laetitia.defaye@genevensis.com)

EspeRare

Nada Fornier

Directrice Communication

Tel :+ 41792501508

E: [fornier.nada@esperare.org](mailto:fornier.nada@esperare.org)

Pour Dermelix :

E : [media@dermelix.com](mailto:media@dermelix.com)

#### A propos de XLHED

XLHED est une maladie chronique rare, grave et débilitante. Elle a un impact négatif sur la qualité de vie des patients et de leurs familles. Cette maladie touche environ 4 personnes sur 100 000 naissances par an. XLHED est causée par des mutations génétiques du gène *EDA1*, qui donne lieu à la protéine EDA1, une protéine importante dans le développement de l'ectoderme. L'absence d'EDA1 fonctionnelle entraîne un développement anormal de la peau, des glandes sudoripares, des glandes sébacées, des poils, de la cavité buccale et des glandes muqueuses respiratoires, ce qui donne lieu à des manifestations cliniques graves mettant en jeu le pronostic vital dès la naissance, notamment une hyperthermie, des anomalies craniofaciales et des infections respiratoires récurrentes. Pour plus d'informations, veuillez consulter le site <https://bit.ly/2KbMgGa>



### **A propos de la thérapie**

DMX-101 est une protéine de substitution de la protéine EDA1. La séquence Fc de IgG1 humaine est liée au domaine de liaison TNF de l'EDA. Au cours d'essais précliniques, il a été démontré que le DMX-101 se lie au récepteur EDAR, ce qui entraîne l'activation de la voie de signalisation du NF $\kappa$ B, et déclenche la transcription de gènes impliqués dans le développement normal de multiples types de tissus ectodermiques. DMX-101 est le premier et le seul traitement ciblant spécifiquement XLHED. Administré au cours des deuxième et troisième trimestres de la grossesse, il pourrait devenir une thérapie «à traitement unique», améliorant de manière significative les symptômes de la maladie, et ce tout au long de la vie des patients. Ces résultats ont récemment été publiés dans le New England Journal of Medicine<sup>1</sup> et sont parus dans les highlights de l'édition 2018 de Nature Medicine Research<sup>2</sup>

Pour plus d'informations, veuillez consulter le site <https://esperare.org/fr/dmx-101>

### **A propos d'EspeRare**

EspeRare est une organisation Suisse à but non lucratif qui a pour vocation d'améliorer l'existence d'enfants atteints de maladies rares. Elle répond aux grands besoins médicaux de ces enfants en découvrant le potentiel de molécules existantes. Le modèle innovant d'EspeRare s'appuie sur une expertise pharmaceutique, des financements philanthropiques, publics et privés, afin d'identifier et de développer ces traitements non exploités. Avec son approche unique centrée autour du patient, EspeRare collabore avec les associations de patients à chaque étape du processus de développement du médicament. EspeRare vise à favoriser un accès équitable à ces traitements et cherche à donner à ces enfants et à leur famille l'espoir d'un avenir meilleur.

Pour plus d'informations sur EspeRare, veuillez consulter le site <https://esperare.org/fr>

### **À propos de Dermelix Biotherapeutics**

Dermelix est une société biopharmaceutique privée en phase clinique qui se concentre sur le développement de thérapies innovantes pour les affections dermatologiques rares et débilitantes ayant un besoin médical élevé et non satisfait.

Pour plus d'informations, veuillez consulter le site <https://www.dermelix.com/>