



ORPHELIA Pharma annonce l'obtention aux Etats-Unis d'une Désignation de Médicament Orphelin pour le témozolomide dans le traitement du neuroblastome

Paris et Lyon, le 10 décembre 2019 – ORPHELIA Pharma, société biopharmaceutique dont la mission est de développer et commercialiser des médicaments pédiatriques dans les domaines de la neurologie et de l'oncologie, annonce aujourd'hui avoir reçu l'opinion positive du Bureau des Médicaments Orphelins de la Food and Drug Administration (FDA) pour la désignation de médicament orphelin du témozolomide dans le traitement du neuroblastome.

« Nous sommes particulièrement heureux de l'obtention de cette opinion positive », commente Jérémie Bastid, Directeur du Développement d'ORPHELIA Pharma. « Bien qu'il ne soit pas approuvé dans le traitement du neuroblastome, le témozolomide est un médicament essentiel dans la prise en charge des patients en rechute ou réfractaires. Les formulations existantes de témozolomide ne sont pas adaptées aux jeunes patients. Notre formulation Kimozo® a été spécifiquement développée pour eux », conclut-il.

Kimozo® est la première présentation de témozolomide développée pour le traitement du neuroblastome réfractaire ou en rechute. Proposé sous forme de suspension orale avec masquage de goût, Kimozo® sera également la première formulation pédiatrique de témozolomide.

« Le témozolomide est un composant incontournable du traitement des neuroblastomes réfractaires ou en rechute. Les patients atteints de cette pathologie ont en général moins de 5 ans et ne peuvent pas avaler les gélules disponibles sur le marché, ce qui représente une barrière significative à l'administration. La présentation liquide orale sera une ressource opportune et indispensable pour le traitement de ces patients présentant une maladie sévère », indique le Dr. Julie Park, Département de Pédiatrie, Seattle Children's Hospital et University of Washington School of Medicine, Seattle.

« Le Bureau des Médicaments Orphelins de la FDA a reconnu l'intérêt du témozolomide dans le traitement des enfants atteints de neuroblastome. La formulation pédiatrique que nous développons répond à un besoin médical important, le neuroblastome touchant le plus souvent les jeunes enfants », souligne Hugues Bienaimé, Fondateur et Directeur Général d'ORPHELIA Pharma. « Nous prévoyons de déposer le dossier de demande d'Autorisation de Mise sur le Marché de Kimozo® aux Etats-Unis aussi rapidement que possible ».

A propos du témozolomide dans le neuroblastome

Le neuroblastome est la tumeur solide extra-crânienne la plus fréquente chez les enfants. Il s'agit cependant d'une maladie rare, avec une incidence de 1,3 cas pour 100 000 enfants. Cette tumeur se caractérise par une extrême variabilité clinique et évolutive, allant de la régression spontanée à des formes de haut risque dont le pronostic est sombre. La moitié de ces neuroblastomes sont de haut risque et, parmi ceux-ci, la moitié sont réfractaires au traitement de première ligne ou rechutent après traitement. Le témozolomide est devenu l'un des traitements de référence du neuroblastome en rechute ou réfractaire, mais il n'a pas à ce jour d'AMM dans cette indication.

A propos d'ORPHELIA Pharma

ORPHELIA Pharma, société biopharmaceutique basée à Paris et à Lyon, développe et commercialise des médicaments pour le traitement de pathologies rares et graves de l'enfant. Sa mission est de mettre à disposition des patients des produits hospitaliers essentiels dans les domaines de l'épilepsie et de l'oncologie avec une formulation adaptée à la pédiatrie. Son premier produit, Kigabeq®, a obtenu une AMM européenne en octobre 2018 et est en phase de lancement en Europe. Le deuxième produit d'ORPHELIA Pharma, Ivozall®, a récemment obtenu une AMM européenne dans le traitement de la leucémie aiguë lymphoblastique. ORPHELIA Pharma conduit des projets de recherche innovants à travers des collaborations académiques et industrielles. Ses investisseurs principaux sont *initiative* OCTALFA et Pierre Fabre Médicament. Plus d'informations à l'adresse suivante : www.orphelia-pharma.eu