

## uniQure obtient la désignation de thérapie avancée en médecine régénérative (RMAT) de l'agence médicale américaine (FDA) pour la thérapie génique expérimentale AMT-130 dans la maladie de Huntington

~ Désignation basée sur des données cliniques intérimaires de phase I/II sur 24 mois pour l'AMT-130 annoncées en décembre 2023 ~

~ L'AMT-130 est le premier candidat thérapeutique à recevoir la désignation RMAT pour la maladie de Huntington ~

~ L'obtention de la désignation RMAT permet une collaboration accrue avec la FDA en matière de planification des approbations réglementaires, en plus de la possibilité d'accélérer le développement du médicament ~

**Lexington, MA et Amsterdam, Pays-Bas, 3 juin 2024** — [UniQure](#) N.V. (NASDAQ : QURE), une société de thérapie génique de premier plan qui développe des thérapies transformatrices pour les patients présentant de graves besoins médicaux, a annoncé aujourd'hui que l'agence médicale américaine (Food and Drug Administration, FDA) a accordé la désignation de thérapie avancée en médecine régénérative (RMAT) pour sa thérapie génique expérimentale AMT-130 pour le traitement de la maladie de Huntington.

La FDA a accordé la désignation RMAT en raison de la capacité d'AMT-130 à répondre aux principaux besoins médicaux non satisfaits des patients atteints de la maladie de Huntington. Cette désignation fait suite à l'examen par la FDA des données cliniques intérimaires de phase I/II pour l'AMT-130 annoncé en décembre 2023 et est basée sur une analyse comparant ces données cliniques sur 24 mois à une cohorte d'histoire naturelle à critères comparables mais non concomitante.

« Nous sommes ravis de recevoir la toute première désignation RMAT pour un traitement expérimental contre la maladie de Huntington », a déclaré [Matt Kapusta, directeur général d'uniQure](#). « Cette réalisation constitue une étape importante pour le programme et confirme la capacité d'AMT-130 à répondre aux importants besoins médicaux non satisfaits des personnes souffrant de cette maladie dévastatrice. »

« La désignation RMAT, qui était basée sur la comparaison des données sur deux ans d'AMT-130 avec celles d'une cohorte d'histoire naturelle, marque un début prometteur pour nos interactions avec la FDA », a déclaré [Walid Abi-Saab, directeur médical d'uniQure](#). « Il est important de noter que la désignation RMAT permet une collaboration accrue avec la FDA afin d'accélérer le développement du médicament, ce qui pourrait faciliter un accès plus rapide aux patients atteints de cette maladie mortelle. Je suis extrêmement fier de l'équipe d'uniQure pour cette réalisation, et nous sommes impatients de présenter des données intermédiaires actualisées issues de nos études actuellement en phase I/II au milieu de l'année. »

La désignation RMAT a été créée dans le cadre du « 21st Century Cures Act » afin d'accélérer les processus de développement et d'évaluation des thérapies de médecine régénérative. Un traitement de médecine régénérative peut être éligible à la désignation RMAT s'il est destiné à traiter, modifier, inverser ou guérir une affection grave, et si des preuves cliniques préliminaires indiquent que le médicament est susceptible de répondre à des besoins médicaux non satisfaits pour une telle affection. L'obtention de la désignation RMAT offre aux entreprises sponsors tous les avantages des programmes de désignation de thérapies accélérés et révolutionnaires, permettant des interactions précoces, étroites et fréquentes avec la FDA. Cela inclut des opportunités d'interactions précoces avec les agences pour discuter de l'utilisation de paramètres de substitution ou intermédiaires, des voies d'approbation potentielles, y compris des moyens de soutenir une approbation accélérée, et d'autres opportunités pour accélérer le développement.

uniQure prévoit de fournir des données intermédiaires actualisées issues des études de phase I/II en cours aux États-Unis et en Europe sur l'AMT-130 au milieu de l'année 2024. La mise à jour intermédiaire comprendra jusqu'à trois ans de suivi sur 29 patients traités, dont 21 auront été suivis pendant au moins deux ans.

## À propos du programme clinique de phase I/II de l'AMT-130

L'essai clinique de phase I/II aux États-Unis sur l'AMT-130 pour le traitement de la maladie de Huntington explore les marqueurs de sécurité, de tolérance et d'efficacité chez 26 patients présentant une manifestation précoce de la maladie de Huntington, répartis en une cohorte de 10 patients à faible dose suivie d'une cohorte de 16 patients à dose élevée. Les patients sont répartis aléatoirement pour recevoir un traitement AMT-130 ou une chirurgie d'imitation. L'essai clinique multicentrique consiste en une période d'étude en aveugle de 12 mois poursuivie d'un suivi à long terme (non aveugle) pendant une période maximale de cinq ans. Au total, 16 patients participant à l'essai clinique ont été répartis aléatoirement pour le traitement et ont reçu une administration unique d'AMT-130 par neurochirurgie stéréotaxique guidée par IRM et assistée par convection, directement dans le striatum (noyau caudé et putamen). Quatre autres patients initialement témoins de la cohorte à dose élevée ont bénéficié du traitement après la période principale de l'étude de 12 mois. Des informations supplémentaires sont disponibles sur [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) (NCT04120493).

L'étude européenne ouverte de phase Ib/II sur l'AMT-130 a recruté 13 patients atteints de la maladie de Huntington à manifestation précoce dans deux cohortes : une cohorte à faible dose de six patients et une cohorte à dose élevée de sept patients. Conjointement avec l'étude américaine, l'étude européenne vise à établir la sécurité, la preuve de concept et la dose optimale d'AMT-130 pour passer au développement de phase III ou à une étude de confirmation si une procédure d'enregistrement accélérée est possible.

Le traitement des patients est en cours dans une troisième cohorte comptant jusqu'à 12 patients afin d'évaluer plus en détail les deux doses d'AMT-130 en association avec une immunosuppression lors de l'opérateur. Le recrutement de cette troisième cohorte devrait être terminée au second semestre 2024. L'AMT-130 est le premier programme clinique d'uniQure axé sur le système nerveux central intégrant sa plateforme exclusive miQURE®.

## À propos de la maladie de Huntington

La maladie de Huntington est une maladie neurodégénérative héréditaire rare qui entraîne des symptômes moteurs tels que la chorée, des anomalies comportementales et un déclin cognitif entraînant une détérioration physique et mentale progressive. La maladie est une affection autosomique dominante caractérisée par une expansion répétée du codon CAG dans le premier exon du gène de la huntingtine, provoquant la production et l'agrégation de cette protéine anormale dans le cerveau. Malgré l'étiologie claire de la maladie de Huntington, il n'existe actuellement aucun traitement approuvé pour retarder l'apparition ou ralentir la progression de la maladie.

## À propos d'uniQure

La mission d'uniQure est de réimaginer l'avenir de la médecine en proposant des traitements innovants qui transforment des vies. Les récentes approbations de notre thérapie génique pour l'hémophilie B, une réalisation historique fondée sur plus d'une décennie de recherche et de développement clinique, constituent une étape majeure dans le domaine de la médecine génomique et ouvrent la voie à une nouvelle approche thérapeutique pour les patients atteints d'hémophilie. Nous tirons désormais parti de notre technologie modulable et validée et de notre plateforme de fabrication pour développer un [portefeuille](#) de thérapies géniques exclusives destinées au traitement des patients atteints de la maladie de Huntington, de l'épilepsie réfractaire du lobe temporal méstral, de la sclérose latérale amyotrophique (SLA), de la maladie de Fabry et d'autres maladies graves. [Site Web : www.Uniqure.com](http://www.Uniqure.com)

## Déclarations prospectives d'uniQure

*Ce communiqué de presse contient des déclarations tournées vers l'avenir. Toutes les déclarations autres que les déclarations de faits historiques sont des déclarations tournées vers l'avenir, qui sont souvent indiquées par*

des termes tels que « anticiper », « croire », « pourrait », « établir », « estimer », « s'attendre à », « objectif », « avoir l'intention », « attendre avec impatience », « peut », « planifier », « potentiel », « prédire », « projeter », « chercher », « devrait », « volonté », « serait » et d'autres expressions similaires. Les déclarations tournées vers l'avenir sont basées sur les convictions et les hypothèses de la direction et sur les informations dont elle disposait uniquement à la date du présent communiqué de presse. Ces déclarations tournées vers l'avenir incluent, sans toutefois s'y limiter, les déclarations concernant la capacité d'AMT-130 à répondre aux besoins médicaux non satisfaits des patients atteints de la maladie de Huntington ; la possibilité que la désignation RMAT accélère le développement continu d'AMT-130 et facilite un accès plus rapide aux patients atteints de la maladie de Huntington ; les plans de la société de présenter des données intermédiaires mises à jour issues des études américaines et européennes de phase I/II en cours sur l'AMT-130 à la mi-2024 ; et les plans concernant la troisième cohorte de son essai clinique AMT-130 et le calendrier d'inscription pour cette cohorte. Les résultats réels de la Société pourraient différer sensiblement de ceux anticipés dans ces déclarations prospectives pour de nombreuses raisons. Ces risques et incertitudes incluent, entre autres : les risques associés aux résultats cliniques de la société et au développement et au calendrier de ses programmes ; les interactions de la société avec les autorités réglementaires, qui peuvent affecter le lancement, le calendrier et l'avancement des essais cliniques et les voies d'approbation réglementaire ; la question de savoir si la désignation RMAT ou toute autre voie accélérée conduira à une approbation réglementaire ; la capacité de la société à mener et à financer une étude de phase III ou de confirmation pour l'AMT-130 ; la capacité de la société à continuer à construire et maintenir l'entreprise l'infrastructure et le personnel nécessaires pour atteindre ses objectifs ; l'efficacité de la société dans la gestion des essais cliniques et des processus réglementaires actuels et futurs ; la poursuite du développement et de l'acceptation des thérapies géniques ; la capacité de la société à démontrer les avantages thérapeutiques de ses candidats en thérapie génique dans le cadre d'essais cliniques ; la capacité de la société à obtenir, maintenir et protéger sa propriété intellectuelle ; et la capacité de la société à financer ses opérations et à lever des capitaux supplémentaires si nécessaire. Ces risques et incertitudes sont décrits plus en détail sous la rubrique « Facteurs de risque » dans les documents périodiques déposés par la Société auprès de la Securities & Exchange Commission (« SEC ») des États-Unis, y compris son rapport annuel sur le formulaire 10-K déposé le 28 février 2024 et dans d'autres documents que la Société dépose de temps à autre auprès de la SEC. Compte tenu de ces risques, incertitudes et autres facteurs, vous ne devez pas vous fier indûment à ces déclarations tournées vers l'avenir, et la Société n'assume aucune obligation de mettre à jour ces déclarations tournées vers l'avenir, même si de nouvelles informations sont disponibles dans le futur.

#### **Contacts uniQure :**

##### **POUR LES INVESTISSEURS :**

**Maria E. Cantor**

Fixe : 339-970-7536

Portable : 617-680-9452

[m.cantor@uniQure.com](mailto:m.cantor@uniQure.com)

**Chiara Russo**

Fixe : 617-306-9137

Portable : 617-306-9137

[c.russo@uniQure.com](mailto:c.russo@uniQure.com)

##### **POUR LES MÉDIAS :**

**Tom Malone**

Fixe : 339-970-7558

Portable : 339-223-8541

[t.malone@uniQure.com](mailto:t.malone@uniQure.com)