



PTC Therapeutics conclut un accord mondial de licence et de collaboration avec Novartis pour le programme PTC518 sur la maladie de Huntington

2 décembre 2024

- *PTC recevra 1,0 milliard de dollars en espèces à la clôture -*
- *PTC est éligible à recevoir jusqu'à 1,9 milliard de dollars pour les étapes de développement, de réglementation et de vente -*
- *PTC partagera ses bénéfices aux États-Unis et bénéficiera de redevances échelonnées à deux chiffres sur ses ventes nettes hors États-Unis -*
- *Novartis assumera les responsabilités mondiales en matière de développement, de fabrication et de commercialisation après l'achèvement de la partie contrôlée par placebo de l'étude PIVOT-HD en cours -*
- *PTC organisera une conférence téléphonique en décembre. 2 février 2024, à 8h30 EST-*

WARREN, N.J., déc. 2024 /PRNewswire/ -- PTC Therapeutics, Inc. (NASDAQ : PTCT) a annoncé aujourd'hui la signature d'une licence mondiale exclusive et d'un accord de collaboration avec Novartis Pharmaceuticals Corporation, une filiale de Novartis AG (NYSE : NVS), pour son programme PTC518 sur la maladie de Huntington, qui comprend des molécules apparentées. Dans le cadre de cet accord, PTC recevra un paiement initial de 1,0 milliard de dollars, jusqu'à 1,9 milliard de dollars pour les étapes de développement, de réglementation et de vente, une participation aux bénéfices aux États-Unis et des redevances échelonnées à deux chiffres sur les ventes hors États-Unis.

« Le PTC518 est le principal traitement modifiant la pathologie buccale en cours de développement pour la maladie de Huntington et les avantages économiques de cet accord sont conformes aux promesses de ce traitement », a déclaré Matthew B. Klein, M.D., directeur général de PTC Therapeutics. « Cette collaboration associe l'expertise de PTC dans le développement de thérapies par épissage de petites molécules à l'expertise de Novartis en matière de développement mondial et de commercialisation de thérapies neuroscientifiques. Nous sommes ravis de collaborer avec Novartis pour accélérer le potentiel du PTC518 pour les centaines de milliers de patients atteints de la maladie de Huntington dans le monde entier qui ont besoin d'un traitement conçu pour être bien toléré et d'un traitement modificateur de la maladie efficace. PTC utilisera le produit de cette transaction pour étendre sa plateforme d'épissage ainsi que pour soutenir les activités commerciales et de développement de son portefeuille. »

« La maladie de Huntington est une maladie familiale dévastatrice et mortelle. Cet accord avec PTC vise à renforcer notre portefeuille de neurosciences et reflète notre orientation stratégique et notre engagement à explorer de nouvelles approches potentiellement transformatrices pour les maladies neurodégénératives présentant d'importants besoins non satisfaits », a déclaré Vas Narasimhan, PDG de Novartis. « Nous sommes impatients de tirer parti de notre expertise en matière de maladies neurodégénératives et de notre expérience dans le domaine de la maladie de Huntington dans le but de développer ce traitement oral potentiellement innovant pour la communauté de la maladie de Huntington. »

Le PTC518 a été découvert à partir de la plateforme d'épissage validée de PTC et est

actuellement étudié dans le cadre de l'essai de phase 2 PIVOT-HD en cours. Les résultats intermédiaires publiés en juin 2024 ont démontré que le traitement au PTC518 entraînait une réduction durable et dose-dépendante des taux de protéine huntingtine (HTT) mutante dans le sang et le liquide céphalo-rachidien (LCR) ainsi que des signes précoces d'un bénéfice dose-dépendant sur des mesures cliniques clés à 12 mois.¹ Il est important de noter que le PTC518 continue de présenter un profil de sécurité et de tolérabilité favorable.¹

Novartis assumera la responsabilité du développement, de la fabrication et de la commercialisation du PTC518, après l'achèvement de la partie contrôlée par placebo de PIVOT-HD, qui devrait avoir lieu au premier semestre 2025.

Les entreprises partageront les profits et les pertes américains, sur une base de 40/60 (40 % PTC et 60 % Novartis).

La clôture de la transaction est soumise aux conditions de clôture habituelles, y compris l'autorisation réglementaire. Les parties prévoient que l'accord sera conclu au premier trimestre 2025.

Détails de la conférence téléphonique et de la webdiffusion :

PTC tiendra une conférence téléphonique à 8 h 30 EST aujourd'hui pour discuter de cette nouvelle. Pour accéder à l'appel par téléphone, veuillez [cliquer](#) ici pour vous inscrire et vous recevrez les informations nécessaires. Pour éviter les retards, nous recommandons aux participants de se connecter à la conférence téléphonique 15 minutes avant le début de la conférence. La conférence téléphonique diffusée sur le Web est accessible dans la section Investisseurs du site Web de PTC à l'adresse <https://ir.ptcbio.com/events-presentations>. Une rediffusion de l'appel sera disponible environ deux heures après la fin de l'appel et sera archivée sur le site Web de l'entreprise pendant les 30 jours suivant l'appel.

À propos de la maladie de Huntington

La maladie de Huntington (MH) est une maladie génétique héréditaire mortelle du système nerveux central.² Elle est causée par un gène défectueux. Ce gène produit une protéine, appelée huntingtine, qui intervient dans le fonctionnement des cellules nerveuses du cerveau (neurones). Lorsque le gène est défectueux, il produit une protéine huntingtine anormale (ou mutée) qui est toxique et cause des lésions neuronales et la mort des neurones.³ La maladie de Huntington apparaît généralement chez les personnes âgées de 30 à 40 ans. Les symptômes peuvent apparaître plus tôt dans la vie, et c'est ce qu'on appelle la maladie de Huntington juvénile.^{3,4} Il existe également des cas de MH infantile, lorsque des symptômes apparaissent chez des enfants de moins de 10 ans.³ Bien que les symptômes varient d'une personne à l'autre, la maladie affecte principalement le cerveau et entraîne des mouvements anormaux, des difficultés d'élocution, de déglutition et de marche, ainsi qu'un certain nombre d'autres symptômes, notamment des symptômes comportementaux, cognitifs et moteurs.^{5,6} Bien qu'il existe des traitements approuvés pour des symptômes spécifiques de la maladie, il n'existe actuellement aucun remède contre la maladie de Huntington et il n'existe aucun médicament approuvé qui retarde l'apparition ou ralentit la progression de la maladie.

À propos de la plateforme d'épissage de PTC

PTC a été la première à utiliser une technologie d'épissage alternative avancée pour identifier de petites molécules qui affectent l'épissage de l'ARNm pour le traitement de maladies dont les besoins non satisfaits sont importants. La plateforme d'épissage validée de PTC a identifié le tout premier modificateur d'épissage de petites molécules approuvé, Evrysdi[®] (risdiplam), et PTC a

tiré parti des nombreux enseignements du programme SMA pour élargir la plateforme afin de soutenir des programmes de découverte dans de nombreux domaines thérapeutiques, notamment les maladies neurodégénératives, l'oncologie et le métabolisme. PTC a également développé une puissante plateforme de découverte de médicaments à haut débit (PTSeek™) qui identifie les petites molécules qui modulent l'épissage du pré-ARNm afin de réguler à la hausse ou à la baisse la production de protéines ciblées, accélérant ainsi la découverte et le processus de développement préclinique précoce de candidats agents d'épissage de petites molécules.

À propos de PTC Therapeutics, Inc.

PTC est une société biopharmaceutique mondiale spécialisée dans la découverte, le développement et la commercialisation de médicaments cliniquement différenciés qui présentent des avantages pour les enfants et les adultes atteints de maladies rares. La capacité de PTC à innover pour identifier de nouveaux traitements et commercialiser des produits à l'échelle mondiale constitue la base qui motive les investissements dans un portefeuille robuste et diversifié de médicaments transformateurs. La mission de PTC est de fournir l'accès aux meilleurs traitements de leur catégorie aux patients qui n'ont que peu ou pas d'options thérapeutiques. La stratégie de PTC consiste à tirer parti de sa solide expertise scientifique et clinique et de son infrastructure commerciale mondiale pour proposer des traitements aux patients. PTC pense que cela lui permet de maximiser la valeur pour toutes ses parties prenantes. Pour en savoir plus sur PTC, rendez-vous sur www.ptcbio.com et suivez-nous sur Facebook, Instagram, LinkedIn et X.

Pour plus d'informations :

Investisseurs :

Ellen Cavaleri

+1 (615) 618-6228

ecavaleri@ptcbio.com

Médias :

Jeanine Clémente

+1 (908) 912-9406

jclemente@ptcbio.com

Déclaration prospective :

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives au sens de la loi de 1995 sur la réforme du contentieux des valeurs mobilières privées. Toutes les déclarations contenues dans ce communiqué de presse, à l'exception des déclarations relatives à des faits historiques, sont des déclarations prospectives, y compris des déclarations concernant les attentes, les plans et les perspectives futurs de PTC, notamment en ce qui concerne le droit de PTC de recevoir tout paiement initial de Novartis ; le droit de PTC de recevoir des étapes de développement, de réglementation et de vente, une participation aux bénéfices et le paiement de redevances de la part de Novartis ; la poursuite du développement de PTC518 ; les opérations futures, la situation financière future, les recettes futures, les coûts prévus et les objectifs de la direction. D'autres déclarations prospectives peuvent être identifiées par les mots « orientation », « planifier », « anticiper », « croire », « estimer », « s'attendre à », « avoir l'intention », « peut », « cibler », « potentiel », « sera », « pourrait », « devrait », « continuer » et des expressions similaires.

Les résultats, performances ou réalisations réels de PTC peuvent différer sensiblement de ceux exprimés ou sous-entendus par ses déclarations prospectives en raison de divers risques et incertitudes, notamment ceux liés à : l'issue des négociations de prix, de couverture et de remboursement avec des tiers payeurs pour les produits de PTC ou les produits candidats que PTC commercialise ou pourrait commercialiser à l'avenir ; les avantages et opportunités attendus liés au contrat de licence peuvent ne pas être réalisés ou prendre plus de temps à se concrétiser plus que prévu en raison d'un diverses raisons, notamment l'incapacité des parties à respecter leurs engagements et obligations en vertu de l'accord, les défis et les incertitudes inhérents au développement ; le succès des premiers essais cliniques, en particulier s'ils sont basés sur un petit échantillon de patients, ne garantit pas le succès des essais cliniques ultérieurs, et les premiers résultats d'un essai clinique ne permettent pas nécessairement de prédire les résultats finaux ; les données relatives au PTC518 peuvent ne pas être suffisantes pour obtenir une approbation réglementaire ; effets commerciaux importants, y compris les effets industriels, commerciaux et

économiques, politique ou les conditions réglementaires ; l'évolution des lois fiscales et autres, des réglementations, des taux et des politiques ; la base de patients éligibles et le potentiel commercial des produits et produits candidats de PTC ; l'approche scientifique et les progrès généraux de développement de PTC ; et les facteurs abordés dans la section « Facteurs de risque » du dernier rapport annuel de PTC sur le formulaire 10-K, ainsi que toute mise à jour de ces facteurs de risque déposée de temps à autre dans les autres documents déposés par PTC auprès de la SEC. Nous vous invitons à examiner attentivement tous ces facteurs.

Comme pour tout produit pharmaceutique en cours de développement, le développement, l'approbation réglementaire et la commercialisation de nouveaux produits comportent des risques importants. Rien ne garantit qu'un produit recevra ou maintiendra l'approbation réglementaire sur n'importe quel territoire, ou qu'il connaîtra un succès commercial.

Les déclarations prospectives contenues dans le présent communiqué de presse ne représentent que le point de vue de PTC à la date du présent communiqué de presse et PTC ne s'engage pas à mettre à jour ou à réviser ces déclarations prospectives pour refléter les résultats réels ou l'évolution des plans, des perspectives, des hypothèses, des estimations ou des projections, ou toute autre circonstance survenant après la date de ce communiqué de presse, sauf si la loi l'exige.

Références :

1. [PTC Therapeutics, « Les résultats intermédiaires du PIVOT-HD démontrent l'existence d'un biomarqueur favorable sur le SNC et d'effets cliniques au 12e mois chez les patients atteints de la maladie de Huntington », communiqué de presse, 20 juin 2024, <https://ir.ptcbio.com/news-releases/news-release-details/interim-pivot-hd-results-demonstrate-evidence-favorable-cns>](https://ir.ptcbio.com/news-releases/news-release-details/interim-pivot-hd-results-demonstrate-evidence-favorable-cns)
2. Organisation mondiale de la santé, 2020. 8A01.10 Maladie de Huntington. Disponible à l'adresse suivante : <https://icd.who.int/browse11/l-m/en#/http://id.who.int/icd/entity/2132180242> Consulté en octobre 2021.
3. Gatto EM, González Rojas N, Persi G et coll. Clint Parkinsonism Real Discord 2020 ; 3:1000:56.
4. Tabrizi SJ, Flower MD, Ross CA, et coll. Nat Rev. Neurol 2020 ; 16 (10) : 529—546.
5. Chambres RAC. Orphanet J Rare Dis 2010 ; 5:40.
6. Kirkwood SC, Su JL, Conneally P et coll. Arch Neurol 2001 ; 58 (2) : 273—278.

Afficher le contenu original : <https://www.prnewswire.com/news-releases/ptc-therapeutics-enters-into-a-global-license-and-collaboration-agreement-with-novartis-for-ptc518-huntingtons-disease-program-302319374.htm> |

SOURCE PTC Therapeutics, Inc.