



Amylyx Pharmaceuticals fait une mise à jour sur l'évaluation réglementaire en cours de l'AMX0035 pour le traitement de la SLA dans l'Union européenne

CAMBRIDGE, Mass. 30 mai 2023 -- Amylyx Pharmaceuticals, Inc. (" Amylyx " ou la " Société ") a annoncé aujourd'hui une mise à jour sur l'évaluation en cours de sa demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) pour AMX0035 (phénylbutyrate de sodium et ursodoxicoltaurine [également connu sous le nom de taurursodiol]) pour le traitement des adultes atteints de sclérose latérale amyotrophique (SLA, aussi connue sous le nom de maladie de Charcot) par le Comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence européenne des médicaments (EMA). Suite à l'explication orale tenue lors de la réunion de mai du CHMP, Amylyx a été informée que le CHMP s'oriente vers un avis négatif concernant la demande d'autorisation conditionnelle de mise sur le marché de l'AMX0035.

"Nous ne sommes pas d'accord avec l'opinion actuelle exprimée par le CHMP et restons confiants dans les données de l'essai clinique CENTAUR. En cas d'avis négatif, nous avons l'intention d'avoir recours à une procédure de réexamen", a déclaré Tammy Sarnelli, responsable mondial des affaires réglementaires et de la conformité clinique chez Amylyx.

Le CHMP devrait adopter une opinion officielle sur l'AMM lors de sa prochaine réunion, qui se tiendra du 19 au 22 juin 2023. En cas d'avis négatif en juin, la société a l'intention de demander un réexamen de l'avis, ce qui représente un processus d'environ quatre mois.

La demande d'AMM pour AMX0035 est basée sur les données de l'essai clinique CENTAUR, un essai randomisé, multicentrique, contrôlé par placebo chez des personnes atteintes de SLA (n=137), qui a servi de base à l'approbation complète reçue de la Food and Drug Administration (FDA) américaine et à l'approbation avec conditions par Santé Canada. L'essai a atteint son critère principal d'efficacité prédéfini et AMX0035 est le premier traitement de la SLA à démontrer, dans le même essai, à la fois un ralentissement statistiquement significatif du déclin fonctionnel et un bénéfice observé dans une analyse post-hoc à plus long terme sur la survie globale. Les données de CENTAUR ont été publiées dans les revues médicales à comité de lecture *New England Journal of Medicine*, *Muscle & Nerve* et *Journal of Neurology, Neurosurgery, and Psychiatry*. Dans l'étude CENTAUR, AMX0035 a démontré un profil de sécurité généralement bien toléré, avec un nombre similaire de cas d'événements indésirables et d'arrêts de traitement dans les bras AMX0035 et placebo au cours de la phase randomisée de 24 semaines ; cependant, des événements indésirables gastro-intestinaux sont survenus plus fréquemment (≥2%) dans le groupe AMX0035.

La SLA touche environ 29 000 personnes aux États-Unis et on estime que plus de 30 000 personnes vivent avec la SLA en Europe (Union Européenne et Royaume-Uni). Au cours des six premiers mois

suivant l'approbation de la FDA aux États-Unis, au 31 mars 2023, environ 3 000 personnes prenaient activement RELYVRIO® aux États-Unis.

"Depuis plus de 25 ans, aucun nouveau produit n'a été approuvé dans l'Union européenne pour le traitement de la SLA. La communauté européenne de la SLA nous confirme qu'il y a un besoin criant de nouvelles options thérapeutiques pour cette maladie dévastatrice, et qu'un accès rapide à des traitements sûrs et efficaces est particulièrement important. Notre AMM est en toujours cours d'examen, et nous restons déterminés à explorer toutes les voies possibles, car les personnes vivant avec la SLA n'ont pas le temps d'attendre ", a déclaré Stéphanie Hoffmann-Gendebien, Directrice, General Manager - International Markets, EMEA chez Amylyx.

A propos de RELYVRIO®/ALBRIOZA™/AMX0035

RELYVRIO®, une combinaison orale à dose fixe de phénylbutyrate de sodium et de taurursodiol (connu sous le nom d'ursodoxicoltaurine en dehors des États-Unis), est approuvé pour le traitement de la sclérose latérale amyotrophique (SLA) chez les adultes aux États-Unis et approuvé avec conditions sous le nom d'ALBRIOZA™ pour le traitement de la SLA au Canada. En outre, l'Agence européenne des médicaments (EMA) examine la demande d'autorisation de mise sur le marché de l'AMX0035 pour le traitement de la SLA en Europe et a récemment informé la société que le CHMP tendait vers un avis négatif sur la demande d'AMX0035. L'AMX0035 est sous investigation pour le traitement potentiel d'autres maladies neurodégénératives. La formulation de RELYVRIO, ALBRIOZA et AMX0035 est identique.

A propos de la SLA

La SLA est une maladie neurodégénérative progressive et mortelle causée par la mort des motoneurones dans le cerveau et la moelle épinière. La perte des motoneurones dans la SLA entraîne une détérioration de la fonction motrice, l'incapacité de bouger et de parler, une paralysie respiratoire et, finalement, la mort. Plus de 90 % des personnes atteintes de SLA ont une maladie sporadique, sans antécédents familiaux clairs. La SLA touche environ 29 000 personnes aux États-Unis et on estime que plus de 30 000 personnes vivent avec la SLA en Europe (Union européenne et Royaume-Uni). Les personnes vivant avec la SLA ont une survie médiane d'environ deux ans à partir du diagnostic.

À propos d'Amylyx Pharmaceuticals

Amylyx Pharmaceuticals, Inc. s'engage à soutenir et à créer plus de moments de vie pour la communauté des maladies neurodégénératives grâce à la découverte et au développement de nouveaux traitements innovants. Amylyx a son siège à Cambridge, dans le Massachusetts, et des activités au Canada et dans la région EMEA. Pour plus d'informations, visitez amylyx.com et suivez-nous sur LinkedIn et Twitter. Pour les investisseurs, veuillez consulter le site investors.amylyx.com.

Déclarations prospectives

Les déclarations contenues dans ce communiqué de presse concernant des questions qui ne sont pas des faits historiques sont des "déclarations prospectives" au sens de la loi Private Securities Litigation Reform Act de 1995, telle qu'amendée. Ces déclarations étant soumises à des risques et incertitudes, les

résultats réels peuvent différer matériellement de ceux exprimés ou sous-entendus dans ces déclarations prospectives. Ces déclarations comprennent, sans s'y limiter, des déclarations concernant le réexamen et d'autres options potentielles si le CHMP émet une opinion négatif pour AMX0035 ; l'approbation d'AMX0035 pour une autorisation de mise sur le marché conditionnelle ; la capacité à fournir des données confirmatoires post-autorisation ; nos projets de mise à disposition d'AMX0035 en Europe ; la commercialisation en cours de RELYVRIO et d'ALBRIOZA ; la longévité potentielle de l'acceptation du marché et des opportunités commerciales pour RELYVRIO et ALBRIOZA ; le potentiel d'AMX0035 comme traitement de la SLA et les plans de la Société pour explorer l'utilisation d'AMX0035 pour d'autres maladies neurodégénératives ; et les attentes concernant notre stratégie à plus long terme. Toutes les déclarations prospectives contenues dans ce communiqué de presse sont basées sur les attentes actuelles de la direction concernant les événements futurs et sont soumises à un certain nombre de risques et d'incertitudes qui pourraient entraîner une différence matérielle et négative entre les résultats réels et ceux énoncés ou sous-entendus dans ces déclarations prospectives. Les risques qui contribuent à la nature incertaine des énoncés prospectifs comprennent : La capacité d'Amylyx à financer ses opérations, le succès, le coût et le calendrier des activités de développement des programmes d'Amylyx, la capacité d'Amylyx à mettre en œuvre sa stratégie commerciale et réglementaire, les développements réglementaires, les attentes concernant le calendrier et l'issue de l'examen par l'EMA de l'AMX0035 pour le traitement de la SLA, la dépendance d'Amylyx à l'égard de tiers, y compris pour mener des essais cliniques et fabriquer des produits, et l'effet de l'incertitude économique mondiale et de la volatilité des marchés financiers causées par les effets économiques de la hausse de l'inflation et des taux d'intérêt, la pandémie de COVID-19, l'instabilité géopolitique, les changements dans les relations commerciales internationales et les conflits militaires, ainsi que les risques et incertitudes énoncés dans les documents déposés par Amylyx auprès de la Securities and Exchange Commission (SEC) des États-Unis, y compris le rapport trimestriel d'Amylyx sur le formulaire 10-Q pour le trimestre clos le 31 mars 2023, et les documents déposés ultérieurement auprès de la SEC. Toutes les déclarations prospectives contenues dans ce communiqué de presse ne sont valables qu'à la date à laquelle elles ont été faites. Sous réserve des obligations prévues par les lois applicables, Amylyx ne s'engage pas à mettre à jour ces déclarations pour tenir compte d'événements survenus ou de circonstances existantes après la date à laquelle elles ont été faites.

Médias

L'équipe média d'Amylyx

(857) 799-7274

amylyxmediateam@amylyx.com

Investisseurs

Lindsey Allen

Amylyx Pharmaceuticals, Inc.

(857) 320-6244

Investors@amylyx.com

Source: Amylyx Pharmaceuticals, Inc.