

Bâle, le 16 janvier 2015

Roche fait l'acquisition de Trophos pour étendre son portefeuille dans le domaine des maladies neuromusculaires présentant d'importants besoins médicaux

- **Les résultats d'une étude pivot de phase II suggèrent le potentiel de l'olesoxime dans le traitement de l'amyotrophie spinale (AS)**
- **Les autorités de réglementation américaine et européenne ont accordé l'appellation de médicament orphelin à l'olesoxime**

Roche (SIX: RO, ROG; OTCQX: RHHBY) a annoncé aujourd'hui avoir conclu un accord en vue d'acquérir Trophos, société de biotechnologie privée située à Marseille, France. La plate-forme de screening dont Trophos détient la propriété exclusive a produit l'olesoxime (TRO19622), molécule développée pour le traitement de l'amyotrophie spinale (AS), atteinte neuromusculaire rare et invalidante d'origine génétique le plus souvent diagnostiquée chez l'enfant. Les résultats d'une étude clinique pivot de phase II menée sur l'olesoxime lors d'AS ont fait état d'un effet bénéfique sur le maintien de la fonction neuromusculaire chez des personnes atteintes d'AS de type II et chez les patients non ambulatoires atteints d'AS de type III, ainsi que d'une réduction des complications médicales associées à la maladie. Ces données ont été présentées pour la première fois en avril 2014, lors de l'assemblée annuelle de l'American Academy of Neurology (AAN).

Sandra Horning, M.D., Chief Medical Officer et Head of Global Product Development chez Roche: «Cette acquisition souligne l'engagement de Roche à développer des médicaments contre l'amyotrophie spinale, maladie grave pour laquelle il n'existe aucun traitement efficace. Nous allons nous appuyer sur les travaux de Trophos et de l'Association française contre les myopathies pour poursuivre le développement de l'olesoxime et mettre aussi rapidement que possible ce médicament à la disposition des personnes souffrant de cette terrible maladie.»

Selon les termes de cet accord, Roche effectuera un versement préliminaire de 120 millions d'euros aux actionnaires de Trophos, ainsi que des versements supplémentaires pouvant atteindre 350 millions d'euros lors du franchissement de certaines étapes prédéfinies.

«L'AS est une terrible maladie ayant un énorme impact sur le quotidien des patients et de leurs familles qui, au jour d'aujourd'hui, ont uniquement des soins de soutien à leur disposition. Nous sommes fiers de voir les avancées réalisées dans le développement de ce médicament, dans le but ultime de disposer éventuellement du premier traitement contre l'amyotrophie spinale, a déclaré Christine Placet, CEO de Trophos. C'est une fantastique reconnaissance des travaux réalisés par les équipes et les partenaires de Trophos au cours des 16 dernières années.»

A propos de l'amyotrophie spinale (AS)

L'amyotrophie spinale est une maladie génétique fortement invalidante et limitant l'espérance de vie, qui se caractérise par une faiblesse musculaire progressive et une perte de la fonction motrice. Elle touche les motoneurones des muscles volontaires sollicités lors d'activités telles que la marche à quatre pattes, la marche, le contrôle de la tête et du cou et la déglutition. En règle générale, l'AS survient dans la petite enfance et représente la cause génétique la plus fréquente de mortalité infantile¹. Il s'agit de l'une des maladies rares les plus courantes, touchant entre un enfant sur 6000 et un enfant sur 10 000. L'AS est une maladie génétique autosomique récessive due à une mutation ou à une perte de fonction du gène *Survival Motor Neuron (SMN) 1*, qui entraîne des niveaux insuffisants de protéine SMN, une détérioration progressive des cellules nerveuses au niveau de la moelle épinière et une perte de motoneurones. Près de 20 millions de parents potentiels aux Etats-Unis et dans l'Union européenne sont porteurs, la plupart du temps sans le savoir, du gène *SMN1* muté responsable de l'AS.

Quatre types d'AS sont généralement définis, selon la gravité de la maladie, le degré le plus élevé de motricité et le début de l'apparition de la maladie:

Type I Forme la plus sévère de l'AS. En règle générale, les symptômes surviennent au cours des six premiers mois après la naissance. Les nouveau-nés atteints par la maladie présentent une faible tonicité musculaire, une grande faiblesse musculaire et une altération de la capacité à bouger. Les bébés atteints d'AS de type I ne parviennent jamais à s'asseoir. Des tâches simples comme tenir sa tête, se nourrir ou avaler peuvent s'avérer très difficiles. La faiblesse progressive des muscles thoraciques accroît le risque d'infections respiratoires et de mauvais développement pulmonaire. Les bébés atteints d'AS de type I ont un risque très élevé de diminution irréversible de leur capacité respiratoire. L'AS de type I est associée à un fort taux de mortalité, plus de la moitié des enfants touchés décédant avant leur deuxième anniversaire.

Type II	Forme intermédiaire de l'AS. En règle générale, les symptômes surviennent entre six et dix-huit mois après la naissance. Les personnes atteintes d'AS de type II peuvent généralement s'asseoir, mais ne peuvent pas marcher, elles présentent une invalidité motrice sévère et progressive, et nécessitent souvent des soins 24 heures sur 24 pendant toute leur vie. Il est fréquent qu'elles développent une scoliose sévère (courbure de la colonne vertébrale) et une faiblesse des muscles thoraciques entraînant un risque élevé d'infections respiratoires sévères. La gravité et la progression de la maladie sont variables d'un individu à l'autre, l'espérance de vie allant de la petite enfance à l'âge adulte.
Type III	Les symptômes peuvent survenir à tout moment entre 18 mois et le début de l'âge adulte, et incluent des difficultés à marcher, une faiblesse musculaire et un risque accru d'infections respiratoires. Un nombre significatif de personnes atteintes d'AS de type III perdent la capacité de marcher et peuvent également développer une scoliose sévère et d'autres problèmes orthopédiques. De nombreux patients sont en fauteuil roulant à l'âge de 40 ans.
Type IV	Forme adulte de l'AS. Forme moins courante d'AS, le type IV touche les adultes et se caractérise par une progression plus lente des symptômes qui compromettent principalement la capacité de marcher. Les symptômes surviennent généralement après 35 ans et les patients ont une espérance de vie normale.

A propos de l'olesoxime

L'olesoxime (TRO19622) est un médicament expérimental conçu pour protéger la santé des cellules motoneuronales. Les résultats d'une étude pivot de phase II sur l'olesoxime administré chez des patients atteints d'AS de type II et des patients non ambulatoires atteints d'AS de type III, âgés de trois à 25 ans, ont été présentés pour la première fois en avril 2014, lors du 66^e congrès de l'American Academy of Neurology (AAN) à Philadelphie (Pennsylvanie, Etats-Unis). Le programme de développement de Trophos a bénéficié du soutien de l'Association française contre les myopathies. L'Agence européenne des médicaments a accordé à l'olesoxime l'appellation de médicament orphelin pour le traitement de l'amyotrophie spinale et la Food and Drug Administration aux Etats-Unis lui a également attribué le statut de médicament orphelin.

A propos de Trophos

Trophos, société pharmaceutique spécialisée dans le stade du développement clinique, travaille sur des thérapies innovantes. La société a développé une plate-forme de substances chimiques basées sur le cholestérol-oxime dont elle détient la propriété exclusive. Les molécules ciblées sur les mitochondries de Trophos renforcent la fonctionnalité et la survie des cellules stressées en empêchant la transition de perméabilité mitochondriale, facteur clé du décès ou de la survie cellulaire.

Créée en 1999, Trophos a son siège à Marseille, France. Elle bénéficie du soutien d'un consortium de fonds de private-equity incluant ACG Management, OTC Agregator, Amundi Private Equity Funds, Turenne Capital, Sofipaca et Vesale Partners, ainsi que de celui de l'Association française contre les myopathies (AFM).

A propos de Roche

Roche, dont le siège est à Bâle, Suisse, figure parmi les leaders de l'industrie pharmaceutique et diagnostique axée sur la recherche. Numéro un mondial de la biotechnologie, Roche produit des médicaments cliniquement différenciés pour l'oncologie, l'immunologie, les maladies infectieuses, l'ophtalmologie et les neurosciences. Roche est aussi le leader mondial du diagnostic *in vitro* ainsi que du diagnostic histologique du cancer, et une entreprise d'avant-garde dans la gestion du diabète. Sa stratégie des soins personnalisés vise à mettre à disposition des médicaments et des produits diagnostiques permettant d'améliorer de façon tangible la santé ainsi que la qualité et la durée de vie des patients. Depuis sa fondation, en 1896, Roche n'a cessé d'apporter une contribution majeure dans le domaine de la santé, au niveau mondial. Vingt-quatre médicaments développés par Roche font partie de la Liste modèle de Médicaments Essentiels de l'Organisation Mondiale de la Santé, notamment des antibiotiques, des traitements antipaludéens et des agents chimiothérapeutiques permettant de sauver des vies.

En 2013, le groupe Roche, qui comptait plus de 85 000 employés dans le monde, a consacré plus de 8,7 milliards de francs suisses à la recherche et au développement. Son chiffre d'affaires s'est élevé à 46,8 milliards de francs suisses. Genentech, aux Etats-Unis, appartient entièrement au groupe Roche, qui est par ailleurs l'actionnaire majoritaire de Chugai Pharmaceutical, Japon. Pour de plus amples informations, veuillez consulter le site suivant: www.roche.com.

Cette transaction est soumise aux approbations réglementaires d'usage, dont l'accord du Ministère français de l'économie pour les investissements étrangers et l'expiration du délai d'attente en vertu de la loi Hart-Scott-Rodino. La transaction devrait être conclue dans le courant du premier trimestre 2015.

Relations avec les médias, groupe Roche

Téléphone: +41 - 61 688 8888 / e-mail: roche.mediarelations@roche.com

- Nicolas Dunant (responsable du bureau des médias)
- Ulrike Engels-Lange
- Štěpán Kráčala
- Claudia Schmitt
- Nicole Rüppel
- Nina Schwab-Hautzinger

ⁱ Society for Maternal-Fetal Medicine "Screening for spinal muscular atrophy not cost effective, study finds." Science Daily, last accessed Dec. 10, 2014