



L'Agence européenne des médicaments (EMA) accorde à la thérapie génique de bluebird bio LentiGlobin™ pour la drépanocytose (bb1111) la désignation de médicament prioritaire (PRIME)

La désignation PRIME de l'EMA est conçue pour optimiser le développement et accélérer l'évaluation de médicaments innovants destinés à des patients présentant un important besoin médical

PARIS, France – le 21 septembre 2020 – [bluebird bio, Inc.](#) (Nasdaq : BLUE) annonce aujourd'hui que l'Agence européenne des médicaments (EMA) a accordé à son traitement expérimental, la thérapie génique LentiGlobin™ pour la drépanocytose (bb1111), l'éligibilité au programme des médicaments prioritaires (PRIME).

Le programme PRIME de l'EMA renforce le soutien et la communication entre les entreprises et l'Agence pour optimiser les plans de développement et accélérer le processus d'évaluation afin que les traitements innovants puissent être mis le plus rapidement possible à disposition des patients, sous réserve d'une évaluation positive. Pour recevoir la désignation PRIME, les données cliniques précoces d'un traitement destiné à des patients présentant un besoin médical non satisfait doivent démontrer un bénéfice potentiel. Les données cliniques de l'étude de phase 1/2 terminée HGB-205, de l'étude de phase 1/2 en cours HGB-206 et de l'étude de suivi de la sécurité et de l'efficacité à long terme en cours LTF-303 ont appuyé la candidature à la désignation PRIME de LentiGlobin™ pour la drépanocytose.

« Bien que des progrès aient été réalisés récemment pour apporter des alternatives thérapeutiques dans le traitement de la drépanocytose, il reste un important besoin médical non satisfait pour les personnes vivant avec cette maladie. La drépanocytose est une maladie évolutive qui entraîne souvent des lésions d'organe et un décès prématuré. Elle est caractérisée par une anémie hémolytique, des crises vaso-occlusives (CVO) douloureuses et des accidents vasculaires cérébraux » précise Anne-Virginie Eggimann, M.Sc., Senior Vice-President pour les affaires réglementaires chez bluebird bio. *« Les résultats de nos études cliniques obtenus jusqu'à maintenant démontrent que LentiGlobin™ pour la drépanocytose peut être réellement bénéfique pour les personnes atteintes de drépanocytose. En accordant la désignation PRIME, l'EMA souligne qu'il est important de mettre à disposition des patients atteints de drépanocytose des médicaments innovants. Cette désignation nous permettra de collaborer plus étroitement encore avec l'Agence pour accélérer le développement et l'évaluation de LentiGlobin™ pour la drépanocytose. »*

La drépanocytose est une maladie génétique grave, évolutive et particulièrement invalidante causée par une mutation du gène de la β -globine qui entraîne la production d'hémoglobine anormale (hémoglobine drépanocytaire S ou Hb S). L'hémoglobine S favorise l'apparition de globules rouges (GR) fragiles et en forme de faucille, causant une anémie hémolytique chronique, une vasculopathie et des CVO douloureuses et imprévisibles. Pour les adultes et les enfants atteints, cela se traduit par des crises douloureuses et d'autres complications aiguës potentiellement invalidantes ou mortelles, notamment le syndrome thoracique aigu (STA), l'accident vasculaire cérébral (AVC) et les infections. Si les patients survivent aux complications aiguës, à la vasculopathie et aux lésions d'organe, d'autres complications

peuvent survenir et entraîner une hypertension artérielle pulmonaire, une insuffisance rénale et un décès prématuré.

LentiGlobin™ pour la drépanocytose a été conçu pour ajouter des copies fonctionnelles d'une forme modifiée du gène de la β -globine (gène de la β^{A-T87Q} -globine) dans les cellules souches hématopoïétiques (CSH) du patient. Une fois traités, les patients seront en mesure de produire des globules rouges capable de produire de l'hémoglobine anti-drépanocytaire HbA^{T87Q}, ce qui réduit la proportion d'HbS, avec l'objectif de diminuer le nombre de globules rouges en faucille, l'hémolyse et d'autres complications.

Le programme de développement clinique bluebird bio de LentiGlobin™ pour la drépanocytose comprend l'étude de phase 1/2 HGB-205 (clôturée), l'étude de phase 1/2 en cours HGB-206 et l'étude de phase 3 en cours HGB-210. Bluebird bio mène une étude de suivi de la sécurité et de l'efficacité à long terme (LTF-303) chez toutes les personnes ayant participé aux études cliniques financées par bluebird bio sur le bétibéglogène autotemcel pour la β -thalassémie ou sur LentiGlobin™ pour la drépanocytose. Pour obtenir de plus amples informations, consultez le site : <https://www.bluebirdbio.com/our-science/clinical-trials> ou clinicaltrials.gov.

LentiGlobin™ pour la drépanocytose a reçu la désignation de médicament orphelin de la Commission européenne pour le traitement de la drépanocytose.

La FDA américaine a accordé le statut de médicament orphelin et la désignation de thérapie innovante de médecine régénérative (RMAT) et la désignation de maladie pédiatrique rare à LentiGlobin™ pour la drépanocytose.

LentiGlobin™ pour la drépanocytose est expérimental et n'a été approuvé dans aucune région ou territoire dans le monde.

À propos de bluebird bio, Inc.

Basé à Cambridge (Massachusetts, Etats-Unis), bluebird bio est un laboratoire pionnier dans le domaine des thérapies géniques. Bluebird bio développe des traitements innovants contre des maladies génétiques graves et certains cancers, avec l'objectif de permettre aux personnes qui en sont atteintes de vivre pleinement leur vie. En plus de ses recherches, bluebird bio collabore avec les différents systèmes de santé pour assurer l'accès à la thérapie génique à toutes les personnes qui pourraient en bénéficier.

Bluebird bio est une société empreinte de valeurs humaines, nourries par des histoires humaines. Ses recherches se concentrent sur diverses maladies comme l'adrénoleucodystrophie cérébrale, la drépanocytose, la bêta-thalassémie ainsi que le myélome multiple. Bluebird bio utilise trois techniques de thérapie génique : l'ajout de gène, la thérapie cellulaire et l'édition de gènes (activée par megaTAL).

Bluebird bio est également présente à Seattle, dans l'Etat de Washington, et à Durham, en Caroline du Nord. Le siège européen de l'entreprise est situé à Zoug, en Suisse, et l'entreprise est présente en Allemagne (Munich), en France (Paris), en Italie (Milan), aux Pays-Bas (Utrecht) et au Royaume-Uni (Hampshire).

Pour plus d'informations : <https://www.bluebirdbio.fr/>

Suivez bluebird bio sur les réseaux sociaux : [@bluebirdbio](#), [LinkedIn](#), [Instagram](#) et [YouTube](#).

Lenti-D et bluebird bio sont des marques déposées de bluebird bio, Inc.

Investisseurs:

Ingrid Goldberg, + 1 857-217-0490

igoldberg@bluebirdbio.com

Presse:

Karina Auger, +33 7 76 75 73 88

kauger@apcoworldwide.com

Clémence Lambotte, +33 6 26 39 42 36

clambotte@apcoworldwide.com

###