

## **Orphelia Pharma dépose une demande d'autorisation de mise sur le marché en Europe pour KIZFIZO®**

### **Première formulation buvable de témozolomide pour le traitement des neuroblastomes réfractaires ou en rechute**

**Paris et Lyon, France, le 24 octobre 2023** – Orphelia Pharma, société pharmaceutique dédiée au développement et à la commercialisation de médicaments pédiatriques et orphelins, annonce aujourd'hui avoir déposé une demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) centralisée auprès de l'agence européenne du médicament (European Medicines Agency - EMA) pour KIZFIZO®, la première formulation orale liquide de témozolomide.

KIZFIZO (suspension buvable de témozolomide, 40 mg/ml), connu sous les noms de Ped-TMZ ou KIMOZO pendant son développement clinique et les programmes d'accès précoce en cours, a été conçu spécifiquement pour une utilisation dans le traitement des enfants atteints de neuroblastome récidivant ou réfractaire, indications d'oncologie de mauvais pronostic. Cette suspension buvable, dont le goût est masqué, a été développée pour les enfants : elle permet d'administrer une dose précise dans un petit volume par voie orale ou à l'aide d'une sonde nasogastrique. Orphelia Pharma développe KIZFIZO depuis six ans en collaboration avec Gustave Roussy, premier centre de cancérologie européen.

« Nous sommes très fiers d'avoir développé ce nouveau médicament pédiatrique », déclare Laurent Martin, directeur des affaires pharmaceutiques chez Orphelia Pharma. « KIZFIZO répond à un besoin médical non satisfait : disposer d'une suspension buvable de témozolomide pour le traitement du neuroblastome récidivant ou réfractaire. Cette formulation vise à éviter les mésusages qui consistent à utiliser des formes pharmaceutiques non adaptées à l'enfant mélangées à une boisson ou de la nourriture, ce qui peut exposer les aidants à une molécule cytotoxique et sans vrai contrôle de la dose effectivement délivrée au patient. »

« La demande d'autorisation de mise sur le marché de KIZFIZO est une excellente nouvelle pour les enfants vivant avec un cancer et leur famille. Elle souligne l'engagement de Gustave Roussy à jouer un rôle de premier plan dans le développement de médicaments pédiatriques dans l'objectif de guérir tous les enfants dans le futur », déclare le Professeur Fabrice Barlesi, Directeur Général de Gustave Roussy.

La pharmacocinétique de KIZFIZO chez les enfants a été évaluée dans [TEMOkids](#), une étude multicentrique européenne de pharmacocinétique, d'acceptabilité et de tolérance chez le patient pédiatrique ayant besoin de témozolomide (NCT04610736).

Les données sur l'efficacité et l'innocuité du témozolomide dans le neuroblastome réfractaire ou en rechute, présentées dans la demande d'AMM, comprennent notamment :

- *BEACON-Chemo*, une sous-analyse des bras de chimiothérapie de l'étude *BEACON*, étude prospective, randomisée, multicentrique européenne de phase II chez les enfants atteints d'un neuroblastome réfractaire ou récidivant. Le sponsor de cette étude est l'Université de Birmingham (Royaume-Uni).
- *Retro-TMZ*, une étude descriptive et rétrospective multicentrique européenne, évaluant l'efficacité et la tolérance du témozolomide chez les enfants atteints d'un neuroblastome réfractaire ou récidivant. Cette étude a été réalisée par Gustave Roussy (France).

### **À propos de KIZFIZO® 40 mg/ml**

KIZFIZO (témozolomide suspension buvable, 40 mg/ml) est une formulation pédiatrique liquide de témozolomide pour administration par voie orale, prête à l'emploi, développée pour le traitement du neuroblastome récidivant ou réfractaire. Cette formulation, au goût masqué et adapté aux jeunes enfants, permet une administration précise dans un petit volume tout en évitant la manipulation du produit et l'exposition des aidants au témozolomide, médicament cytotoxique. Il est le fruit d'une collaboration entre les pharmaciens et cliniciens de Gustave Roussy et l'équipe de développement d'Orphelia Pharma.

En mars 2022, KIZFIZO a obtenu une Autorisation d'Accès Précoce (AAP) par les autorités françaises, pour le traitement du neuroblastome réfractaire ou récidivant en monothérapie ou en association avec l'irinotécan ou le topotécan.

KIZFIZO a obtenu une désignation de médicament orphelin (Orphan Drug Designation - ODD) auprès de l'EMA et de la FDA. La formulation est couverte par des brevets délivrés et des demandes en instance en Europe et aux États-Unis.

### **À propos du neuroblastome**

Le neuroblastome est un cancer extra-cérébral rare, avec environ 900 nouveaux cas diagnostiqués chaque année dans l'Union Européenne. Il touche presque exclusivement les enfants de moins de cinq ans, avec un âge médian de 18 mois au moment du diagnostic. Le neuroblastome a une grande diversité de pronostic, ce qui se reflète dans la stratification du risque. Environ 40% des patients présentent un neuroblastome de haut risque et font souvent face à une mauvaise réponse au traitement d'induction (patients réfractaires) ou à une rechute ultérieure. Il subsiste un réel besoin médical non satisfait pour ces patients et des recherches sont en cours pour déterminer la meilleure stratégie thérapeutique. Le témozolomide est la chimiothérapie couramment utilisée et constitue une partie essentielle de l'arsenal thérapeutique pour ces patients.

### **À propos d'Orphelia Pharma**

Orphelia Pharma est une société pharmaceutique basée à Paris et Lyon qui développe et commercialise des médicaments pour le traitement des maladies pédiatriques et orphelines. Elle fournit aux patients des produits essentiels dans les domaines de la neurologie et de l'oncologie, dans des formulations adaptées à la population pédiatrique. Orphelia Pharma mène des projets de recherche dans le cadre de partenariats académiques et industriels. Elle a récemment mis en place des accords régionaux dans les territoires européens et étend sa présence à travers le monde.

[www.orphelia-pharma.eu](http://www.orphelia-pharma.eu)

### **A propos de Gustave Roussy**

Classé premier centre de cancérologie français, premier européen et troisième au niveau mondial, Gustave Roussy constitue un pôle d'expertise globale entièrement dédié aux patients vivant avec un cancer. L'Institut est un pilier fondateur du biocluster en oncologie Paris-Saclay Cancer Cluster. Source d'innovations thérapeutiques et d'avancées diagnostiques, l'Institut accueille chaque année près de 50 000 patients dont 3 500 enfants et adolescents et développe une approche intégrée entre recherche, soins et enseignement. Expert des cancers rares et des tumeurs complexes, Gustave Roussy traite tous les cancers, à tous les âges de la vie. Il propose à ses patients une prise en charge personnalisée qui allie innovation et humanité, où sont pris en compte le soin mais aussi la qualité de vie physique, psychologique et sociale. Avec 4 100 salariés répartis sur deux sites, Villejuif et Chevilly-Larue, Gustave Roussy réunit les expertises indispensables à une recherche de haut niveau en cancérologie ; 40% des patients traités sont inclus dans des études cliniques.

Pour en savoir plus sur Gustave Roussy et suivre les actualités de l'Institut : [www.gustaveroussy.fr](http://www.gustaveroussy.fr), [Twitter](#), [Facebook](#), [LinkedIn](#), [Instagram](#)

Contacts presse et analystes

**Andrew Lloyd & associates**

Emilie Chouinard / Juliette Schmitt

[emilie@ala.associates](mailto:emilie@ala.associates) / [juliette@ala.associates](mailto:juliette@ala.associates)

FR : +33 1 56 54 07 00