

Orphelia Pharma obtient un brevet américain pour KIZFIZO®, la première formulation pédiatrique buvable de témozolomide

La société bénéficie d'une période de protection jusqu'en 2038

Paris et Lyon, France, le 29 novembre 2023 – Orphelia Pharma, société pharmaceutique dédiée au développement et à la commercialisation de médicaments pédiatriques et orphelins, annonce aujourd'hui que l'Office américain des brevets (USPTO – *United States Patent and Trademark Office*) a délivré le brevet n° US11/730,732 qui couvre KIZFIZO, la première suspension pédiatrique buvable de témozolomide prête à l'emploi.

KIZFIZO (suspension buvable de témozolomide, 40 mg/ml), aussi 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 de haut risque 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.

« Après avoir obtenu la délivrance du brevet européen en 2021, cet accord de l'USPTO vient à nouveau souligner l'innovation apportée par la formulation spécifique de KIZFIZO qui repose sur la découverte d'un excipient essentiel pour améliorer la stabilité et les propriétés rhéologiques de la suspension », commente Jeremy Bastid, directeur du développement d'Orphelia Pharma. « Ce brevet américain s'ajoute au brevet européen déjà délivré et à l'obtention d'une désignation de médicament orphelin (Orphan Drug Designation, ODD) pour le témozolomide dans le traitement du neuroblastome aux Etats-Unis et en Europe. Nous bénéficions ainsi d'une double protection pour KIZFIZO dans ces territoires. »

« Les besoins hospitaliers en formulation buvable de témozolomide sont majeurs, mais les tentatives visant à générer de telles formulations liquides n'ont jamais été satisfaisantes, avec de faibles concentrations en témozolomide et donc de grands volumes à administrer, une péremption courte et une recristallisation erratique », explique Maxime Annereau, pharmacien à Gustave Roussy et co-inventeur du brevet. « Nos travaux menés conjointement avec les équipes d'Orphelia Pharma ont permis d'identifier une formulation permettant une forte concentration en témozolomide tout en contrôlant le processus de transition polymorphique. »

Jeremy Bastid conclut : « Le témozolomide est un médicament essentiel dans la prise en charge du neuroblastome réfractaire ou en rechute, une maladie qui touche de très jeunes enfants. KIZFIZO répond à un besoin médical majeur non couvert actuellement. Tous nos efforts sont désormais concentrés sur la mise à disposition rapide de KIZFIZO auprès des patients. La suspension est déjà accessible dans le cadre d'un accès précoce et nous avons récemment déposé une demande d'autorisation de mise sur le marché en Europe. »

Les brevets américain (US11/730,732) et européen (EP3613436) délivrés, intitulés « suspension orale de témozolomide » sont détenus en copropriété par Orphelia Pharma et Gustave Roussy. En prenant en compte la date de dépôt de la demande prioritaire, la période de protection de ces brevets devrait s'étendre jusqu'en 2038. Cette protection s'ajoute aux désignations orphelines déjà obtenues sur ces territoires.

A propos de KIZFIZO 40 mg/ml

KIZFIZO (suspension buvable de témozolomide, 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 de haut risque 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 de haut risque 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 en Europe et aux États-Unis. La société a déposé une demande d'AMM auprès de l'EMA à l'été 2023.

A 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, [LinkedIn](#)

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, [Twitter](#), [Facebook](#), [LinkedIn](#), [Instagram](#)

Contacts presse et analystes
Andrew Lloyd and Associates
Matthew Gower / Juliette Schmitt
matthew@ala.associates / juliette@ala.associates
FR : +33 1 56 54 07 00