

Novadip obtient la désignation RMAT (Regenerative Medicine Advanced Therapy) de la FDA pour NVD003 dans la pseudarthrose congénitale du tibia

NVD003, un thérapie autologue issue de cellules souches dérivées du tissu adipeux, pourrait traiter en une seule prise les patients atteints de pseudarthrose congénitale du tibia, en leur évitant l'amputation et en restaurant leur mobilité

La désignation RMAT est consécutive à l'autorisation IND que Novadip a obtenue pour NVD003, dont la commercialisation est prévue aux États-Unis pour 2027

Mont Saint-Guibert, Belgique, le 23 juin 2025 – Novadip Biosciences, société de biotechnologie clinique de stade avancé, spécialisée en médecine régénérative, annonce aujourd'hui que la FDA a accordé la désignation Regenerative Medicine Advanced Therapy (RMAT) pour NVD003, son produit de régénération tissulaire, dans le traitement de la pseudarthrose congénitale du tibia.

La désignation RMAT, accordée aux thérapies cellulaires, aux produits d'ingénierie tissulaire thérapeutique et aux produits à base de cellules et de tissus humains, témoigne de la confiance accordée par la FDA face aux données cliniques préliminaires de Novadip. Elles indiquent que NVD003 pourrait répondre à des besoins médicaux non satisfaits dans la pseudarthrose congénitale du tibia, une maladie osseuse pédiatrique rare. Cette désignation ne peut être accordée que dans le cadre d'une autorisation IND, que Novadip a obtenue en 2021.

Les résultats qui ont mené à cette désignation par la FDA sont issus d'un essai de phase 1b/2a (NCT05693558) portant sur quatre patients atteints de pseudarthrose congénitale du tibia. En combinant les résultats à 12 mois de cet essai avec ceux de quatre autres enfants traités par NVD003 dans le cadre de deux programmes d'usage compassionnel en Belgique, on constate que 88 % des patients, pour lesquels les interventions chirurgicales antérieures avait échoué, ont obtenu la guérison de leurs fractures grâce à NVD003.

« Cette désignation RMAT est une étape majeure pour Novadip, dans notre parcours de commercialisation de NVD003, avec comme objectif une mise sur le marché en 2027, notamment aux États-Unis », déclare Denis Dufrane, MD, PhD, CEO de Novadip. « NVD003 répond parfaitement aux exigences de la FDA pour cette désignation, car il s'agit d'un produit de régénération tissulaire destiné au traitement de la pseudarthrose congénitale du tibia, une maladie grave, rare et invalidante qui touche les enfants. »

« Du fait de la nouveauté inhérente aux thérapies régénératives, il n'existe souvent aucun précédent réglementaire quant aux preuves nécessaires pour démontrer l'efficacité dans des indications de maladies rares », explique Judy Ashworth, directrice médicale de Novadip. « L'obtention de la désignation RMAT pour NVD003, pour le traitement des enfants atteints de pseudarthrose congénitale du tibia, nous conforte dans l'idée que la FDA juge notre approche et nos résultats préliminaires convaincants, et que nous sommes sur la bonne voie, avec le lancement ce mois-ci de notre essai pivot de phase 3. »

Novadip a obtenu en 2020 la désignation de médicament orphelin (Orphan Drug Designation) et de médicament pédiatrique rare (Rare Pediatric Designation) de la FDA pour NVD003 dans le traitement de la pseudarthrose congénitale du tibia. La société a également obtenu la désignation Fast Track en 2023.

La pseudarthrose congénitale du tibia concerne moins de 3,5 naissances vivantes sur 150 000. C'est une maladie rare dont le traitement est difficile. Une fois qu'une fracture survient, on constate habituellement de nouvelles fractures. Les enfants touchés par cette pathologie peuvent être confrontés à une mobilité réduite et à des années de chirurgie correctrice pour tenter de réparer et de stabiliser l'os. Il n'est pas rare que ces patients finissent par subir une amputation.

Dans le cadre de l'essai pivot de phase 3 dans la pseudarthrose congénitale du tibia, le premier site clinique devrait ouvrir avant fin juin 2025, avec un recrutement aux États-Unis et en Europe qui débutera peu après.

NVD003 pourrait générer un chiffre d'affaires de 1,4 milliard de dollars pour les défauts osseux importants chez les patients pédiatriques et adultes. (Source : analyse Evaluate)

A propos de NVD003

NVD003 est un greffon ostéogénique tridimensionnel (3D) issu de cellules souches autologues mésenchymateuses dérivées du tissu adipeux (ASC), combinées à des particules d'hydroxyapatite/phosphate tricalcique bêta (HA/TCP). NVD003 a été spécifiquement conçu pour améliorer la cicatrisation osseuse dans des situations pathophysiologiques difficiles (par exemple hypoxie, absence de formation de cal minéralisé, résorption osseuse ou ostéogénèse faible) qu'on rencontre dans la pseudarthrose congénitale, les tumeurs osseuses (après une résection chirurgicale étendue), les lésions ostéolytiques telles que la maladie de Gorham-Stout, les maladies génétiques de résorption osseuse avec ostéoporose telles que le syndrome de Hajdu-Cheney ou à la suite d'un traumatisme sévère (blessures de guerre).

A propos de Novadip Biosciences

Novadip est une société de biotechnologie au stade clinique avancé qui vise à faire progresser les standards de soins en médecine régénérative des os et des tissus.

Sur la base des découvertes scientifiques du Prof. Denis Dufrane, MD, PhD, et fondateur, et des recherches menées à l'UCLouvain et à l'Hôpital Universitaire Saint-Luc, la société développe sa plateforme technologique unique de régénération tissulaire 3M³ conçue pour créer une nouvelle classe de produits tissulaires régénératifs qui accélèrent la cicatrisation des défauts osseux importants, des pseudarthroses osseuses et de la fusion vertébrale, en un seul traitement, pour les patients ayant des options de traitement limitées ou inexistantes.

Le pipeline de Novadip comprend deux produits phares : NVD003, une thérapie cellulaire autologue actuellement en essais cliniques de phase 1b/2a chez les adultes atteints de pseudarthrose osseuse, et chez les enfants atteints de pseudarthrose congénitale pédiatrique du tibia ; et NVDX3, un matériau de greffe osseuse allogénique actuellement en essais de phase 1b/2a en chirurgie traumatologique et en fusion vertébrale lombaire. Novadip va démarrer deux essais de phase 3 pour NVD003 aux États-Unis et dans l'UE. La FDA a donné son accord pour un essai IND (Investigational New Drug) de phase 2b/3 avec NVDX3 dans la fusion vertébrale de niveau 2.

Fondée en 2013 en Belgique, Novadip compte 45 collaborateurs. Depuis sa création, elle a levé 88 millions d'euros en fonds propres et en financement non dilutif. La société vise un marché potentiel total de 13 milliards d'euros.

www.novadip.com