

Bone Therapeutics fait le point sur son activité du quatrième trimestre 2020 et ses perspectives de développement pour 2021

Le développement des programmes cliniques et plus particulièrement de l'essai de Phase III évaluant JTA-004 et de l'essai de Phase IIb évaluant ALLOB, se poursuit conformément au calendrier initial

Signature de plusieurs accords majeurs de collaboration et de partenariat pour l'amélioration du développement, des capacités de production et des forces commerciales

Position de trésorerie renforcée à la suite d'une levée de fonds, d'un accord de licence et de l'optimisation des processus de production

Gosselies, Belgique, le 20 Janvier 2021, 7h00 CET – BONE THERAPEUTICS (Euronext Bruxelles et Paris : BOTHE), société de biotechnologie spécialisée dans le développement de thérapies cellulaires innovantes répondant aux besoins médicaux non satisfaits en orthopédie et dans d'autres pathologies graves, fait aujourd'hui un point sur ses activités au quatrième trimestre 2020, clos le 31 Décembre 2020, et présente ses perspectives de développement pour 2021.

« Bone Therapeutics s'est distinguée ces derniers mois par sa forte productivité, le franchissement d'étapes majeures dans la quasi-totalité de ses domaines d'activité et surtout la mise en place et le déploiement de sa stratégie commerciale, » commente **Miguel Forte, Directeur Général de Bone Therapeutics**. « De fait, nous avons récemment démarré le traitement des patients de l'étude de Phase IIb évaluant notre produit de thérapie cellulaire allogénique ALLOB. Nous avons également finalisé le recrutement du premier patient de l'essai pivot de Phase III évaluant notre viscosupplément enrichi, le JTA-004, dont nous attendons les résultats principaux au troisième trimestre 2021, une étape clé dans l'histoire du développement de Bone Therapeutics. En complément de nos développements cliniques, nous avons fortement amélioré nos capacités de production grâce à la mise en place d'un partenariat avec Catalent, société de premier plan dans les services à l'industrie pharmaceutique spécialisée en thérapie cellulaire et génique et avons ouvert les portes du marché asiatique à nos thérapies cellulaires au travers d'un accord de licence avec nos partenaires chinois, Link Health et Pregene. Par ailleurs, nous avons exploré de nouvelles pistes de développement dans les collaborations impliquant Rigenrand et le consortium BioWin. L'objectif principal de ces collaborations sera de développer les applications de notre plateforme innovante de thérapie cellulaire et d'agrandir notre portefeuille de produits cliniques avancés en y intégrant les projets de développement les plus créateurs de valeur. Les fondations solides établies par ces succès récents et la position de trésorerie renforcée de Bone Therapeutics nous permettent d'aborder cette année 2021 avec confiance. Nous entendons poursuivre nos efforts et capitaliser sur les progrès déjà accomplis pour finaliser les développements cliniques d'ALLOB et de JTA-004 tout en explorant en parallèle de nouvelles innovations capables de répondre au besoin médical des patients. »

Principaux développements cliniques et opérationnels – T4 2020 à aujourd'hui

- À la suite de l'obtention des approbations réglementaires dans les sept pays européens sélectionnés pour cet essai, Bone Therapeutics a traité le premier patient de l'étude de Phase IIb évaluant son produit de thérapie cellulaire allogénique, ALLOB, chez des patients souffrant de fractures du tibia. L'étude prévoit le recrutement de 178 patients dans plus de 40 sites cliniques. En fonction de l'évolution de la pandémie de COVID-19, Bone Therapeutics entend finaliser le recrutement des patients au premier semestre 2022 et présenter les principaux résultats au second semestre 2022.
- Bone Therapeutics a complété avec succès le recrutement et le traitement des patients de l'étude clinique pivot de Phase III évaluant son viscosupplément amélioré, le JTA-004, chez des patients souffrant d'arthrose du genou. Les résultats principaux de cette étude sont attendus au troisième trimestre 2021, celle-ci ayant été finalisée à la date prévue par le calendrier initial malgré la pandémie de COVID-19.
- Bone Therapeutics a annoncé les résultats positifs à 24 mois de son étude de Phase IIa évaluant son produit de thérapie cellulaire allogénique, ALLOB, chez des patients ayant subi des procédures de fusion vertébrale. Ainsi, 90%

des patients ont montré une fusion osseuse réussie et de fortes améliorations cliniques au niveau de la fonction et de la douleur après un suivi de 24 mois. Le profil de sécurité du produit utilisé était bon, conformément aux précédentes évaluations.

Principaux développements corporate de la société – T4 à aujourd'hui

- Bone Therapeutics a signé un accord de collaboration et de production avec Catalent, Inc. afin d'optimiser la production d'ALLOB. Selon les termes de cet accord d'achat d'actions, Catalent a acquis la filiale de production de thérapie cellulaire de Bone Therapeutics, Skeletal Cell Therapy Support (SCTS), pour un produit brut de 12 M€.
- Bone Therapeutics a signé un accord exclusif de licence avec Link Health Pharma Co., Ltd et Shenzhen Pregene Biopharma Company, Ltd pour la production, le développement clinique et la commercialisation d'ALLOB en Grande Chine, à Taiwan, Singapour, en Corée du Sud et en Thaïlande. Les termes de cet accord incluent au total 55 M€ répartis sur un paiement initial et des paiements d'étape, dont 10 M€ sont attendus sur les 2 prochaines années, ainsi que des redevances à deux chiffres échelonnées sur les ventes nettes.
- Bone Therapeutics a également signé un premier accord partenariat pour le développement de processus avec Rigenrand, un spécialiste des Cellules Stromales Mésoenchymateuses (CSM). Cette première collaboration sera axée sur la poursuite du développement et l'amélioration des cellules de formation osseuse de Bone Therapeutics. Elle pourra notamment aboutir à l'extension des cibles thérapeutiques potentielles de ces cellules et à l'exploration de nouveaux mécanismes faisant appel à des modifications génique pour le portefeuille de produits thérapeutiques de Bone Therapeutics.
- En novembre, Bone Therapeutics a intégré un groupe de recherche aux côtés d'experts de l'industrie et de partenaires académiques pour le développement d'implants sur mesure, biorésorbables, actifs biologiquement et imprimés en 3D, enrichis avec les cellules de formation osseuse allogéniques d'ALLOB. Ce consortium, répondant désormais au nom de Bonerec, a été établi dans le cadre des « Pôles de Compétitivité » de BioWin, l'Association Wallonne Belge de la Santé et a reçu un financement non dilutif de 3 M€ octroyé par le Gouvernement Wallon.
- A compter du 15 janvier 2021, Bone Therapeutics nomme Sven Kili, MD, en tant que Directeur Médical intérimaire. Le Dr. Kili est un médecin hautement expérimenté spécialiste du développement et de la commercialisation de thérapies cellulaires et géniques. Auparavant, le Dr. Kili était Vice-Président et Directeur du développement des thérapies cellulaires et géniques de GSK, où il a notamment supervisé l'approbation et la commercialisation de leur première thérapie génique *ex vivo* chez l'homme. Il a également occupé plusieurs postes de Direction au sein du département international des affaires médicales de la franchise de biochirurgie et des activités de thérapie cellulaire et de médecine régénérative de Sanofi-Genzyme. Le Dr. Kili est chirurgien orthopédique de formation au *National Health Service*, au Royaume-Uni. Il remplacera Olivier Godeaux, MD, jusqu'au mois de Juin 2021, qui a décidé de quitter Bone Therapeutics afin de poursuivre d'autres projets professionnels. Le Dr. Godeaux restera à la disposition de Bone Therapeutics pour les 3 prochains mois afin d'assurer la transition avec son successeur dans les meilleures conditions possibles.

Principaux éléments financiers – T4 2020 ⁽¹⁾

- Bone Therapeutics a levé avec succès 10 M€ au travers d'un placement privé faisant appel aux actionnaires historiques mais également à de nouveaux investisseurs institutionnels en Europe et aux Etats-Unis.
- Bone Therapeutics considère plus que jamais la bonne gestion de sa trésorerie comme une priorité. La consommation de trésorerie nette de 16,4 M€ ⁽¹⁾ à fin 2020 est en ligne avec les estimations de la Société de 15 à 16 M€. La position de trésorerie nette de la Société s'établit à 14,7 M€ ⁽¹⁾ pour l'année close au 31 décembre 2020. Suite à l'accord de licence avec Link Health et Pregene, à l'acquisition par Catalent de SCTS, la filiale de production de Bone Therapeutics, et à la levée de fonds réussie de 10 M€ en produits bruts au quatrième trimestre 2020, la Société estime disposer des fonds nécessaires pour poursuivre ses activités stratégiques jusqu'au quatrième trimestre 2021. Cette estimation tient compte d'un rythme d'activité normal et reste sujette à modification en cas d'évolution de la pandémie de COVID-19 en cours.

Perspectives 2021

- Bone Therapeutics entend présenter au troisième trimestre 2021 les résultats principaux relatifs au critère d'évaluation principal à 3 mois et à la période de suivi de 6 mois de son étude clinique pivot de Phase III évaluant son viscosupplément amélioré, le JTA-004, chez des patients souffrant d'arthrose du genou.
- Bone Therapeutics poursuit ses discussions avec des partenaires potentiels afin d'explorer toute opportunité commerciale en amont de la publication des résultats principaux de la Phase III pivot de JTA-004 et alors qu'ALLOB est évalué dans une étude de preuve de concept de Phase IIb, en double aveugle, contrôlée par placebo.
- Au cours du premier semestre 2021, Bone Therapeutics prévoit de poursuivre ses échanges avec la *Food and Drug Administration* (FDA) américaine en préparation des prochaines étapes du développement clinique de JTA-004 et d'ALLOB aux Etats-Unis.
- Bone Therapeutics prévoit de poursuivre l'extension de sa plateforme de thérapie cellulaire à base de CSM différenciées au-delà d'ALLOB dans d'autres indications thérapeutiques.

Agenda financier 2021

29 Avril – Résultats et rapport annuels 2020
26 Mai – Résultats et point d'activité du T1 2021
9 Juin – Assemblée Générale 2021
8 Septembre – Résultats du premier semestre 2021
26 Octobre – Résultats et point d'activité du T3 2021

L'agenda financier est communiqué sur une base indicative et peut encore être modifié.

(1) Chiffres non audités

À propos de Bone Therapeutics

Bone Therapeutics est une société de biotechnologie de premier plan axée sur le développement de produits innovants répondant à des besoins importants non satisfaits en orthopédie et dans d'autres maladies. La Société dispose d'un portefeuille varié de thérapies cellulaires et biologiques à différents stades de développement, allant de programmes précliniques en immunomodulation, à des produits en phases intermédiaires et avancées de développement clinique pour le traitement de conditions orthopédiques, qui ciblent des marchés caractérisés par d'importants besoins médicaux non satisfaits et des innovations limitées.

Bone Therapeutics développe un viscosupplément amélioré de nouvelle génération prêt à l'emploi, le JTA-004, actuellement en Phase III de développement pour le traitement de la douleur dans l'arthrose du genou. Mélange unique de protéines plasmatiques, d'acide hyaluronique – un composant naturel du liquide synovial du genou, et d'un analgésique à action rapide, JTA-004 a pour objectif d'améliorer la lubrification et la protection du cartilage de l'articulation arthrosique tout en soulageant la douleur et l'inflammation associées. Les résultats d'efficacité positifs de l'essai de Phase IIb mené chez des patients souffrant d'arthrose du genou avaient montré une amélioration statistiquement significative du soulagement de la douleur comparé au viscosupplément de référence dans cette indication.

La technologie principale de Bone Therapeutics, qui présente l'avantage de pouvoir être stockée au point d'utilisation à l'hôpital, repose sur sa plateforme de thérapie cellulaire allogénique de pointe utilisant des Cellules Stromales Mésoenchymateuses (CSM) différenciées issues de la moelle osseuse. Actuellement en développement préclinique, BT-20, le produit candidat le plus récent issu de cette technologie, vise le traitement de conditions inflammatoires. Le principal produit médical expérimental de Bone Therapeutics, ALLOB, représente une approche unique et brevetée de la régénération osseuse, qui transforme des cellules souches indifférenciées de donneurs sains en cellules de formation osseuse. Ces cellules sont produites via un procédé de fabrication exclusif de pointe adapté à une échelle industrielle. Suite à l'approbation de la demande d'essai clinique par les autorités réglementaires en Europe, la Société a initié le recrutement des patients d'un essai clinique de phase IIb évaluant ALLOB chez des patients souffrant de fractures difficiles du tibia et utilisant son procédé de production optimisé. ALLOB continue par ailleurs d'être évalué dans d'autres indications orthopédiques incluant notamment la fusion vertébrale, l'ostéotomie et les applications maxillo-faciales et dentaires.

Les produits de thérapie cellulaire de Bone Therapeutics sont fabriqués selon les normes de BPF (Bonnes Pratiques de Fabrication) les plus strictes et sont protégés par un vaste portefeuille de PI (Propriété Intellectuelle) couvrant dix familles de brevets et le savoir-faire à l'origine de l'innovation de la Société. Bone Therapeutics est basée au BioPark de Gosselies en Belgique. De plus amples informations sont disponibles sur le site de la société : <http://www.bonetherapeutics.com/fr>.

Pour plus d'informations merci de contacter :

Bone Therapeutics SA

Miguel Forte, MD, PhD, Directeur Général
Jean-Luc Vandebroek, Directeur Financier
Tel: +32 (0)71 12 10 00
investorrelations@bonetherapeutics.com

Pour les demandes de renseignement des investisseurs et des médias belges :

Bepublic

Catherine Haquenne
Tel: +32 (0)497 75 63 56
catherine@bepublic.be

Pour les demandes de renseignements des investisseurs et des médias français :

NewCap Relations Investisseurs & Communication Financière

Pierre Laurent, Louis-Victor Delouvrier and Arthur Rouillé
Tel: +33 (0)1 44 71 94 94
bone@newcap.eu

Pour les demandes de renseignements des médias internationaux :

Image Box Communications

Neil Hunter / Michelle Boxall
Tel: +44 (0)20 8943 4685
neil.hunter@ibcomms.agency / michelle@ibcomms.agency

Certaines déclarations, convictions et opinions contenues dans le présent communiqué de presse sont prospectives, reflétant les anticipations et projections actuelles de la Société concernant des événements futurs ou, le cas échéant, celles de ses administrateurs. De par leur nature, les déclarations prospectives comportent un certain nombre de risques, d'incertitudes et d'hypothèses qui pourraient avoir comme conséquence que les résultats ou événements réels diffèrent sensiblement de ceux exprimés ou sous-entendus par les déclarations prospectives. Ces risques, incertitudes et hypothèses pourraient affecter défavorablement les résultats et l'impact financier des projets et événements décrits dans la présente. Une multitude de facteurs comprenant, mais sans y être limités, les évolutions de la demande, de la concurrence et de la technologie, peuvent concourir à ce que les événements réels, la performance ou les résultats diffèrent significativement des développements anticipés. Les déclarations prospectives contenues dans ce communiqué de presse concernant les tendances ou les activités passées ne doivent pas être considérées comme une indication de la poursuite de telles tendances ou activités à l'avenir. Par conséquent, la Société ne saurait en aucune manière être tenue, ni s'engager, à publier une mise à jour ou des révisions concernant une quelconque déclaration prospective contenue dans le présent communiqué en raison de toute évolution des attentes ou de toute modification des événements, conditions, hypothèses ou circonstances sur lesquels se fondent ces déclarations prospectives. Ni la Société, ni ses conseillers ou représentants, ni aucune de ses filiales ou aucune personne collaboratrice ou employée, ne garantit que les hypothèses qui sous-tendent ces déclarations prospectives ne comportent aucune erreur, ni en outre accepter une quelconque responsabilité quant à l'exactitude future des déclarations prospectives contenues dans le présent communiqué, ou quant à la réalisation des développements prévus. Le lecteur est invité à ne pas accorder une confiance induite aux déclarations prospectives, leur validité se limitant à la date du présent communiqué.
