



Contact : Alexion Pharmaceuticals, Inc.
Irving Adler,
Directeur principal, Communications de
l'entreprise
203-271-8210

Chrome Communications
Alon Barmapov
905-567-1406, poste 223; Tél. cell. : 647-405-1352
Amanda Webster
905-567-1406, poste 222; Tél. cell. : 647-339-7096

**SOLIRIS™ (ÉCULIZUMAB), LE PREMIER ET LE SEUL MÉDICAMENT POUR LE
TRAITEMENT DES PATIENTS ATTEINTS D'HPN, EST MAINTENANT DISPONIBLE AU
CANADA**

**Alexion présente le programme OneSource™ pour le soutien des patients atteints
d'HPN**

Toronto, ON, le 29 juillet 2009 – Alexion Pharma Canada, une filiale récemment incorporée d'Alexion Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ : ALXN), a annoncé aujourd'hui la commercialisation au Canada de Soliris™ (éculizumab) pour le traitement des patients atteints d'hémogloburie paroxystique nocturne (HPN), une maladie sanguine très rare, évolutive et potentiellement mortelle qui se caractérise par une hémolyse chronique, c'est-à-dire une destruction des globules rouges.

Soliris, le premier médicament d'une nouvelle classe d'inhibiteurs de la voie terminale du complément, a été évalué dans le cadre de la Politique sur le traitement prioritaire des présentations de drogues par la Direction des produits biologiques et des thérapies génétiques (DPBTG) de Santé Canada, qui a émis un avis de conformité en janvier 2009. Soliris a été reconnu sur la scène internationale pour l'innovation scientifique révolutionnaire et les répercussions positives que le médicament exerce sur la vie des patients atteints d'HPN. Soliris s'est vu décerner le Prix Galien 2009 en France pour le médicament le plus innovateur destiné aux maladies rares, ainsi que le Prix Galien 2008 aux États-Unis du meilleur produit biotechnologique pour l'amélioration de la condition humaine.

« Les répercussions positives de Soliris ont changé la vie des patients atteints d'HPN. Soliris représente le seul traitement médicamenteux efficace et sûr d'emploi qui est commercialisé pour leur maladie », a déclaré la docteure Loree M. Larratt, M.D., Faculté de médecine, directrice de la Division d'hématologie clinique, Université de l'Alberta à Edmonton, et l'une des chercheuses qui a participé aux essais cliniques menés sur Soliris. « L'hémolyse sous-tend les morbidités importantes, l'espérance de vie réduite et la mauvaise qualité de vie des patients atteints d'HPN, et Soliris a réduit l'hémolyse chez tous les patients qui ont été traités dans le cadre des essais cliniques ».

Les données de trois essais cliniques multinationaux - TRIUMPH, SHEPHERD et E05-001, l'étude de prolongation de longue durée - ont révélé que les patients atteints d'HPN et qui ont reçu Soliris ont ressenti plusieurs bienfaits, entre autres une réduction immédiate et prolongée de l'hémolyse chronique chez tous les patients (1, 2), une diminution du nombre de caillots sanguins comparativement à la même période avant de commencer le traitement par Soliris (3), des améliorations notables des niveaux de fatigue et que la qualité de vie globale (1,2) ainsi qu'une diminution importante du besoin de transfusions (2). Les résultats de ces essais ont servi de fondement pour l'évaluation réglementaire et l'autorisation de commercialisation de Soliris au Canada.

« La commercialisation de Soliris insufflé un nouvel espoir aux patients atteints d'HPN, car ceux-ci manquaient, jusqu'à présent, d'options thérapeutiques efficaces », a déclaré Gail Ouellette, Ph.D. CCGC, Généticienne/conseillère en génétique agréée Directrice, Portail Québécois des Maladies Génétiques Orphelines. « Les patients atteints de maladies rares méritent un accès rapide aux traitements nouveaux et hautement innovateurs. Nous demandons très instamment aux organismes qui régissent les listes de médicaments de toutes les provinces d'offrir un accès accéléré à Soliris. Nous sommes également encouragés par des initiatives politiques récentes en Ontario, au Québec et en Alberta, ayant pour but de répondre aux besoins spécifiques des patients atteints de maladies rares et d'améliorer l'accès des patients aux médicaments orphelins ».

Le programme OneSource™

Alexion Pharma Canada a également présenté aujourd'hui le programme OneSource™, un service personnalisé pour les patients atteints d'HPN et pour leurs fournisseurs de soins de santé. Un gestionnaire de cas spécifique de OneSource est affecté à chaque patient qui s'inscrit à OneSource™ pour lui donner du soutien immédiatement et au fil du temps, et pour lui offrir un large éventail de services, de l'information sur la maladie à la coordination des soins avec le bureau du médecin. Les gestionnaires de cas travaillent également avec les patients et les médecins pour obtenir l'accès à Soliris et déterminer un mode de financement en cas de besoin. Tous les gestionnaires de cas sont des infirmiers et infirmières autorisés qui ont une vaste expérience des soins des patients. Veuillez communiquer avec le programme OneSource™ en composant le 1- 888-SOLIRIS (888-765-4747) pour obtenir de plus amples renseignements.

« Nous avons le privilège et la responsabilité de mettre à la disposition des patients atteints d'HPN au Canada ce médicament dont ils ont un besoin urgent », a déclaré monsieur John Hasalm, directeur général d'Alexion Pharma Canada. « Notre engagement à l'égard des médecins et des patients va au-delà de Soliris; il comprend l'information sur la maladie, le soutien au diagnostic et l'accès dans des délais opportuns. Notre objectif est que chaque patient atteint d'HPN qui pourrait bénéficier d'un traitement par Soliris y ait accès ».

À propos de l'HPN

Les patients atteints d'HPN souffrent d'hémolyse (destruction des globules rouges), ce qui entraîne des thromboses (caillots sanguins), une fatigue invalidante, de l'anémie, une diminution de la qualité de vie, de l'hypertension pulmonaire, de l'essoufflement, des douleurs récurrentes, de la néphropathie et des épisodes intermittents d'urine de couleur foncée (hémoglobinurie). (4,5) L'HPN est un trouble sanguin très rare qui frappe des personnes de tout âge; l'âge moyen

d'apparition se situant au début de la trentaine. (6) Environ 10 % de tous les patients présentent pour la première fois des symptômes à 21 ans ou moins. (4) L'HPN apparaît sans avertissement et peut survenir chez les hommes et les femmes quels que soient leur race, leur milieu et leur âge. L'HPN est souvent non diagnostiquée, et les retards diagnostiques s'échelonnent entre un an et plus de 10 ans. (7) On estime à environ un tiers des patients atteints d'HPN le nombre de ceux qui ne survivent pas pendant plus de cinq ans à partir du moment du diagnostic. (7) On a déterminé plus couramment la présence d'HPN parmi les patients qui présentent des troubles de la moelle osseuse, entre autres l'anémie aplasique (AA) et les syndromes myélodysplasiques (SMD). (8,9,10) L'HPN peut être une cause sous-jacente chez les patients atteints de thrombose d'origine inconnue. (4) Le site Web www.pnhsource.com offre de plus amples renseignements sur l'HPN.

À propos de Soliris

Soliris est un inhibiteur de la voie terminale du complément qui inhibe de façon sélective la formation de la voie terminale du complément, une composante du système immunitaire normal. Les patients atteints d'HPN ont un déficit en protéines naturelles qui empêchent habituellement la voie terminale du complément de causer la destruction des globules rouges (hémolyse) qui est un élément central des morbidités graves et de la mortalité associées à l'HPN.

Soliris a reçu l'autorisation de commercialisation de *la Food and Drug Administration* des États-Unis (mars 2007), de la Commission européenne (juin 2007), de Santé Canada (février 2009) et de la *Therapeutic Goods Administration* de l'Australie (février 2009) à titre de premier traitement pour tous les patients atteints d'HPN, un trouble sanguin très rare, débilitant et potentiellement mortel qui est défini par l'hémolyse, ou la destruction des globules rouges. Les organismes de réglementation des quatre pays ont évalué et approuvé leurs demandes respectives de commercialisation de Soliris dans le cadre de leurs procédures de traitement prioritaire ou d'évaluation accélérée. Les États-Unis, la Commission européenne et les autorités australiennes ont attribué à Soliris le statut de médicament orphelin. Avant ces autorisations, il n'existait pas de traitements expressément commercialisés pour le traitement de l'HPN. Le traitement de l'HPN se limitait à la prise en charge des symptômes par des transfusions sanguines périodiques, un traitement immunosuppresseur non spécifique et, dans de rares cas, par des greffes de moelle osseuse – une intervention qui comporte ses propres risques substantiels de mortalité et de morbidités. Alexion a pris l'engagement d'atteindre son objectif que chaque patient atteint d'HPN qui pourrait bénéficier d'un traitement par Soliris y ait accès

Renseignements de sécurité importants

Soliris est généralement bien toléré. Les réactions indésirables les plus souvent observées dans le cadre des essais cliniques étaient les céphalées, la rhinopharyngite (nez qui coule), les dorsalgies et les nausées. Le traitement par Soliris ne devrait pas modifier le traitement par anticoagulant parce qu'on n'a pas établi l'effet du sevrage de l'anticoagulothérapie pendant le traitement par Soliris. La monographie canadienne de Soliris comprend également un encadré sur les mises en garde : « Soliris augmente le risque d'infections méningococciques. Il faut vacciner les patients atteints d'une infection méningococcique au moins deux semaines avant de leur administrer leur première dose de Soliris ; il faut revacciner conformément aux lignes directrices médicales courantes sur l'utilisation des vaccins. Il faut surveiller l'apparition de signes précoces d'infections méningococciques chez les patients, évaluer immédiatement en cas d'infection soupçonnée, et traiter au moyen d'antibiotiques s'il y a lieu ». Pendant les essais cliniques, deux patients sur les

198 patients atteints d'HPN qui étaient vaccinés et traités par Soliris ont présenté une infection méningococcique grave. Avant de commencer le traitement par Soliris, tous les patients et leur médecin prescripteur sont encouragés à s'inscrire dans le registre mondial des HPN, ce qui fait partie d'un engagement à long terme à améliorer la compréhension de l'HPN, de son diagnostic et de son traitement.

À propos d'Alexion

Alexion Pharma Canada est une filiale d'Alexion Pharmaceuticals, Inc., une société biopharmaceutique qui œuvre à la mise au point et à la mise sur le marché de traitements médicamenteux qui changent la vie de patients qui souffrent d'états pathologiques graves et potentiellement mortels. Alexion est spécialisée dans la découverte, la mise au point et la commercialisation de produits thérapeutiques destinés à traiter des patients souffrant d'une large gamme de maladies graves, y compris les maladies hématologiques et rénales, les greffes, le cancer et les maladies auto-immunes. Soliris est le premier produit commercialisé d'Alexion, et il a été approuvé aux États-Unis et en Europe en 2007, et au Canada et en Australie en 2009. Alexion évalue d'autres indications potentielles pour Soliris ainsi que d'autres présentations d'éculizumab pour des indications cliniques supplémentaires. L'entreprise explore la mise au point d'autres anticorps, des produits candidats aux premiers stades de leur développement. Il est possible de trouver ce communiqué de presse et d'autres renseignements sur Alexion Pharmaceuticals, Inc. en cliquant sur : www.alexionpharma.com.

Énoncé sur la règle refuge

Ce communiqué de presse contient des énoncés prospectifs, y compris des énoncés concernant les avantages potentiels pour la santé et médicaux de Soliris. Les énoncés prospectifs sont assujettis à des facteurs qui peuvent entraîner des écarts entre les résultats et les plans d'Alexion et ses attentes, y compris par exemple, les décisions des organismes de réglementation quant à l'autorisation de commercialisation ou des restrictions matérielles sur la commercialisation de Soliris, les retards dans la mise en œuvre d'une capacité de fabrication satisfaisante et dans l'établissement d'une infrastructure commerciale, les retards dans le développement de relations commerciales ou des changements négatifs à ce niveau, la possibilité que les résultats d'essais cliniques ne soient pas indicateurs des résultats d'innocuité et d'efficacité de Soliris auprès de populations plus importantes de patients, la possibilité que les résultats initiaux de la commercialisation ne soient pas indicateurs des taux futurs d'adoption de Soliris, le risque que des tierces parties n'acceptent pas de nous accorder les droits de licence de propriété intellectuelle requis d'Alexion à des conditions raisonnables ou pas du tout, le risque que des tiers payeurs n'acceptent pas de rembourser l'utilisation de Soliris à des taux acceptables ou pas du tout, le risque que les estimations au sujet du nombre de patients atteints d'HPN soient inexactes et une variété d'autres risques définis de temps à autre dans les rapports d'Alexion déposés auprès de la *Securities and Exchange Commission*, y compris sans pour autant s'y limiter, les risques présentés dans le rapport trimestriel d'Alexion sur le formulaire 10-Q de l'exercice s'achevant le 31 mars 2009, et dans les autres rapports d'Alexion déposés auprès de la *Securities and Exchange Commission*. Alexion n'a pas l'intention de mettre à jour ces énoncés prospectifs pour refléter les événements ou les circonstances après la date indiquée, sauf dans la mesure où pareille obligation est prévue par la loi.

1. Brodsky RA, Young NS, Antonioli E, Risitano AM, Schrezenmeier H, Schubert J, *et al.* Multicenter phase 3 study of the complement inhibitor eculizumab for the treatment of patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *Blood* 2008 Feb 15;111(4):1840-7.
2. Hillmen P, Young NS, Schubert J, Brodsky RA, Socie G, Muus P, *et al.* The complement inhibitor eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *N Engl J Med* 2006 Sep 21;355(12):1233-43.
3. Hillmen P, Muus P, Duhrsen U, Risitano AM, Schubert J, Luzzatto L, *et al.* Effect of the complement inhibitor eculizumab on thromboembolism in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *Blood* 2007 Dec 1;110(12):4123-8.
4. Parker C, Omine M, Richards S, *et al.* Diagnosis and management of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *Blood*. 2005;106 (12):3699-3709.
5. Hill A, Richards S, Hillmen P. Recent developments in the understanding and management of paroxysmal nocturnal haemoglobinuria. *Br J Haematol*. 2007;137:181-92.
6. Socié G, Mary J Yves, de Gramont A, *et al.* Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria: long-term follow-up and prognostic factors. *Lancet*. 1996; 348:573-577.
7. Hillmen P, Lewis SM, Bessler M, Luzzatto L, Dacie JV. Natural history of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *N Engl J Med*. 1995; 333:1253-1258.
8. Wang H, Chuhjo T, Yasue S, Omine M, Naka S. Clinical significance of a minor population of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria-type cells in bone marrow failure syndrome. *Blood*. 2002;100 (12):3897-3902.
9. Iwanga M, Furukawa K, Amenomori T, *et al.* Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria clones in patients with myelodysplastic syndromes. *Br J Haematol*. 1998;102 (2):465-474.
10. Maciejewski JP, Risitano AM, Sloand EM, *et al.* Relationship between bone marrow failure syndromes and the presence of glycosphosphatidylinositol-anchored protein-deficient clones. *Br J Haematol*. 2001;115:1015-1022.