

English prevails - El comunicado en el idioma original es la versión oficial y autorizada del mismo. Esta traducción es solamente un medio de ayuda y deberá ser comparada con el texto en idioma original, que es la única versión del texto que tendrá validez legal.



Mirum Pharmaceuticals y Vivet Therapeutics firman un acuerdo exclusivo de opción y licencia a escala mundial para los programas de terapia génica de Vivet dirigidos a la colestasis intrahepática familiar progresiva

- *Mirum amplía las oportunidades potenciales en la cartera de enfermedades raras*
- *Vivet dirigirá el desarrollo preclínico de sus dos programas de terapia génica para CIPF3 y CIPF2*
- *Mirum obtiene la opción de las licencias de VTX-803 y VTX-802*

FOSTER CITY, Calif. and PARIS, France – APRIL 12 2021 - Mirum Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq: MIRM) y Vivet Therapeutics ("Vivet") han anunciado hoy un acuerdo por el que Mirum contará con la opción exclusiva de desarrollar y posteriormente comercializar los dos programas de terapia génica con AAV propiedad de Vivet para la colestasis intrahepática familiar progresiva (CIPF), subtipos 3 y 2. Los dos programas, VTX-803 y VTX-802, están siendo evaluados actualmente en estudios preclínicos por Vivet, una empresa privada de biotecnología de terapia génica.

Según los términos del acuerdo, Vivet seguirá avanzando en los estudios preclínicos de VTX-803 y VTX-802 para CIPF3 y CIPF2, respectivamente. Mirum tiene una opción exclusiva de licencia de los programas, tras lo cual Mirum dirigirá su desarrollo clínico y cualquier comercialización futura. Hasta ese momento, Mirum proporcionará financiación para avanzar en la investigación y desarrollo de ambos programas.

"Esta colaboración en el ámbito de la terapia génica trabajará para abordar la causa raíz de CIPF3 y CIPF2 y ofrecer así una alternativa a los pacientes que no responden a la inhibición de ASBT", dijo Chris Peetz, presidente y director ejecutivo de Mirum. "Confiamos plenamente en la experiencia y la dedicación del equipo de Vivet para desarrollar terapias génicas de nueva generación con el potencial de transformar la vida de los pacientes y sus familias. Hay claras sinergias en nuestras misiones combinadas para ayudar a las personas que más lo necesitan."

"La especialización de Mirum en el tratamiento de las enfermedades hepáticas colestásicas y de aquellas enfermedades raras para las que existen medicamentos limitados les convierte en un gran socio potencial para desarrollar y llevar al mercado VTX-803 y VTX-802", dijo Jean-Philippe Combal, director general y cofundador de Vivet. "Su liderazgo en enfermedades hepáticas raras, y en particular en la FPI, es clave, ya que no sólo entienden la necesidad urgente de los pacientes, sino también que las opciones de tratamiento actuales nunca serán suficientes. La terapia génica es un enfoque transformador con potencial para beneficiar a más pacientes."

VTX-803 y VTX-802 son dos programas de terapia génica con AAV propiedad de Vivet que se están evaluando actualmente en estudios preclínicos para la colestasis intrahepática familiar progresiva (CIPF), subtipos 3 y 2. Se cree que la corrección exitosa mediante terapia génica de las funciones defectuosas del transportador MDR3 y de la bomba de exportación de sales biliares (BSEP) para la CIPF3 y la CIPF2, respectivamente, puede proporcionar en última instancia una cura para los pacientes que viven con estas enfermedades hepáticas raras. Este enfoque tiene el potencial de superar las principales limitaciones del tratamiento estándar actual para CIPF3 y CIPF2. Tiene el potencial de proporcionar beneficios duraderos mediante el restablecimiento de la secreción biliar fisiológica, así como de prevenir las complicaciones hepáticas graves de las enfermedades y de compensar los importantes costes que esto conlleva.

Vivet ha recibido la designación de medicamento huérfano para VTX-803 por parte de la Administración de Alimentos y Medicamentos de Estados Unidos (FDA) y la Agencia Europea del Medicamento (EMA). Además, los estudios preclínicos de prueba de concepto que destacan VTX-803 se publicaron en Nature Communications en 2019. Los datos demostraron una reversión sostenida y significativa de los biomarcadores de la enfermedad CIPF3 en un modelo de CIPF3.

Acerca de Mirum Pharmaceuticals, Inc.

Mirum Pharmaceuticals, Inc. es una empresa biofarmacéutica en fase clínica centrada en el desarrollo y la comercialización de una cartera de productos en fase avanzada de nuevas terapias para enfermedades hepáticas debilitantes. El principal producto candidato de Mirum, el maralixibat, es un fármaco oral en investigación que se está desarrollando para el síndrome de Alagille (ALGS), la colestasis intrahepática familiar progresiva (CIPF) y la atresia biliar. Mirum ha presentado una NDA para maralixibat en el tratamiento del prurito colestásico en pacientes con ALGS. La FDA ha aceptado la NDA para su revisión prioritaria con una fecha de acción de la PDUFA del 29 de septiembre de 2021. Además, la solicitud de autorización de comercialización de Mirum para el tratamiento de pacientes pediátricos con CIPF2 ha sido aceptada para su revisión (validada) por la Agencia Europea del Medicamento. Mirum también está desarrollando volixibat, también un inhibidor oral de la ASBT, para la colangitis esclerosante primaria, la colestasis intrahepática del embarazo y la colangitis biliar primaria. Para más información, visite MirumPharma.com.

Para aumentar su cartera de productos para las enfermedades hepáticas colestásicas, Mirum ha adquirido la opción exclusiva para desarrollar y comercializar VTX-803 y VTX-802 para CIPF3 y CIPF2, respectivamente, de Vivet Therapeutics, tras la evaluación preclínica y los estudios de habilitación IND/CTA.

Siga a Mirum en Twitter, Facebook, LinkedIn e Instagram.

Acerca de Vivet Therapeutics

Vivet Therapeutics es una empresa de biotecnología emergente en fase clínica que desarrolla novedosos tratamientos de terapia génica para enfermedades metabólicas raras y hereditarias.

Vivet está construyendo una línea de terapia génica diversificada basada en nuevas tecnologías de virus adeno-asociados recombinantes (rAAV) desarrolladas a través de sus asociaciones y licencias exclusivas de la Fundación para la Investigación Médica Aplicada (FIMA), una fundación sin ánimo de lucro del Centro de Investigación Médica Aplicada (CIMA) de la Universidad de Navarra con sede en Pamplona, España.

El programa principal de Vivet, VTX-801, actualmente en desarrollo clínico IND con el ensayo clínico GATEWAY, es una novedosa terapia génica en investigación para la enfermedad de Wilson a la que la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) y la Comisión Europea (CE) han concedido la designación de medicamento huérfano (ODD). Este raro trastorno genético está causado por mutaciones en el gen que codifica la proteína ATP7B, que reduce la capacidad del hígado y otros tejidos para regular los niveles de cobre, causando graves daños hepáticos, síntomas neurológicos y potencialmente la muerte.

El segundo producto de terapia génica de Vivet, VTX-803 para CIPF3, recibió la designación de medicamento huérfano en Estados Unidos y Europa en mayo de 2020.

Vivet cuenta con el apoyo de inversores internacionales en ciencias de la vida, como Novartis Venture Fund, Roche Venture Fund, HealthCap, Pfizer Inc, Columbus Venture Partners, Ysios Capital, Kurma

Please visit us on www.vivet-therapeutics.com and follow us on [Twitter](#) at @Vivet_tx and [LinkedIn](#)

Acerca de CIPF (PFIC en Inglés)

La colestasis intrahepática familiar progresiva (CIPF) es un raro trastorno genético que provoca una enfermedad hepática progresiva que suele desembocar en una insuficiencia hepática. En las personas con CIPF, las células del hígado son menos capaces de secretar bilis. La consiguiente acumulación de bilis provoca una enfermedad hepática en los individuos afectados. Los signos y síntomas de la CIPF suelen comenzar en la infancia. Los pacientes experimentan picores intensos, ictericia, no crecen al ritmo esperado (retraso del crecimiento) y una incapacidad creciente del hígado para funcionar (insuficiencia hepática). Se calcula que la enfermedad afecta a uno de cada 50.000 a 100.000 nacimientos en Estados Unidos y Europa. Se han identificado genéticamente seis tipos de CIPF, todos ellos caracterizados de forma similar por una alteración del flujo biliar y una enfermedad hepática progresiva. La población de pacientes con CIPF2 representa aproximadamente el 60% de la población de pacientes con CIPF. La CIPF2 está causada por una mutación en el gen ABCB11, que normalmente codifica una proteína bomba de exportación de sales biliares que mueve los ácidos biliares fuera del hígado.

Forward-Looking Statements

Statements contained in this press release regarding matters that are not historical facts are “forward-looking statements” within the meaning of the Private Securities Litigation Reform Act of 1995. Such forward-looking statements include statements regarding, among other things, the option and license agreement between Mirum and Vivet and the potential development of VTX-802 and VTX-803. Because such statements are subject to risks and uncertainties, actual results may differ materially from those expressed or implied by such forward-looking statements. Words such as “plans,” “will,” “may,” “anticipates,” “expects,” “potential” and similar expressions are intended to identify forward-looking statements. These forward-looking statements are based upon Mirum’s current expectations and involve assumptions that may never materialize or may prove to be incorrect. Actual results could differ materially from those anticipated in such forward-looking statements as a result of various risks and uncertainties, which include, without limitation, risks and uncertainties associated with Mirum’s business in general, the impact of the COVID-19 pandemic, and the other risks described in Mirum’s filings with the Securities and Exchange Commission. All forward-looking statements contained in this press release speak only as of the date on which they were made and are based on management’s assumptions and estimates as of such date. Mirum undertakes no obligation to update such statements to reflect events that occur or circumstances that exist after the date on which they were made, except as required by law.

Mirum Contacts:

Media:

Erin Murphy

media@mirumpharma.com

Investors:

Ian Clements, Ph.D.

ir@mirumpharma.com

Vivet Therapeutics Contacts:

Media Relations:

Thomas Daniel

info@vivet-therapeutics.com