



COMMUNIQUÉ DE PRESSE

5 janvier 2026

Arrowhead Pharmaceuticals annonce l'approbation de REDEMPLO^{MC} (plozasiran) par Santé Canada pour réduire les triglycérides chez les adultes atteints du syndrome de chylomicronémie familiale (SCF)

- REDEMPLO est le premier et le seul médicament à base de pARNi approuvé par Santé Canada ayant été étudié chez des patients présentant un SCF confirmé génétiquement et diagnostiqué cliniquement
- Les personnes vivant avec le SCF présentent des taux de triglycérides extrêmement élevés ainsi qu'un risque nettement plus élevé de pancréatite aiguë et de complications à long terme associées, ce qui entraîne souvent une diminution de leur qualité de vie
- L'approbation de Santé Canada repose sur les résultats positifs de l'étude de phase 3 PALISADE, dans laquelle REDEMPLO a permis une réduction significative des triglycérides par rapport aux valeurs initiales et une baisse de l'incidence numérique des pancréatites aiguës comparativement au placebo

PASADENA, Californie – 5 janv. 2026 – Arrowhead Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ : ARWR) a annoncé aujourd'hui que Santé Canada a émis un avis de conformité (AC) autorisant REDEMPLO^{MC} (plozasiran), un médicament à base de petit acide ribonucléique interférent (pARNi), en complément d'une alimentation appropriée, pour la réduction des triglycérides chez les adultes atteints du syndrome de chylomicronémie familiale (SCF) chez qui les traitements classiques de réduction des triglycérides sont inefficaces. Le SCF est une maladie rare et grave caractérisée par des taux de triglycérides pouvant être de 10 à 100 fois plus élevés que la normale, ce qui augmente considérablement le risque de développer une pancréatite aiguë, récurrente et potentiellement mortelle. Le SCF est encore largement sous-diagnostiqué et on estime qu'il touche entre 1 et 13 personnes par million dans le monde, bien qu'il soit environ 100 fois plus fréquent dans certaines régions du Canada français. REDEMPLO est le premier et le seul médicament à base de pARNi approuvé par Santé Canada pour les personnes atteintes de SCF, pouvant être auto-administré à domicile par injection sous-cutanée tous les trois mois. L'autorisation

d'aujourd'hui fait suite aux récentes approbations en Chine et aux États-Unis, dans le cadre des efforts continus d'Arrowhead pour améliorer l'accès mondial aux soins pour les personnes vivant avec le SCF.

« Nous sommes ravis de commencer la nouvelle année avec l'approbation de REDEMPLO par Santé Canada, offrant ainsi une nouvelle option thérapeutique aux Canadiens atteints de FCS d'origine génétique ou clinique », a déclaré Christopher Anzalone, Ph. D., président et chef de la direction d'Arrowhead Pharmaceuticals. « Arrowhead continue de stimuler l'innovation en matière d'ARNi grâce à notre plateforme TRiM^{MC}, désormais capable de délivrer des siRNA à de multiples types de cellules dans tout l'organisme et de potentiellement traiter un nombre croissant de maladies. Alors que nous développons nos capacités commerciales, nous avons pour objectif d'offrir ces nouveaux traitements aux patients qui en ont besoin. »

Grâce à la plateforme exclusive de molécules ciblées d'ARNi (TRiM^{MC}) d'Arrowhead, REDEMPLO^{MC} est conçu pour réduire l'expression de l'ARNm de l'APOC3, une cible importante pour diminuer les triglycérides chez les patients atteints de SCF. L'approbation de Santé Canada s'appuie sur les données cliniques de l'étude de phase 3 PALISADE, un essai randomisé, à double insu et contrôlé par placebo, mené chez des adultes atteints de SCF diagnostiqué cliniquement ou confirmé génétiquement. L'étude clinique a été réalisée dans 39 centres à l'échelle mondiale, dont 5 au Canada. L'étude PALISADE a atteint son critère d'évaluation principal ainsi que tous les critères secondaires principaux contrôlés pour multiplicité, notamment une réduction significative des triglycérides et de l'APOC3. Dans l'étude PALISADE, une dose de 25 mg de REDEMPLO a permis une réduction importante et durable des triglycérides tout au long de la période de traitement de 12 mois, avec une variation médiane de -80 % par rapport à la valeur initiale, contre -17 % dans le groupe placebo combiné, ainsi qu'une incidence numérique plus faible de pancréatites aiguës comparativement au placebo. Les effets indésirables les plus courants chez les patients traités par REDEMPLO (incidence ≥ 15 % des patients traités par REDEMPLO) sont l'hyperglycémie, les nausées et les réactions au site d'injection.

REDEMPLO est le premier et le seul traitement approuvé par Santé Canada qui a été étudié à la fois chez des patients atteints de SCF diagnostiqué cliniquement et chez ceux dont le diagnostic a été confirmé génétiquement. Il offre aux patients, aux professionnels de la santé et aux proches aidants une option posologique pratique pouvant être auto-administrée à domicile par injection sous-cutanée une fois tous les trois mois.

Durhane Wong-Rieger, présidente-directrice générale de l'Organisation canadienne pour les maladies rares, a déclaré : « Depuis plus de vingt ans, nous espérons, avec la communauté SCF, que la prochaine

thérapie permettra vraiment de mettre fin à la douleur atroce et à l'imprévisibilité de cette affection particulièrement difficile à vivre. Grâce à l'engagement sans faille des chercheurs et des scientifiques, nous croyons que ce moment est enfin venu. En écoutant les témoignages des patients et de leurs proches, nous partageons leur optimisme face à la possibilité de reprendre le contrôle non seulement de leur santé, mais aussi de leur vie. Nous remercions sincèrement Arrowhead d'avoir rendu cette thérapie transformatrice accessible aux familles canadiennes touchées par le SCF. »

« L'approbation de REDEMPLO par Santé Canada marque un moment important pour les personnes et les familles touchées par le SCF, qui disposent depuis longtemps de peu d'options thérapeutiques pour gérer cette affection souvent invalidante », a déclaré le Dr Daniel Gaudet, M.D., Ph. D., investigateur principal de l'étude clinique PALISADE qui a appuyé l'approbation d'aujourd'hui. « L'innocuité et l'efficacité de REDEMPLO, combinées à son schéma posologique pratique d'une dose auto-administrée à domicile tous les trois mois, en font une option thérapeutique révolutionnaire pour les personnes atteintes de SCF, pour lesquelles les traitements classiques visant à réduire les triglycérides sont généralement inefficaces. La disponibilité d'une nouvelle thérapie pour traiter le SCF représente une avancée significative susceptible d'améliorer les résultats cliniques et la qualité de vie des patients partout au Canada. »

Les résultats d'efficacité et d'innocuité de l'étude PALISADE ont été présentés lors du congrès 2024 de la Société européenne de cardiologie (SEC) et des sessions scientifiques 2024 de l'American Heart Association (AHA24), et publiés simultanément dans [The New England Journal of Medicine](#) et [Circulation](#), respectivement. Les présentations sur le plogasiran faites à la SEC, à l'AHA24 et ailleurs peuvent être consultées sur la page [Événements et présentations](#) de la section Investisseurs du site Web d'Arrowhead.

Conformément à son engagement à améliorer les résultats pour les patients, à garantir l'accès aux traitements et à offrir une valeur ajoutée au système de santé, Arrowhead s'efforce de mettre au point des solutions de soutien aux patients de premier ordre pour la communauté SCF.

REDEMPLO a obtenu la désignation de traitement innovant, la procédure accélérée et la désignation de médicament orphelin de la FDA pour le traitement des patients atteints de SCF. Le traitement a également reçu la désignation de médicament orphelin de l'Agence européenne des médicaments.

À propos du SCF

Le syndrome de chylomicronémie familiale (SCF) est une maladie grave et rare caractérisée par un taux de triglycérides (TG) extrêmement élevé, généralement supérieur à 880 mg/dL (9.94 mmol/L). Une telle

élévation peut entraîner divers symptômes et complications graves, y compris une pancréatite aiguë potentiellement mortelle, des douleurs abdominales chroniques, du diabète, une stéatose hépatique et des troubles cognitifs. À l'heure actuelle, les options thérapeutiques disponibles pour traiter adéquatement le SCF sont limitées.

À propos de l'étude de phase 3 PALISADE

L'étude PALISADE (NCT05089084) était une étude contrôlée par placebo de phase 3 visant à évaluer l'efficacité et l'innocuité du plozasiran chez des adultes atteints de SCF, confirmée génétiquement ou cliniquement. Le principal critère d'évaluation était la variation en pourcentage du taux de triglycérides à jeun par rapport à la valeur initiale au mois 10. Un total de 75 participants répartis dans 39 centres d'étude situés dans 18 pays ont été randomisés pour recevoir 25 mg de plozasiran, 50 mg de plozasiran ou un placebo, tous les trois mois. Les participants ayant terminé la période randomisée pouvaient continuer dans une période de prolongation en deux parties, dans laquelle tous les participants recevaient du plozasiran.

À propos de REDEMPLO^{MC} (plozasiran)

REDEMPLO (plozasiran) est approuvé par Santé Canada et la Food and Drug Administration des États-Unis (FDA) en complément d'un régime alimentaire visant à réduire les triglycérides chez les adultes atteints de syndrome de chylomicronémie familiale (SCF). REDEMPLO est un agent thérapeutique à base d'ARN interférent (ARNi) conçu pour inhiber la production d'apoC-III, une protéine produite principalement dans le foie et qui augmente les taux de triglycérides en ralentissant leur dégradation et leur élimination. En ciblant l'apoC-III avec une mise en pause prolongée, REDEMPLO entraîne une réduction significative des taux de triglycérides. REDEMPLO est le seul traitement approuvé par la FDA à base de pARNi, étudié chez des patients atteints du SCF à la fois confirmé génétiquement et diagnostiqué cliniquement.

À propos du Plozasiran

Plozasiran est un traitement expérimental novateur à base d'ARN interférent (ARNi), conçu pour réduire la production d'apolipoprotéine C-III (apoC-III), un composant des lipoprotéines riches en triglycérides (LRT) et un régulateur clé du métabolisme des triglycérides. L'apoC-III augmente les taux de triglycérides dans le sang en inhibant la dégradation des LRT par la lipoprotéine lipase et en empêchant l'absorption des résidus de LRT par les récepteurs hépatiques dans le foie. L'objectif du plozasiran est de réduire les niveaux d'apoC-III, diminuant ainsi les triglycérides et rétablissant les lipides à des niveaux plus normaux.

En plus de l'approbation du REDEMPLO au Canada et aux États-Unis comme traitement d'appoint à un régime alimentaire pour réduire les triglycérides chez les adultes atteints du syndrome de chylomicronémie familiale, le plozasiran a été soumis à d'autres autorités réglementaires dans le monde pour examen et autorisation de mise en marché. Le plozasiran est également à l'étude dans les essais cliniques de phase 3 SHASTA-3, SHASTA-4 et SHASTA-5 chez des patients souffrant d'hypertriglycéridémie sévère, ainsi que dans l'étude MUIR de phase 3 chez des patients atteints d'hyperlipidémie mixte.

À propos d'Arrowhead Pharmaceuticals

Arrowhead Pharmaceuticals développe des médicaments qui traitent des maladies incurables en réduisant au silence les gènes responsables. Grâce à un vaste portefeuille de produits chimiques à base d'ARN et de modes de diffusion efficaces, les thérapies d'Arrowhead déclenchent le mécanisme de l'interférence ARN pour obtenir une suppression rapide, profonde et durable des gènes ciblés. L'interférence ARN, ou ARNi, est un mécanisme présent dans les cellules vivantes qui inhibe l'expression d'un gène précis, réduisant ainsi la production d'une protéine spécifique. Les traitements d'Arrowhead à base d'ARNi s'appuient sur cette voie naturelle de silence génique.

Pour en savoir plus, veuillez visiter le site www.arrowheadpharma.com ou nous suivre sur X (anciennement Twitter) à [@ArrowheadPharma](https://twitter.com/ArrowheadPharma), sur [LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/arrowhead-pharmaceuticals), [Facebook](https://www.facebook.com/arrowheadpharma) et [Instagram](https://www.instagram.com/arrowheadpharma). Pour recevoir les nouvelles directement dans votre boîte de réception, abonnez-vous à notre liste de diffusion ici : <http://ir.arrowheadpharma.com/email-alerts>.

Déclaration de limitation de responsabilité en vertu du *Private Securities Litigation Reform Act* :

Ce communiqué contient des déclarations prospectives au sens des dispositions « safe harbor » du Private Securities Litigation Reform Act de 1995. Toute déclaration contenue dans ce communiqué, à l'exception des informations historiques, peut être considérée comme prospective. Sans limiter la portée de ce qui précède, des mots comme « peut », « pourra », « s'attendre », « croire », « anticiper », « espérer », « prévoir », « planifier », « projeter », « estimer », « continuer », « viser », « escompter » ou « continuer », ou leur forme négative, ainsi que d'autres formulations similaires, visent à identifier les énoncés prospectifs. De plus, tout énoncé faisant référence à des prévisions relatives à notre performance financière future, aux tendances de nos activités, à nos attentes quant à notre portefeuille de produits, nos produits ou nos produits candidats, ou à toute autre caractérisation d'événements ou de circonstances futurs constitue un énoncé prospectif. Ces énoncés prospectifs comprennent notamment, sans toutefois s'y limiter, des déclarations concernant nos convictions et attentes sur les effets à long terme de REDEMPLO (plozasiran) sur la santé des patients et le système de santé; nos convictions et attentes concernant les prix, la valeur ou le moment de disponibilité de nos médicaments et de nos produits candidats; ainsi

que nos convictions et attentes concernant les usages potentiels et la valeur de la plateforme TRiM^{MC}. Ces énoncés sont fondés sur nos attentes actuelles et ne sont valables qu'à la date de leur publication. Les résultats réels peuvent différer sensiblement et défavorablement de ceux exprimés dans les énoncés prospectifs en raison de nombreux facteurs et incertitudes, notamment, mais sans s'y limiter, l'innocuité et l'efficacité de nos produits et de nos produits candidats, les décisions liées à la tarification et au remboursement, la demande pour nos produits, les décisions des autorités réglementaires et leur calendrier, la durée et l'impact des retards réglementaires, notre capacité à financer nos activités, la probabilité et le calendrier de l'obtention de jalons futurs et de redevances, le succès de nos études scientifiques, le calendrier des essais cliniques, l'évolution rapide de nos marchés, l'application de nos droits de propriété intellectuelle, ainsi que d'autres risques et incertitudes décrits dans notre plus récent rapport annuel (Formulaire 10-K), nos rapports trimestriels (Formulaire 10-Q) ou d'autres documents déposés auprès de la Securities and Exchange Commission. Nous n'assumons aucune obligation de mettre à jour ou de réviser les énoncés prospectifs à la lumière de nouveaux événements ou de circonstances nouvelles.

Arrowhead Pharmaceuticals, Inc.

Vince Anzalone, CFA

626 304-3400

ir@arrowheadpharma.com

Investisseurs :

LifeSci Advisors, LLC

Brian Ritchie

212 915-2578

britchie@lifesciadvisors.com

Relations médias :

HAVAS PR

Erick Edwing

941 468-7534

Erick.edwing@havasred.com

###