

ExonHit annonce la publication des résultats de Phase IIa d'EHT 0202 dans *Current Alzheimer Research*

- Ces résultats démontrent une bonne sécurité d'emploi et une bonne tolérance du composé chez le patient
- Plusieurs initiatives sont en cours afin de poursuivre le développement d'EHT 0202 en phase IIb, soit en partenariat, soit grâce à un financement extérieur

Paris, France – Le 4 avril 2011 – ExonHit Therapeutics (Alternext : ALEHT) annonce aujourd'hui la publication des résultats de Phase IIa d'EHT 0202, son candidat médicament phare dans la maladie d'Alzheimer, dans le journal *Current Alzheimer Research*. Les résultats de l'étude montrent qu'EHT 0202 présente une bonne sécurité d'emploi, et est généralement bien toléré chez les patients. Ces données positives plaident en faveur du passage en Phase IIb d'EHT 0202 afin d'évaluer son efficacité clinique et de confirmer sa bonne tolérance dans un plus grand nombre de patients Alzheimer et pendant une durée de traitement plus longue (1).

« La publication des premiers résultats prometteurs pour le malade dans un journal reconnu par les experts scientifiques de la maladie d'Alzheimer démontre l'intérêt de la communauté scientifique pour notre candidat médicament EHT 0202. Cet intérêt nous encourage à poursuivre nos efforts pour faire progresser EHT 0202 en Phase IIb, soit en partenariat, soit grâce à un financement extérieur », a déclaré Matthew Pando, Ph.D, Vice-président exécutif, Thérapeutique d'ExonHit Therapeutics. « Nous avons également identifié plusieurs biomarqueurs potentiels, parmi lesquels des signatures spécifiques associées à la réponse à ce traitement, et ce grâce à notre plateforme Genome-Wide SpliceArray™. L'utilisation de ces biomarqueurs pourrait potentiellement augmenter les chances de succès des futurs essais cliniques avec EHT 0202 ».

A propos de l'étude

L'étude a été réalisée dans 23 centres en France et sous la direction du Professeur Bruno Vellas, Responsable du Centre Mémoire de Ressources et de Recherche et du Gérontopôle, au Centre Hospitalier Universitaire de Toulouse (INSERM U 558). Un échantillon de 197 patients ambulatoires âgés de 60 à 90 ans et souffrant de la maladie d'Alzheimer à des stades allant de léger à modéré a été sélectionné et 159 d'entre eux ont été randomisés pour recevoir le traitement de l'étude, par voie orale, pendant une période de trois mois.

Cette étude randomisée en double-aveugle, et contrôlée par un placebo, avait pour objectif principal l'évaluation de la sécurité d'emploi et de la tolérance d'EHT 0202, mais aussi la détermination de l'efficacité exploratoire du traitement chez les patients souffrant de la maladie d'Alzheimer. L'effet de deux doses différentes d'EHT 0202 (40 ou 80 mg, deux fois par jour) en traitement additionnel à un inhibiteur de l'acétylcholinestérase était évalué en comparaison avec un placebo.

A propos d'EHT 0202

EHT 0202 est le candidat médicament phare d'ExonHit dans la maladie d'Alzheimer, et potentiellement le premier représentant d'une nouvelle classe thérapeutique de traitement modifiant le cours de la maladie en stimulant la voie de l' α -sécrétase, et favorisant ainsi le métabolisme de la protéine APP (Amyloid Precursor Protein) en sAPP α , fragment soluble de l'APP aux propriétés procognitives et neuroprotectrices. La stimulation de la voie α -sécrétase pouvant potentiellement contribuer à détourner la production du peptide amyloïde A β , EHT 0202 pourrait de ce fait réduire la formation des plaques A β toxiques (2).

Les études de Phase I ont démontré la bonne tolérance d'EHT 0202 chez des volontaires sains jeunes et également âgés.

Les études précliniques ont montré qu'EHT 0202 protège les neurones corticaux contre le stress induit par l'A β 42 et que cette neuroprotection est associée à l'induction du sAPP α . EHT 0202 a également révélé des propriétés procognitives sur plusieurs modèles animaux : des troubles de la mémoire liées à l'âge et l'amnésie induite par la scopolamine (3).

A propos de la maladie d'Alzheimer

La maladie d'Alzheimer est une pathologie neurodégénérative d'évolution progressive qui est la cause la plus fréquente de démence dans la population âgée. C'est une maladie d'origine multifactorielle qui met en jeu des facteurs environnementaux et génétiques. On estime que 26,6 millions de personnes dans le monde étaient atteintes de la maladie d'Alzheimer en 2006. Ce chiffre devrait quadrupler d'ici à 2050 pour atteindre plus de 100 millions de personnes : 1 individu sur 85 à l'échelle planétaire vivra avec la maladie (4). En France, 800 000 personnes, soit 18 % de la population âgée de plus de 75 ans sont atteintes de la maladie d'Alzheimer (5).

A propos d'ExonHit Therapeutics

ExonHit Therapeutics (Alternext : ALETH) est une société biopharmaceutique active à la fois dans le thérapeutique et le diagnostic. ExonHit s'appuie sur une plateforme technologique propriétaire d'analyse de l'épissage alternatif de l'ARN pour développer des diagnostics sanguins innovants et des thérapies ciblant la maladie d'Alzheimer et les cancers. La Société a une stratégie d'investissement équilibrée, avec des programmes de recherche internes et des collaborations stratégiques, notamment avec Allergan et bioMérieux.

ExonHit Therapeutics est basée à Paris et a une filiale américaine à Gaithersburg dans le Maryland. La Société est cotée sur le marché Alternext de NYSE Euronext Paris et fait partie de l'indice NYSE Alternext OSEO Innovation. Pour toute information complémentaire, visitez le site : <http://www.exonhit.com>.

Avertissement

Ce communiqué comporte des éléments non factuels, notamment et de façon non exclusive, certaines affirmations concernant des résultats à venir et d'autres événements futurs. Ces affirmations sont fondées sur la vision actuelle et les hypothèses de la Direction de la Société. Elles incorporent des risques et des incertitudes connues et inconnues qui pourraient se traduire par des différences significatives au titre des résultats, de la rentabilité et des événements prévus.

En outre, ExonHit Therapeutics, ses actionnaires et ses affiliés, administrateurs, dirigeants, conseils et salariés respectifs n'ont pas vérifié l'exactitude des, et ne font aucune déclaration ou garantie sur, les informations statistiques ou les informations prévisionnelles contenues dans le présent communiqué qui proviennent ou sont dérivées de sources tierces ou de publications de l'industrie ; ces données statistiques et informations prévisionnelles ne sont utilisées dans ce communiqué qu'à des fins d'information.

Enfin, le présent communiqué peut être rédigé en langue français et en langue anglaise. En cas de différences entre les deux textes, la version française prévaudra.

Références

- (1) Vellas B, Sol O, Snyder P, Ousset PJ, Haddad R, Maurin M, Lemarié JC, Désiré L, Pando M. EHT 0202 in Alzheimer's disease: a 3-month, randomized, placebo-controlled double-blind study. *Current Alzheimer Research*, 2011, 8 (2), 203-212
- (2) Marcade M, Bourdin J, Loiseau N, Peillon H, Rayer A, Drouin D, Schweighoffer F, Desire L. Etazolate, a neuroprotective drug linking GABAA receptor pharmacology to amyloid precursor protein processing. *Journal of Neurochemistry*. 2008; 106: 392-404
- (3) Pando M, Marcade M, Peillon H, Rayer A, Drouin D, Desire L. An alpha-secretase stimulator drug for cognitive disorders associated with neurodegeneration. Presented at the 12th congress of the European Federation of Neurological Societies; 23-26 August, 2008; Madrid, Spain
- (4) Brookmeyer R, Johnson E, Ziegler-Graham K, MH Arrighi (July 2007). "Forecasting the global burden of Alzheimer's disease". *Alzheimer's and Dementia* 3 (3): 186–91
- (5) Plan Maladie d'Alzheimer 2004-2007- Ministère des solidarités, de la santé et de la famille

Contact Médias & Investisseurs

Corinne Hoff
+33 1 58 05 47 04
corinne.hoff@exonhit.com