

Onxeo présente platON™, une plateforme de chimie d'oligonucléotides basés sur le mécanisme de « leurre »

- ***PlatON™, plateforme brevetée, devrait générer de nouveaux candidats « best-in-class » dès 2018***
- ***En parallèle, la Société poursuit son programme de développement ambitieux pour AsiDNA™ et belinostat, avec de récentes données convaincantes en association et des premières données cliniques attendues dès 2018***
- ***Le niveau de trésorerie permet de financer le plan de développement clinique prévu, avec une visibilité financière jusqu'à début 2020.***

Paris (France), le 2 octobre 2017 – 07h00 CET– Onxeo S.A. (Euronext Paris, NASDAQ Copenhague : ONXEO), (« Onxeo » ou la « Société »), société française de biotechnologie spécialisée dans le développement de médicaments innovants pour le traitement des maladies orphelines, en particulier en oncologie, présente aujourd'hui platON™, sa plateforme de chimie brevetée d'oligonucléotides « leurres ».

PlatON™ est une plateforme brevetée de chimie d'oligonucléotides leurres, basée sur trois composants : une séquence d'oligonucléotides doubles brins, une molécule liante et une molécule favorisant la pénétration intracellulaire. Cette plateforme et ses applications potentielles sont entièrement protégées par une famille de brevets, notamment le brevet n° 9 687 557 obtenu en juin 2017 aux Etats-Unis.

Chacun de ces trois composants est modifiable pour générer divers composés exprimant différentes propriétés et / ou activités, avec la caractéristique commune de cibler des voies de réparation de l'ADN tumoral à travers un mécanisme de leurre.

AsiDNA™, l'inhibiteur de réparation d'ADN tumoral first-in-class d'Onxeo, est le premier candidat médicament issu de la plateforme platON™. Il a déjà fait l'objet d'une première étude clinique de phase I probante par voie intratumorale et a démontré un profil d'efficacité très prometteur in vivo par voie systémique.

La Société a l'intention de capitaliser sur cette plateforme pour enrichir son portefeuille avec des candidats médicaments innovants ciblant l'ADN et devrait initier l'évaluation préclinique d'une nouvelle molécule dès le premier semestre 2018.

*« Nous sommes enthousiasmés par le potentiel de platON™, une plateforme unique d'oligonucléotides leurres, » commente **Françoise Bono, Directrice scientifique d'Onxeo.** « En parallèle du développement clinique de nos deux candidats phares, AsiDNA™ et belinostat oral, platON™ va nous permettre de générer de nouvelles molécules au profil unique qui alimenteront notre portefeuille dans le domaine très convoité du ciblage de l'ADN. Grâce à notre expertise en recherche translationnelle, notamment dans le domaine des oligonucléotides, nous allons pouvoir mener le développement de ces nouveaux composés de manière optimale pour démontrer leur intérêt potentiel dans le traitement du cancer. »*

La stratégie de la Société consiste à mener le développement de ses candidats médicaments au stade clinique de la preuve de concept d'efficacité chez l'homme (phase I/ phase II), les points d'inflexion les plus pertinents en termes de création de valeur pour Onxeo, avant de les licencier.

Le portefeuille d'Onxeo comprend notamment deux produits phares, AsiDNA™ et belinostat, un puissant inhibiteur d'histone-déacétylases (HDACi). Leurs mécanismes d'action respectifs, le ciblage de l'ADN et



l'épigénétique, comptent parmi les plus attractifs pour les grands laboratoires pharmaceutiques, comme le montrent les montants significatifs des transactions réalisées ces trois dernières années dans ces domaines¹.

« Nos deux programmes en développement sont axés sur le ciblage de l'ADN et l'épigénétique, deux approches comptant parmi les plus prometteuses dans le domaine de la recherche en oncologie, tant pour les laboratoires pharmaceutiques que pour les institutions académiques, » **conclut Judith Greciet, Directeur Général d'Onxeo.** « Ces programmes stratégiques devraient permettre à Onxeo de créer une valeur significative pour nos actionnaires à court comme à plus long terme. Au cours des prochains trimestres, nous allons nous concentrer sur nos programmes cliniques afin de générer des données robustes, notamment avec des preuves de concept chez l'homme d'AsiDNA™ et de belinostat, en monothérapie ou en association avec d'autres agents anticancéreux, afin de créer différentes opportunités de partenariats. Nous disposons d'une solide visibilité financière jusqu'au début de 2020, nous permettant de couvrir les opérations cliniques bien au-delà des premières étapes cliniques prévues. »

Prochains événements

2 octobre 2017	Réunion SFAF Actualisation stratégie de portefeuille	Paris, France
4-5 octobre 2017	Large & MidCap Forum	Paris, France
19 octobre 2017	Portzamparc Biotech Symposium	Paris, France
26 octobre 2017	Résultats T3 et point sur les activités	
13 décembre 2017	5 ^{ème} Conférence annuelle Boston Healthcare Guggenheim Securities	New York, USA
19 décembre 2017	BioMed Invest Event	Paris, France
8-11 janvier 2018	JP Morgan	San Francisco, USA
11-12 janvier 2018	21 ^{ème} Forum ODDO BHF	Lyon, France

À propos d'Onxeo

Onxeo est une société de biotechnologie spécialisée dans le développement de médicaments innovants en oncologie, en particulier contre les cancers orphelins, répondant à une forte demande thérapeutique dans l'un des segments à plus forte croissance de l'industrie pharmaceutique.

Onxeo a pour ambition de devenir un acteur majeur dans le domaine des cancers orphelins ou résistants. La stratégie d'Onxeo consiste à développer des thérapies de pointe efficaces et sûres, destinées à améliorer la vie des patients en apportant une vraie différence par rapport aux thérapies actuelles. Cette stratégie est déployée par des acquisitions ou des prises de licences de produits *first-in-class*, à un stade précoce pour les amener, à travers la recherche translationnelle et le développement clinique de preuve de concept, jusqu'à des points d'inflexion créateurs de valeur.

Le portefeuille d'Onxeo dans les cancers orphelins comprend des produits majeurs dans plusieurs programmes précliniques et cliniques en cours, seuls ou en combinaison pour de multiples indications de cancer.

- **AsiDNA™** : premier produit d'une nouvelle classe de médicaments issu de la technologie siDNA (signal interfering DNA), dont une première étude de Phase I dans le mélanome métastatique a permis d'établir la preuve de concept par voie intratumorale. Les récents résultats positifs de preuve de concept préclinique in-vivo ont démontré l'activité d'AsiDNA™ par voie systémique dans un modèle murin de cancer du sein triple négatif (CSTN). Onxeo a prévu de soumettre aux autorités réglementaires une demande d'étude clinique de phase I pour AsiDNA™ en monothérapie par administration systémique avant fin 2017.
- **belinostat** : un inhibiteur d'HDAC, approuvé conditionnellement aux Etats-Unis en 2014 par la Food and Drug Administration (FDA) dans le cadre d'une procédure accélérée d'autorisation de mise sur le marché, en 2^{ème} ligne de traitement pour les patients atteints de lymphome à cellules T périphérique (PTCL) et commercialisé par Spectrum Pharmaceuticals sous le nom commercial Beleodaq® ; l'association de belinostat avec d'autres agents anticancéreux est actuellement évaluée en traitement de 1^{ère} intention pour les patients atteints de PTCL (étude BelCHOP) et pour d'autres tumeurs liquides ou solides. La formulation orale de belinostat devrait entrer en essai clinique de phase 1 début 2019. Cette formulation étend sa protection brevetaire et vise à faciliter son utilisation en association avec d'autres agents anticancéreux.

¹ Analyse réalisée par Onxeo à partir de la base de données Clarivate Cortellis (prenant en compte uniquement les accords de licence conclus entre janvier 2014 et mai 2017 pour lesquels des informations financières sont disponibles dans le domaine public, en excluant les opérations de fusions-acquisitions : <https://www.cortellis.com/intelligence/>)



- **Livatag®** : une formulation nanoparticulaire de l'agent de chimiothérapie doxorubicine conçue pour faciliter la pénétration du médicament dans les cellules tumorales et augmenter ainsi leur exposition au médicament en court-circuitant les mécanismes de multi-résistances développés par ces cellules. L'étude de phase III dans le carcinome hépatocellulaire, ReLive, a démontré un effet similaire de Livatag®, utilisé seul, à celui obtenu dans le bras comparateur qui autorisait l'utilisation d'agents anti-cancéreux actifs, seuls ou en association. Les données sont en cours d'étude pour déterminer la stratégie optimale pour cet actif.

La Société est basée à Paris, France, avec des bureaux à Copenhague et à New York, et compte environ 60 employés. Onxeo est cotée sur Euronext Paris, France et Nasdaq Copenhague, Danemark (mnémo : ONXEO - code ISIN : FR0010095596).

Pour plus d'information : www.onxeo.com

Déclarations prospectives

Le présent communiqué contient de manière implicite ou expresse certaines déclarations prospectives relatives à Onxeo et à son activité. Ces déclarations dépendent de certains risques connus ou non, d'incertitudes, ainsi que d'autres facteurs, qui pourraient conduire à ce que les résultats réels, les conditions financières, les performances ou réalisations de Onxeo diffèrent significativement des résultats, conditions financières, performances ou réalisations exprimés ou sous-entendus dans ces déclarations prospectives. Onxeo émet ce communiqué à la présente date et ne s'engage pas à mettre à jour les déclarations prospectives qui y sont contenues, que ce soit par suite de nouvelles informations, événements futurs ou autres. Pour une description des risques et incertitudes de nature à entraîner une différence entre les résultats réels, les conditions financières, les performances ou les réalisations de Onxeo et ceux contenus dans les déclarations prospectives, veuillez-vous référer à la section 5.5.1.4 « Facteurs de Risque » du document de référence 2016 déposé auprès de l'Autorité des marchés financiers le 24 avril 2017 sous le numéro D.17-0423, qui est disponible sur les sites Internet de l'AMF (www.amf-france.org) et de la Société (www.onxeo.com).

Onxeo

Valérie Leroy, Relations Investisseurs
investors@onxeo.com
+33 1 45 58 76 00

Relations Presse

Caroline Carmagnol / Alize RP
alize-onxeo@alizerp.com
+33 6 64 18 99 59

Relations Investisseurs / Communication stratégique

Dušan Orešanský / Emmanuel Huynh
NewCap
onxeo@newcap.eu
+33 1 44 71 94 92

Investor Relations US

Brian Ritchie
LifeSci Advisors
britchie@lifesciadvisors.com
+1 212 915 2578