



Paris, 12 Novembre 2013, 18h15

## Résultats définitifs de l'étude de phase 3 de la mastocytose attendus fin 2014.

**La mastocytose systémique indolente est une maladie orpheline sans traitement approuvé à ce jour.**

**Environ 20 000 patients adultes par an pourraient être traités au masitinib.**

**Le suivi à long terme des études de phase 2 montre la durabilité des réponses associées au masitinib.**

**AB Science SA** (NYSE Euronext – FR0010557264 – AB), société pharmaceutique spécialisée dans la recherche, le développement et la commercialisation d'inhibiteurs de protéines kinases (IPK), suite au communiqué du 11 novembre annonçant la réussite de l'analyse de futilité, précise des éléments importants concernant la disponibilité des données de phase 3, le nombre de patients traitables ainsi que la durabilité des réponses associées au masitinib.

Les résultats finaux de l'étude de phase 3 de la mastocytose sont attendus fin 2014. Cette étude de phase 3 a récemment été accélérée et étendue au-delà du périmètre de l'Europe et des USA, à la Russie, l'Inde et l'Amérique Latine.

La mastocytose systémique indolente est une maladie orpheline pour laquelle il n'existe à ce jour aucun traitement homologué. Le masitinib a reçu la désignation de médicament orphelin dans la mastocytose, par l'EMA et la FDA.

La mastocytose est une maladie orpheline caractérisée par une prolifération anormale des mastocytes, soit dans la moelle osseuse uniquement ou dans de nombreux tissus. Il existe deux formes principales de mastocytose : indolente et agressive. La mastocytose indolente peut être cutanée ou systémique. La Mastocytose Indolente Systémique affecte principalement les adultes et sa prévalence est estimée entre 1/40 000 et 1/20 000 de la population globale. Les symptômes et les handicaps sont sévères chez environ un tiers des patients, d'où une population cible estimée pour le masitinib allant de 1/120 000 à 1/60 000 de la population globale. La prévalence de la Mastocytose Indolente Systémique étant considérée comme uniforme dans le monde, la taille de population cible pour le masitinib pourrait atteindre un total de 20 000 patients adultes par an.

Le fait que l'étude de phase 3 ait passé avec succès l'analyse de futilité est en ligne avec les résultats des études de phase 2. Deux études de phase 2 ont été réalisées sur un total de 46 patients souffrant d'une mastocytose systémique. Le masitinib a diminué la fréquence de flush de 54% par rapport au point de référence, a diminué le score prurit de 45%, a amélioré l'état de dépression de 40% et a diminué le score de fatigue de 52% par rapport au départ. Les deux études étant cohérentes entre elles en dépit du fait que la première concerne des patients sans la mutation c-kit 816 et la seconde avec cette mutation, ce qui suggère que le masitinib agit en inhibant non seulement c-Kit, mais aussi Lyn, pour bloquer la libération des médiateurs par le mastocyte.

En outre, le suivi à long terme des données des deux études de phase 2 démontre la pérennité des réponses déclenchées par le masitinib. Les deux tiers des patients ont décidé de participer à l'extension de l'étude, 61% d'entre eux sont traités depuis plus d'un an, et 25% sont encore traités au masitinib après 5 ans.

## **A propos du masitinib**

Le masitinib est un nouvel inhibiteur de tyrosine kinase, administré par voie orale, bloquant une cible cellulaire, le mastocyte, cellule clé de l'immunité, et un nombre limité de kinases jouant un rôle clé dans certains cancers. En raison de son mode d'action original, le masitinib peut être développé dans un grand nombre de pathologies, en oncologie, dans les maladies inflammatoires, et certaines maladies du système nerveux central. Par son activité d'inhibiteur de certaines kinases essentielles dans certains processus oncogéniques, le masitinib peut avoir un effet sur la régression tumorale, seul ou en association avec la chimiothérapie. Par son activité sur le mastocyte et sur certaines kinases essentielles à l'activation des cellules inflammatoires et le remodelage tissulaire fibrosant, le masitinib peut avoir un effet sur les symptômes associés à certaines pathologies inflammatoires et du système nerveux central.

## **À propos d'AB Science**

Fondée en 2001, AB Science est une société pharmaceutique spécialisée dans la recherche, le développement, et la commercialisation de nouvelles thérapies ciblées pour les patients atteints de cancer ou d'autres pathologies importantes avec un besoin médical non satisfait, y compris des maladies inflammatoires et des maladies du système nerveux central.

AB Science a développé en propre un portefeuille d'inhibiteurs de protéines kinases (IPK), une nouvelle classe de molécules ciblées dont l'action consiste à modifier les voies de signalisation intracellulaire. La molécule phare d'AB Science, le masitinib, a déjà fait l'objet d'un enregistrement en médecine vétérinaire en Europe et aux États-Unis et est développée dans dix autres phases 3 en cours chez l'homme, dans le GIST en 1<sup>er</sup> ligne et en 2<sup>nd</sup> ligne de traitement, le mélanome métastatique exprimant la mutation c-Kit JM, le myélome multiple, la mastocytose, l'asthme sévère persistant, la polyarthrite rhumatoïde, la maladie d'Alzheimer, la sclérose en plaques dans ses formes progressives et la SLA. La société a son siège à Paris et est cotée sur Euronext Paris (Ticker : AB)

Further information is available on AB Science website: [www.ab-science.com](http://www.ab-science.com).

*This document contains prospective information. No guarantee can be given as for the realization of these forecasts, which are subject to those risks described in documents deposited by the Company to the Authority of the financial markets, including trends of the economic conjuncture, the financial markets and the markets on which AB Science is present.*

\* \* \*

AB Science – Financial Communication & Media Relations  
[investors@ab-science.com](mailto:investors@ab-science.com)

<sup>1</sup> <http://www.orpha.net> (Indolent systemic mastocytosis)