



Paris, 10 Novembre 2014, 8.30 am

Compte rendu de la conférence Web sur le masitinib dans la mastocytose.

La phase 3 dans la mastocytose est non futile et proche de la fin.

En 2015, les résultats de cette étude seront connus et AB Science va étendre sa franchise sur le mastocyte avec l'initiation en 2015 de deux phases 3, dans une maladie fréquente appelée MCAS et dans la mastocytose pédiatrique.

AB Science SA (NYSE Euronext – FR0010557264 – AB), société pharmaceutique spécialisée dans la recherche, le développement et la commercialisation d'inhibiteurs de protéines kinases (IPK), fournit un résumé des points clés de la conférence web tenue le 7 Novembre 2014 sur le masitinib dans le traitement de la mastocytose avec les leaders d'opinion de cette maladie.

Le test de futilité réalisé en septembre 2014 par le comité indépendant de revue des données à conclu que l'étude de phase 3 dans la mastocytose était non futile, alors que cette étude est proche de la fin. Une analyse de futilité teste l'incapacité d'une étude clinique à atteindre son objectif d'efficacité. Les résultats de la phase 3 dans la mastocytose systémique sévère seront communiqués à tout moment en 2015. Le nombre de patients adultes atteints de mastocytose systémique sévère est estimé à 10 000 personnes aux Etats-Unis et dans l'Union Européenne. En cas de résultat positif de cette étude, une demande d'enregistrement sera déposée à la FDA et l'Agence Européenne du Médicament (EMA).

Afin d'élargir sa franchise sur le mastocyte, initiée avec la mastocytose systémique sévère chez l'adulte, AB Science a décidé de lancer en 2015 deux études de phase 3, dans le syndrome d'activation mastocytaire (MCAS – Mast Cell Activation Syndrome) et dans les formes pédiatriques de la mastocytose.

La mastocytose donne chez les enfants de l'urticaire pigmentaire et est principalement due à des mutations de c-Kit qui sont efficacement inhibées par le masitinib. La population ciblée chez les enfants atteints de mastocytose est estimée à 20 000 aux Etats-Unis et dans l'Union Européenne.

Le syndrome d'activation mastocytaire (MCAS) concerne une population beaucoup plus large que la mastocytose. Le MCAS est une maladie fréquente causée par l'activation des mastocytes et est associée aux mêmes symptômes que la mastocytose, notamment de la fatigue chronique, de la douleur, de la dépression, des diarrhées, de l'inflammation de l'intestin, du prurit, des flushs et de l'anaphylaxie, mais cette pathologie touche environ 5 à 10% de population. Le MCAS pourrait inclure une partie des patients souffrant de la sclérose en plaques, de la maladie de Crohn, de l'inflammation chronique du côlon, de la maladie de Duchêne, ou du syndrome de fatigue chronique, ceux qui présentent des signes clairs de l'activation des mastocytes (tels que l'augmentation de la tryptase dans le sang ou une augmentation de l'histamine dans l'urine ou du dermographisme). Le masitinib ayant été conçu pour bloquer l'activation des mastocytes (grâce à son action sur les kinases c-Kit, Lyn, et Fyn) il est naturellement candidat à un développement dans le MCAS. Comme dans la mastocytose, les symptômes dans le MCAS peuvent être légers, modérés, ou sévères. La proportion de formes sévères de MCAS ou le masitinib pourrait être développé est mal connue. Cependant, les experts considèrent sur la base de leur propre expérience clinique que la prévalence des formes graves de MCAS pourrait être jusqu'à 100 fois supérieure à celle de la mastocytose. Dans le MCAS, les mutations de c-Kit ou les autres gènes responsables de l'activation des mastocytes sont inconnus mais différent de ceux responsables de la mastocytoses. L'étude de phase 3 initiée par AB Science en 2015 permettra d'identifier ces mutations.

La base des données de tolérance répond aux prérequis pour une demande d'enregistrement dans la mastocytose, particulièrement s'agissant d'une maladie orpheline. En effet, en cas de dépôt, la base des données de tolérance comprendrait 250 patients inclus dans les études sur la mastocytose à ce jour, et serait supérieure aux exigences réglementaires sur les médicaments destinés au traitement à long terme de maladies non mortelles, avec plus de 1500 patients exposés au masitinib, y compris plus de 600 patients (contre 300 requis) traités pendant 6 mois et plus de 300 patients (contre 100 requis) traités pendant 12 mois.

Les objections potentielles sur les données de fabrication ou les données précliniques ont été résolues à la suite des demandes d'enregistrement déposées auprès de l'EMA pour GIST et le cancer du pancréas.

AB Science est idéalement positionnée pour commercialiser le masitinib dans la mastocytose en cas d'enregistrement. Un réseau de médecins spécialistes est déjà structuré en Europe (comme dans les GIST), avec l'ECNM (European Competence Network on Mastocytosis). De même, un réseau de patients est déjà structuré avec des associations nationales de patients dans les principaux pays, et les fondateurs d'AB Science sont aussi fondateurs de l'association des patients français AFIRMM avec plus de 2500 patients identifiés. AB Science a développé au cours des dix dernières années des relations étroites avec les associations de patients et les leaders d'opinion. De plus, AB Science n'a à ce jour concédé aucune licence et conserve 100% des droits du masitinib.

La propriété intellectuelle protège le masitinib jusqu'en 2028 et potentiellement jusqu'en 2031 dans la mastocytose et 2034 dans la MCAS. Le brevet couvrant le masitinib a été obtenu et la protection sera étendue jusqu'en 2028 par le système d'extension de brevet (PTE). Une protection supplémentaire a été également obtenue jusqu'en 2028 par un brevet couvrant la synthèse de la molécule. En outre, des protections supplémentaires peuvent être obtenues jusqu'en 2031 pour la mastocytose systémique sévère et jusqu'en 2034 pour le MCAS, grâce à des brevets déposés respectivement en 2011 pour la mastocytose après les résultats de phase 2 et en 2014 pour le MCAS. Une période d'exclusivité de 10 ans peut être accordée à partir de la date d'enregistrement dans la mastocytose car le masitinib a reçu le statut de médicament orphelin dans la mastocytose à la FDA et à l'EMA. Une autre période d'exclusivité de six mois peut être accordée en cas de mise en œuvre d'un plan d'investigation pédiatrique, comme ce sera le cas pour le masitinib dans la mastocytose.

À propos du masitinib

Le masitinib est un nouvel inhibiteur de tyrosine kinase, administré par voie orale, qui cible les mastocytes et les macrophages, cellules essentielles de l'immunité, par l'inhibition d'un nombre limité de kinases. En raison de son mode d'action unique, le masitinib peut être développé dans un grand nombre de pathologies, en oncologie, dans les maladies inflammatoires, et certaines maladies du système nerveux central. En oncologie, par son activité d'immunothérapie, le masitinib peut avoir un effet sur la survie, seul ou en association avec la chimiothérapie. Par son activité sur le mastocyte et donc par son effet inhibiteur sur l'activation du processus inflammatoire, 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 d'inhibiteurs de protéines kinases (IPK), une classe de protéines ciblées dont l'action est déterminante dans la signalisation cellulaire. Nos programmes ne ciblent que des pathologies à fort besoin médical, souvent mortelles avec un faible taux de survie, rares, ou résistantes à une première ligne de traitement, dans les cancers, les maladies inflammatoires et les maladies du système nerveux central, en santé humaine et animale.

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 treize phases 3 chez l'homme, dans le GIST en 1^{er} ligne et en 2nd ligne de traitement, le

mélanome métastatique exprimant la mutation c-Kit JM, le myélome multiple, le cancer colorectal métastatique, le cancer de la prostate métastatique, le cancer du pancréas, la mastocytose, l'asthme sévère persistant, la polyarthrite rhumatoïde, la maladie d'Alzheimer, la sclérose en plaques dans ses formes progressives, et la sclérose latérale amyotrophique. La société a son siège à Paris et est cotée sur Euronext Paris (Ticker : AB)

Plus d'informations sur la société sur le site internet : www.ab-science.com

Le présent document contient des informations prospectives. Aucune garantie ne peut être donnée quant à la réalisation de ces prévisions qui sont soumises à des risques dont ceux décrits dans les documents déposés par la Société auprès de l'Autorité des marchés financiers, à l'évolution de la conjoncture économique, des marchés financiers et des marchés sur lesquels AB Science est présente.

* * *

*AB Science - Communication financière & Relations Presse
investors@ab-science.com*