



AB Science annonce le succès sur le critère principal et les critères secondaires de l'étude de phase 3 du masitinib dans le traitement de la mastocytose systémique sévère chez l'adulte

AB Science SA (NYSE Euronext - FR0010557264 - AB), société pharmaceutique spécialisée dans la recherche, le développement et la commercialisation d'inhibiteurs de protéines kinases (IPK), annonce aujourd'hui que l'étude de phase 3 évaluant le masitinib dans le traitement de la mastocytose systémique sévère chez l'adulte a atteint son objectif principal ainsi que tous ses objectifs secondaires.

Les résultats seront détaillés dans les prochains jours.

A propos de l'étude de phase 3 dans la mastocytose systémique sévère

L'étude visait à évaluer l'efficacité du masitinib chez les patients atteints de mastocytose systémique sévère, avec ou sans la mutation D816V de c-Kit. L'objectif principal de l'étude de phase 3 était de détecter une différence statistiquement significative entre le masitinib (en complément des traitements symptomatiques) et placebo (en complément des traitements symptomatiques) sur la réponse cumulée observée sur quatre symptômes sévères, ainsi dénommés handicaps.

Au moment de leur entrée dans l'étude, les patients recrutés présentaient un à quatre des symptômes suivants liés au degré de sévérité de la mastocytose:

- Score de prurit > 9
- Nombre de bouffées de chaleur par semaine > 8
- Score de dépression mesuré par l'échelle de Hamilton (HAMD-17) > 19
- Asthénie mesurée par le score total sur l'échelle des répercussions de la fatigue > 75

L'étude a recruté 135 patients atteints de mastocytose systémique sévère.

Objectif principal:

L'analyse primaire (désignée comme «Réponse-75%4H») est basée sur la comparaison entre le masitinib et placebo sur le nombre de réponses avérées entre les semaines 8 et 24, divisé par le nombre de réponses possibles sur la même période de traitement. A chaque évaluation du patient entre les semaines 8 et 24, chacun des quatre symptômes sévères indiqués ci-dessus est évalué. Une amélioration de 75% par rapport à l'état initial sur un symptôme est enregistrée comme une réponse positive au traitement.

Objectifs secondaires:

Les analyses secondaires étaient basées sur les critères suivants :

- Le taux de réponse cumulée à 75% pour le prurit (Réponse-75%1H)
- Le taux de réponse cumulée à 75% sur les handicaps prurit ou bouffée de chaleur (Réponse-75%2H)
- Le taux de réponse cumulée à 75% sur les handicaps prurit, bouffée de chaleur ou dépression (Réponse-75%3H)
- Variation moyenne du niveau du tryptase en semaine 24 par rapport à la valeur initiale, pour les patients ayant un niveau ≥ 20 $\mu\text{g/L}$ au moment de leur entrée dans l'étude

Les symptômes du prurit et des bouffées de chaleur sont bien reconnus comme étant associés à l'activation des mastocytes dans la mastocytose.

La dépression est un symptôme qui a un impact important sur la qualité de vie des patients souffrant de mastocytose et présente donc un intérêt clinique important.

La tryptase est un produit biologique libéré par les mastocytes et un marqueur reconnu de l'activité et de l'excès des mastocytes.

Population ciblée par le masitinib dans la mastocytose

La mastocytose est une maladie orpheline caractérisée par une prolifération ou une activation anormale des mastocytes, dans la peau, la moelle osseuse ou d'autres organes. Il existe deux formes principales de mastocytose : indolente et agressive. La mastocytose indolente peut être cutanée ou systémique. La prévalence de la mastocytose indolente systémique est estimée à 1/26 000¹ de la population globale en Europe. Les symptômes et les handicaps sont sévères chez environ un tiers des patients, d'où une population cible estimée à 1/78 000 de la population globale pour le masitinib.

La prévalence de la mastocytose indolente systémique étant considérée comme homogène dans le monde, la taille de population cible pour le masitinib pourrait atteindre un total de 10 000 patients adultes par an aux Etats-Unis et en Europe.

1 : Prévalence des maladies rares : Données bibliographiques, Orphanet Report Series, Rare Diseases collection, juillet 2015, Numéro 1 : Listé par ordre alphabétique de maladies ou groupes de maladies.

http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/Prevalence_of_rare_diseases_by_alphabetical_list.pdf

Désignation comme médicament orphelin

Le masitinib a obtenu la désignation de médicament orphelin auprès de la FDA et de l'EMA dans le traitement de la mastocytose.

Actuellement, il n'y a pas de médicament enregistré dans le traitement de la mastocytose indolente.

Le masitinib est le premier médicament à être évalué dans le cadre d'une étude de phase 3 dans la mastocytose indolente, systémique ou non, sévère ou non.

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 les cellules microgriales 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 ciblent 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 lymphome T, le cancer colorectal métastatique, le cancer de la prostate métastatique, le cancer du pancréas, la mastocytose, l'asthme sévère résistant à la corticostérone en prise orale, 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*