



## **Le masitinib obtient la désignation de médicament orphelin dans l'Union Européenne auprès de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) dans le traitement de la sclérose latérale amyotrophique (SLA)**

**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 le masitinib a obtenu la désignation de médicament orphelin auprès du Comité des Médicaments Orphelins (COMP) de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA), dans le traitement de la sclérose latérale amyotrophique (SLA), aussi connue sous le nom de maladie de Charcot.

Cette obtention de désignation de médicament orphelin dans l'Union Européenne est une étape importante car cela signifie que le COMP a considéré que le masitinib en combinaison avec le riluzole apportait un bénéfice significatif par rapport au riluzole seul, sur la base des résultats de l'analyse intérimaire de l'étude de phase 2/3 du masitinib en cours dans la SLA.

En effet, les critères d'obtention de désignation de médicament orphelin auprès de l'EMA diffèrent de ceux de la FDA et sont très rigoureux pour les raisons suivantes (voir la directive EMA/COMP/ 15893/2009 Final pour plus de détails):

- Selon les règles de l'EMA, dans le cas où il existe déjà des médicaments autorisés, le sponsor doit justifier l'hypothèse selon laquelle le médicament pour lequel la désignation est demandée apportera un bénéfice significatif pour les personnes atteintes de la maladie.
- La demande de désignation de médicament orphelin étant basée sur une hypothèse de bénéfice significatif, une comparaison avec les traitements autorisés est nécessaire.
- Afin de respecter l'esprit de la législation de médicament orphelin, qui stipule clairement que la demande de désignation de médicament orphelin peut être faite à tout stade du développement, le caractère significatif du bénéfice sera basé sur les données disponibles au moment de la désignation.

Dans la mesure où le riluzole est déjà autorisé dans la SLA, AB Science a dû justifier que le masitinib apporterait un bénéfice significatif par rapport au riluzole, et dans la mesure où la demande a été faite après la publication des résultats de l'analyse intérimaire de l'étude de phase 2/3 en cours, le COMP a dû examiner si le masitinib apporterait un bénéfice significatif par rapport au riluzole sur la base des résultats de cette étude intérimaire.

AB Science a fourni au COMP les données de l'analyse intérimaire de l'étude de phase 2/3 en cours dans la SLA. Sur cette base, le COMP a recommandé la désignation de médicament orphelin, ce qui signifie que le COMP a considéré que le masitinib apportait un bénéfice significatif par rapport aux thérapies existantes.

Alain Moussy, président d'AB Science a déclaré *“L'obtention de désignation de médicament orphelin est une étape supplémentaire importante auprès de l'EMA, après la recommandation de l'agence de soumettre un dossier de demande d'autorisation conditionnelle de mise sur le marché, dont le dépôt est toujours prévu en septembre 2016”*.

Pour rappel, le masitinib a également obtenu la désignation de médicament orphelin auprès de la Food and Drug Administration (FDA) américaine, dans le traitement de la SLA.

#### **A propos de l'avantage d'une désignation de médicament Orphelin**

La désignation européenne de médicament orphelin par la Commission européenne est accordée aux médicaments destinés au traitement de pathologies mortelles ou invalidantes et chroniques qui n'affectent pas plus de 5 personnes sur 10 000 dans l'Union européenne (UE).

Une désignation de médicament orphelin dans l'UE confère une gamme d'avantages aux entreprises sponsors, notamment des conseils scientifiques sur tous les aspects du développement du produit à un tarif réduit, un accès direct à la procédure centralisée d'autorisation de mise sur le marché, et une éligibilité à certaines incitations financières mises à disposition par la Communauté et par les États membres afin soutenir la recherche et le développement de médicaments orphelins.

Si le produit est approuvé pour la commercialisation, la désignation confère également 10 ans d'exclusivité de commercialisation à partir de l'enregistrement du produit si la désignation de médicament orphelin prévaut encore au moment de l'autorisation de mise sur le marché.

#### **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 microgliales 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 douze phases 3 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, le lymphome T, le cancer colorectal métastatique, le cancer de la prostate métastatique, le cancer du pancréas, 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](http://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](mailto:investors@ab-science.com)