

Paris, 20 mars 2017, 8h



***AB Science annonce le succès de l'analyse finale de l'étude AB10015 du masitinib dans la sclérose latérale amyotrophique (SLA), aussi connue sous le nom de maladie de Charcot***

***L'analyse primaire est positive et confirme l'analyse intérimaire***

***AB Science tiendra une conférence web sur le masitinib dans la 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 l'étude AB10015 de phase 2/3 du masitinib dans la sclérose latérale amyotrophique (SLA) est positive sur son critère d'évaluation principal prédéfini. Il s'agit de la première étude de phase 3 d'un inhibiteur de tyrosine kinase positive dans le traitement de la SLA, ce qui place le masitinib au premier rang dans le traitement de la SLA, avec un mécanisme d'action unique contre les cellules microgliales.

Une conférence web se tiendra le 20 mars à 18h, heure de Paris. Pour participer, merci d'envoyer un email à [linda.carlet@ab-science.com](mailto:linda.carlet@ab-science.com).

L'étude AB10015 est une étude en double aveugle, contrôlée par placebo, de phase 2/3 visant à comparer l'efficacité et la tolérance du masitinib en association avec le riluzole contre le placebo en association avec le riluzole chez les patients atteints de SLA.

Conformément au protocole de l'étude, l'analyse finale a été réalisée sur 394 patients traités pendant 48 semaines et répartis dans l'un des trois bras de traitement différents: masitinib à la dose de 4,5 mg/kg/jour, masitinib à la dose de 3 mg/kg/jour, et placebo, avec dans chaque bras le riluzole comme traitement associé.

Le critère d'évaluation principal était basé sur l'évolution du score fonctionnel de la Sclérose Latérale Amyotrophique (ALSFRS-R) après 48 semaines de traitement. Le score ALSFRS-R est une mesure d'évaluation validée permettant de contrôler la progression du handicap chez les patients atteints de SLA, indicateur qui est en étroite corrélation avec la qualité de vie et la survie des patients. L'EMA et la FDA recommandent ce critère d'évaluation dans le cadre d'une demande d'enregistrement dans la SLA. Conformément aux recommandations de l'EMA, la survie sans progression (PFS) a été incluse comme principal critère d'évaluation secondaire pour l'enregistrement, la progression ayant été définie comme une détérioration du score ALSFRS-R de plus de 9 points ou la mort. Une analyse séquencée était prédéfinie afin de tester d'abord le masitinib à la dose de 4,5 mg/kg/jour contre placebo, puis le masitinib à la dose de 3 mg/kg/jour contre placebo.

Pour le masitinib à la dose de 4,5 mg/kg/jour :

- L'analyse primaire sur l'évolution du score ALSFRS-R après 48 semaines de traitement (méthode mLOCF) est statistiquement significative avec une P-value de 0,014.
- Les tests de sensibilité sur l'analyse primaire ont consisté en deux modèles d'imputation en semaine 48 pour tout patient ayant interrompu le traitement avant la semaine 48. Ces analyses de sensibilité sont également statistiquement significatives avec une P-value de 0,015.
- La principale analyse secondaire sur la survie sans progression (PFS) sont également statistiquement significatives avec une P-value de 0,016.
- La qualité de vie mesurée par l'évolution du score ALSAQ est également statistiquement significative avec une P-value < 0,01.

Pour le masitinib à la dose de 3 mg/kg/jour :

- On observe une tendance en faveur du masitinib par rapport au placebo sur l'évolution du score ALSFRS-R en semaine 48 (méthode mLOCF), de même que sur les deux modèles d'imputation (analyses de sensibilité), ainsi que sur la survie sans progression (analyse secondaire).

- L'évolution de la qualité de vie est favorable au masitinib, de façon statistiquement significative (p-value<0.01).

Les effets indésirables observés avec le masitinib dans l'étude AB10015 sont cohérents avec le profil de tolérance connu du produit. Il n'y a pas eu de nouvel événement lié à la tolérance du produit lors de l'analyse finale par rapport à l'analyse intérimaire.

L'analyse finale confirme l'analyse intérimaire, qui avait été effectuée sur 50% des patients.

AB Science a déposé un dossier d'autorisation de mise sur le marché du masitinib dans la SLA à l'agence européenne du médicament (EMA) en septembre 2016. Les données complètes d'efficacité et de tolérance seront soumises afin d'être présentées à la réunion annuelle de l'European Network for the Cure of ALS (ENCALS), à Ljubljana en Slovénie (18-20 mai 2017).

Alain Moussy, président d'AB Science a déclaré: *“C'est une très bonne nouvelle pour les patients. Ces données finales confirment les résultats de l'analyse intérimaire et prouvent que le masitinib est capable de ralentir les maladies dégénératives du motoneurone comme la SLA, qui est une pathologie dévastatrice présentant un besoin médical urgent.”*

Le professeur Olivier Hermine, président du comité scientifique d'AB Science a déclaré: *“Le résultat le plus impressionnant dans cette étude est peut-être le fait que le masitinib a généré une différence significative sur la survie sans progression par rapport au placebo. De la même manière que dans les études en oncologie, l'amélioration significative de la survie sans progression indique un bénéfice clinique clair en faveur du masitinib.”*

Le Dr. Jesús Mora Pardina, coordinateur international de l'étude et neurologue expert dans la SLA a déclaré: *“Le masitinib est l'un des rares médicaments en développement dans le traitement de la SLA et a prouvé son efficacité sur des critères d'évaluation validés. Ces résultats sont réellement encourageants et peuvent être considérés comme une avancée majeure dans le traitement de la SLA, une pathologie pour laquelle le développement de nouveaux médicaments efficaces s'est révélé extrêmement difficile. Le masitinib pourrait être le traitement tant attendu complémentaire à l'arsenal thérapeutique existant dans la SLA.”*

Le mécanisme d'action du masitinib dans la SLA est basé sur le ciblage des cellules microgliales anormales neurotoxiques, par l'inhibition du récepteur CSF-1R, ce qui génère un effet neuroprotecteur et ralentit la neurodégénérescence.

La sclérose latérale amyotrophique est une maladie dégénérative rare qui entraîne une atrophie progressive et une paralysie des muscles volontaires. Il y a environ 50 000 personnes atteintes de SLA dans l'Union Européenne et les Etats-Unis, avec plus de 16 000 nouveaux cas déclarés chaque année en Europe et aux Etats-Unis. Près de 80 % des patients atteints de SLA meurent dans les 5 ans et 90% décèdent dans les 10 ans.

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

#### **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 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 13 phases 3 chez l'homme, dans le cancer de la prostate métastatique, le cancer du pancréas métastatique, le cancer colorectal métastatique en rechute, le cancer de l'ovaire métastatique en rechute, le GIST, le mélanome métastatique exprimant la mutation c-Kit JM, le myélome multiple en rechute, le lymphome périphérique à cellule T en rechute, la mastocytose, l'asthme sévère, la sclérose latérale amyotrophique, la maladie d'Alzheimer et la sclérose en plaques progressive. 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)

### **Déclarations prospectives – AB Science**

Ce communiqué contient des déclarations prospectives. Ces déclarations ne constituent pas des faits historiques. Ces déclarations comprennent des projections et des estimations ainsi que les hypothèses sur lesquelles celles-ci reposent, des déclarations portant sur des projets, des objectifs, des intentions et des attentes concernant des résultats financiers, des événements, des opérations, des services futurs, le développement de produits et leur potentiel ou les performances futures.

Ces déclarations prospectives peuvent souvent être identifiées par les mots « s'attendre à », « anticiper », « croire », « avoir l'intention de », « estimer » ou « planifier », ainsi que par d'autres termes similaires. Bien qu'AB Science estime que ces déclarations prospectives sont raisonnables, les investisseurs sont alertés sur le fait que ces déclarations prospectives sont soumises à de nombreux risques et incertitudes, difficilement prévisibles et généralement en dehors du contrôle d'AB Science qui peuvent impliquer que les résultats et événements effectifs réalisés diffèrent significativement de ceux qui sont exprimés, induits ou prévus dans les informations et déclarations prospectives. Ces risques et incertitudes comprennent notamment les incertitudes inhérentes aux développements des produits de la Société, qui pourraient ne pas aboutir, ou à la délivrance par les autorités compétentes des autorisations de mise sur le marché ou plus généralement tous facteurs qui peuvent affecter la capacité de commercialisation des produits développés par AB Science ainsi que ceux qui sont développés ou identifiés dans les documents publics déposés par AB Science auprès de l'AMF, y compris ceux énumérés dans le chapitre 4 « Facteurs de risques » du document de référence d'AB Science enregistré auprès de l'AMF le 22 novembre 2016, sous le numéro R. 16-078. AB Science ne prend aucun engagement de mettre à jour les informations et déclarations prospectives sous réserve de la réglementation applicable notamment les articles 223-1 et suivants du règlement général de l'AMF.

**Pour tout renseignement complémentaire, merci de contacter :**

**AB Science**

Communication financière et relations presse

[investors@ab-science.com](mailto:investors@ab-science.com)