



Paris, 18 mai 2017, 16h30

AB Science présente les résultats de son étude de phase 3 du masitinib dans la sclérose latérale amyotrophique (SLA) à la réunion annuelle de l'European Network for the Cure of ALS (ENCALS)

L'étude est positive et démontre l'efficacité et la tolérance du 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), a présenté aujourd'hui les résultats de son étude de phase 3 (AB10015) du masitinib dans la sclérose latérale amyotrophique (SLA), aussi connue sous le nom de maladie de Charcot, à la réunion annuelle de l'European Network for the Cure of ALS (ENCALS), à Ljubljana en Slovénie (18-20 mai 2017).

Le Dr. Jesús S. Mora, coordonateur international de l'étude AB10015 et neurologue expert dans la SLA a donné une présentation en séance plénière à la réunion annuelle de l'ENCALS le jeudi 18 mai (à l'invitation de la Fondation Thierry Latran). L'intitulé de cette conférence était : ***"Masitinib as an add-on therapy to riluzole is beneficial in the treatment of amyotrophic lateral sclerosis (ALS) with acceptable tolerability: Results from a randomized controlled phase 3 trial."***

"Ces données finales confirment les résultats de l'analyse intérimaire, qui montrent que le masitinib est efficace dans le ralentissement de la progression de la SLA", a indiqué le Dr. Jesús S. Mora (coordonateur international de l'étude, Directeur du département SLA à l'hôpital San Rafael, Madrid, Espagne). "Ce bénéfice est évident en considérant l'effet observé du traitement sur la mesure du score fonctionnel (Δ ALSFRS-R), ainsi que l'amélioration significative des mesures de la qualité de vie et de la fonction respiratoire."

Une seconde présentation sera donnée par le professeur Luis Barbeito (Responsable du Laboratoire de Neurodégénérescence à l'Institut Pasteur de Montevideo, Uruguay) le vendredi 19 mai (8h – 9h). L'intitulé de cette conférence est ***"Masitinib for the treatment of amyotrophic lateral sclerosis (ALS): Preclinical overview and future clinical development."***

"Ces résultats cliniques de phase 3 sont solidement étayés par des données précliniques tout aussi probantes, montrant que le masitinib génère un effet neuroprotecteur en ciblant les cellules microgliales anormales et en régulant la neuroinflammation", a commenté le professeur Luis Barbeito. "En effet, l'inhibition de kinases ciblées par le masitinib apparaît unique parmi les autres médicaments candidats en développement dans la SLA dans la mesure où le masitinib exerce une neuroprotection dans des modèles précliniques et thérapeutiques avancés."

Les résumés complets de ces deux présentations ont été publiés dans les comptes-rendus de la réunion annuelle 2017 de l'ENCALS et sont librement accessibles à l'adresse suivante : <https://www.encals.eu/meetings/>.

➤ **Caractéristiques et résultats principaux de l'étude de phase 3 du masitinib**

Le masitinib administré oralement à la dose de 4,5 mg/kg/jour en association au riluzole a démontré un bénéfice thérapeutique significatif ainsi qu'une bonne tolérance chez les patients atteints de SLA et ayant

un taux de progression de leur score ALSFRS-R inférieur à 1,1 points/mois lors de leur entrée dans l'étude.

- L'étude AB10015 est une étude de phase 3, en double aveugle, contrôlée par placebo, du masitinib en association avec le riluzole. Les patients atteints de SLA ont reçu le riluzole avec le masitinib à la dose de 3,0 mg/kg/jour ou de 4,5 mg/kg/jour ou avec placebo (1:1:1) pendant 48 semaines.
- Le critère d'évaluation principal est la variation absolue du score ALSFRS-R_[W0-W48] (Δ ALSFRS-R) chez les patients recevant le masitinib à la dose de 4,5 mg/kg/jour et ayant une progression de leur score ALSFRS-R inférieure à 1,1 points/mois au moment de leur entrée dans l'étude.
- Les résultats ont montré que le masitinib administré à la dose de 4,5 mg/kg/jour en association au riluzole chez les patients atteints de SLA et ayant une progression de leur score ALSFRS-R inférieure à 1,1 points/mois au moment de leur entrée dans l'étude, a généré un bénéfice thérapeutique par rapport au contrôle par placebo.
- Le ralentissement significatif de la maladie s'est traduit par :
 - La variation du score ALSFRS-R (différence de 3,4 points entre les deux groupes [95%CI 0.6–6.1], P=0,0158) ainsi que de la pente du score ALSFRS-R (différence de 27% entre les deux groupes), indiquant un ralentissement de la perte de fonction;
 - Le temps écoulé entre l'initiation du traitement et la progression de la maladie (PFS) mesurée par une dégradation du score fonctionnel (Δ ALSFRS-R) de neuf points ou le décès (P=0,0159), indiquant une progression retardée de la maladie;
 - Le score ALSAQ-40 (P=0,0078), indiquant une réduction du déclin de la qualité de vie; et
 - Le score Forced Vital Capacity (P=0,0332), qui est considéré comme une mesure substitutive de la survie globale.
- Les résultats ont montré un effet dose, avec une tendance d'efficacité à la dose de 3,0 mg/kg/jour sur la variation du score ALSFRS-R (P=0,066, différence entre les groupes de 2,7 points ou 24%) et sur le score de qualité de vie ALSAQ-40 (P=0,006).
- Une analyse post-hoc réalisée sur le sous-groupe de patients ayant une durée de maladie inférieure à 24 mois et un score pour chaque élément du score ALSFRS-R supérieur à 2, comme dans l'étude avec l'edaravone, a montré une efficacité accrue par rapport au placebo, avec un écart du score ALSFRS-R de 4,5 points ou 42% (différence entre les deux groupes) ; P=0,0176.
- La tolérance du produit est acceptable avec une balance bénéfice-risque positive.

“Ces données prouvent que le masitinib est capable de ralentir la progression de la SLA, et ouvrent une nouvelle voie dans le traitement des maladies neurodégénératives” a indiqué le professeur Olivier Hermine, président du comité scientifique d'AB Science. *“Le masitinib semble également avantageux en considérant sa facilité d'utilisation puisqu'il est administré par voie orale, ainsi que son champ d'application élargi, dans la mesure où les critères d'inclusion des patients pour l'étude de phase 3 étaient relativement peu restrictifs, tant en termes de sévérité des symptômes que de durée de la maladie. Il est intéressant de noter que lorsque l'on applique une population de patients plus restrictive à l'ensemble des données du masitinib, en considérant par exemple les patients atteints de la maladie depuis moins de 24 mois, on observe un effet de traitement encore plus important pour le masitinib.*

➤ **Webcall**

Un webcall sur le masitinib dans la SLA se tiendra en anglais le 24 mai 2017 de 17h30 à 18h30, heure de Paris. Pour participer, merci d'envoyer un email à linda.carlet@ab-science.com.

➤ **Désignation de médicament orphelin**

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

➤ Population ciblée avec le masitinib dans la SLA

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.

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 lymphome périphérique à cellule T en rechute, 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

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