

Paris, 28 septembre 2017, 19h30



**Présentation de données cliniques et précliniques du masitinib dans la Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA) dans six grandes conférences internationales**

**De nouvelles données précliniques ainsi que des publications externes renforcent la pertinence du mécanisme d'action du masitinib dans la SLA et d'autres maladies neurodégénératives**

**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 des données cliniques et précliniques du masitinib dans la sclérose latérale amyotrophique (SLA), aussi connue sous le nom de maladie de Charcot, ont été retenues pour être présentées oralement lors de 6 conférences internationales en 2017, notamment le 23ème Congrès Mondial de la Neurologie qui s'est tenu au Japon.

➤ **Liste des conférences**

Conférence	Lieu	Date
23ème Congrès Mondial de la Neurologie (WCN 2017)	Kyoto, Japon	19 septembre, 2017
16ème conférence annuelle NEALS	Clearwater Beach, Etats-Unis	04 octobre, 2017
142ème conférence annuelle de l'Association Américaine de Neurologie (ANA)	San Diego, Etats-Unis	15 & 16 octobre, 2017
69ème conférence annuelle de la Société Espagnole de Neurologie (SEN)	Valencia, Espagne	04 novembre, 2017
Fédération mondiale du Groupe de Recherche de Neurologie en réunion parallèle du colloque sur les maladies du motoneurone/SLA	Boston, Etats-Unis	07 décembre, 2017
28ème colloque international sur les maladies du motoneurone/SLA	Boston, Etats-Unis	08 & 09 décembre, 2017

➤ **Nouvelles données mécanistes**

- **De nouvelles données précliniques renforcent la pertinence du mécanisme d'action du masitinib dans la SLA**

De nouvelles données précliniques montrent que l'effet du traitement observé chez les patients atteints de SLA et traités avec le masitinib est certainement lié à des effets protecteurs additifs dans le système nerveux central ainsi que dans les systèmes nerveux périphériques.

- **De nouvelles données lient les mastocytes à la dénervation de la jonction neuromusculaire lors de la progression de la paralysie. Cela représente un nouveau mécanisme pathogène dans la SLA, pouvant être ciblé thérapeutiquement par le masitinib.**
- **Le masitinib bloque les changements morphologiques dans les cellules de Schwann et les réseaux capillaires qui sont généralement observés lors d'une paralysie avancée.**
- **De nouvelles données montrent que le masitinib bloque les changements pathologiques dans le nerf sciatique dégénératif.**

- **Une nouvelle étude publiée dans la revue Nature valide le fait que la microglie, cible du masitinib dans la SLA, est responsable de la destruction des neurones dans les maladies neurodégénératives**

Comme déjà indiqué dans la revue *Journal of Neuroinflammation*, le masitinib génère un effet neuroprotecteur dans un modèle animal pertinent de SLA en ciblant les cellules gliales anormales et en régulant la neuroinflammation<sup>1</sup>. Des recherches indépendantes publiées dans la revue *Nature* ont récemment corroboré ces données, en montrant que les mutations somatiques dans la microglie dans des modèles de souris sont une des causes de la destruction des neurones dans les maladies neurodégénératives<sup>2</sup>. Ainsi, les cellules gliales anormales favorisent les maladies neurodégénératives, y compris la SLA.

- **Une nouvelle revue indépendante souligne le potentiel du masitinib dans les maladies neurologiques et neurodégénératives**

L'article *Mast cells in neuroinflammation and brain disorders*, publié dans la revue *Neuroscience and Biobehavioral Reviews* (août 2017)<sup>3</sup> souligne l'importance des interactions des mastocytes dans le cerveau et leur rôle dans la neurodégénérescence et la perméabilité de la barrière hémato-encéphalique.

Le potentiel du masitinib dans les troubles neurologiques tels que la maladie d'Alzheimer, l'accident vasculaire cérébral ischémique et la dépression chez les patients atteints de mastocytose est ainsi mis en évidence. Cet article renforce la pertinence du programme de développement du masitinib en neurologie, qui cible en partie les interactions entre les mastocytes et les cellules résidentes du système nerveux central.

Référence:

1. Trias E, et al. Post-paralysis tyrosine kinase inhibition with masitinib abrogates neuroinflammation and slows disease progression in inherited amyotrophic lateral sclerosis. *Journal of Neuroinflammation*, 2016; 13:177. doi:10.1186/s12974-016-0620-9.
2. Mass E, et al. A somatic mutation in erythro-myeloid progenitors causes neurodegenerative disease. *Nature*. 2017 Aug 30. doi: 10.1038/nature23672.
3. Hendriksen E, et al. Mast cells in neuroinflammation and brain disorders. *Neurosci Biobehav Rev*. 2017 Aug;79:119-133.

### ➤ **Rappel des principaux résultats de l'étude de phase 3**

Le masitinib administré oralement à la dose de 4,5 mg/kg/jour en association au riluzole a démontré un bénéfice thérapeutique significatif 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, qui est le sous-groupe pré-spécifié pour l'analyse principale et qui représente 85% de la population SLA.

- **Ralentissement significatif de 27% (p<0.05) de la détérioration du score ALSFR-S (critère d'analyse principal)**
- **Ralentissement significatif de 29% de la détérioration de la qualité de vie (ALSAQ-40)**
- **Ralentissement significatif de 22% de la détérioration de la fonction respiratoire (FVC)**
- **Ralentissement significatif de 25% de la progression de la maladie (analyse de la survie)**
- **La tolérance du produit est acceptable**

### Détail de chaque présentation et conférence

- **23<sup>ème</sup> Congrès Mondial de la Neurologie (WCN 2017)**

Lieu:	Kyoto, Japon
Date:	19 septembre 2017
Intervenant:	Dr. Jesús S. Mora (Directeur de l'unité SLA à l'hôpital San Rafael, Madrid, Espagne)
Format:	Présentation orale

Thème: Le masitinib en association avec le riluzole est bien toléré et efficace dans le traitement de la SLA

Le Congrès Mondial de la Neurologie est le plus grand et le plus important événement international de neurologie au monde. Des milliers de participants du monde entier sont attendus à l'occasion de cette conférence scientifique qui regroupe les experts scientifiques du monde entier afin de catalyser et faire avancer les connaissances scientifiques en neurologie.

▪ **16<sup>ème</sup> conférence annuelle NEALS**

Lieu: Clearwater Beach, Florida, Etats-Unis  
Date: 04 octobre 2017  
Intervenant: Dr. Angela Genge (Directrice Médicale de l'Unité de Recherche Clinique à l'Institut Neurologique de Montréal)  
Format: Présentation orale  
Thème: Le masitinib dans le traitement de la sclérose latérale amyotrophique

La conférence annuelle NEALS est l'occasion pour les principaux scientifiques de la SLA et des maladies du motoneurone, les représentants du gouvernement, les partenaires universitaires, et les compagnies pharmaceutiques de discuter des traitements potentiels et de partager les avancées scientifiques.

▪ **142<sup>ème</sup> conférence annuelle de l'Association Américaine de Neurologie (ANA)**

Lieu: San Diego, Etats-Unis  
Date: 15 et 16 octobre 2017  
Intervenant: Dr. Angela Genge (Directrice Médicale de l'Unité de Recherche Clinique à l'Institut Neurologique de Montréal)  
Format: Présentation orale et session d'affichage (session de groupe d'intérêt spécial)  
Thème: Le masitinib dans le traitement de la sclérose latérale amyotrophique

La réunion annuelle de l'Association Américaine de Neurologie est conçue pour contribuer à la formation générale des neurologues et des neuroscientifiques. Elle vise à faire émerger des progrès conceptuels et thérapeutiques innovants dans plusieurs pathologies neurologiques.

▪ **69<sup>ème</sup> conférence annuelle de la Société Espagnole de Neurologie (SEN)**

Lieu: Valence, Espagne  
Date: 04 novembre 2017  
Intervenant: Dr. Jesús S. Mora (Directeur de l'unité SLA à l'hôpital San Rafael, Madrid, Espagne)  
Format: Présentation orale  
Thème: Resultados positivos del ensayo multinacional fase III iniciado en España

On estime que plus de 3 000 experts nationaux et internationaux assisteront à la conférence annuelle de la Société Espagnole de Neurologie cette année, avec plus de 1200 communications présentées sur les dernières avancées dans le domaine neurologique.

▪ **Fédération mondiale du Groupe de Recherche de Neurologie en réunion parallèle du colloque sur les maladies du motoneurone/SLA (28<sup>ème</sup> colloque international sur les maladies du motoneurone/SLA)**

Lieu: Boston, Etats-Unis  
Date: 07 décembre 2017  
Intervenant: Dr. Angela Genge (Directrice Médicale de l'Unité de Recherche Clinique à l'Institut Neurologique de Montréal)  
Format: Présentation orale (sur invitation)  
Thème: Le masitinib: un traitement émergent dans la SLA

La Fédération Mondiale de Neurologie (WFN) est une association de sociétés neurologiques nationales représentant 119 sociétés neurologiques dans toutes les régions du monde.

▪ **28<sup>ème</sup> colloque international sur les maladies du motoneurone/SLA**

Lieu: Boston, Etats-Unis

Date:	08 et 09 décembre 2017
Intervenant:	Professeur Luis Barbeito (Chef du Laboratoire de Neurodégénérescence, Institut Pasteur de Montevideo, Uruguay)
Format:	Session d'affichage
Thème:	Le masitinib bloque la pathologie du nerf sciatique et des capacités sensorielles chez un modèle de rat SOD1 <sup>G93A</sup> (SLA)
Intervenant:	Dr. Emiliano Trias (Institut Pasteur de Montevideo, Uruguay).
Format:	Session d'affichage
Thème:	Un nouveau mécanisme pathogène lié aux mastocytes dans un modèle de rat SOD1 <sup>G93A</sup> (SLA) pouvant être ciblé thérapeutiquement par le masitinib
Intervenant:	Dr. Jesús S. Mora (Director ALS Unit at Hospital San Rafael Madrid, Spain)
Format:	Présentation orale
Thème:	Le masitinib en association avec le riluzole est bien toléré et efficace dans le traitement de la SLA

Le colloque sur les maladies du motoneurone et la SLA est la plus grande conférence médicale et scientifique sur la SLA rassemblant les chercheurs dans la SLA et présentant les dernières avancées dans la recherche et les études cliniques. Chaque année, ce colloque rassemble les meilleurs chercheurs internationaux ainsi que des professionnels du milieu de la santé qui débattent des innovations clés dans leurs domaines respectifs.

### **A propos de la sclérose latérale amyotrophique**

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 12 indications en 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, 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)