



## COMMUNIQUE DE PRESSE

**LE BREVET POUR LE MASITINIB DANS LE TRAITEMENT DE LA DRÉPANOCYPOSE A ÉTÉ OFFICIELLEMENT ACCORDÉ AUX ÉTATS-UNIS AVEC UNE PROTECTION JUSQU'EN 2040**

**CETTE DÉCISION RENFORCE LE PORTEFEUILLE DE PROPRIÉTÉ INTELLECTUELLE DU MASITINIB AVEC UNE PROTECTION À LONG TERME POUR UNE INDICATION SUPPLÉMENTAIRE PRÉSENTANT UN IMPORTANT BESOIN MÉDICAL NON SATISFAIT**

**L'ETUDE DE PHASE 2 AVEC BIOMARQUEUR EN COOPÉRATION AVEC L'AP-HP EST ENTIÈREMENT FINANCIÉE**

*Paris, 22 décembre 2025, 18h*

**AB Science SA** (Euronext - FR0010557264 - AB) annonce aujourd'hui que l'Office des brevets des Etats-Unis a délivré un avis d'acceptation pour un brevet portant sur des méthodes (c'est-à-dire un brevet d'utilisation médicale) de traitement de la drépanocytose avec sa principale molécule, le masitinib, sur la base de résultats précliniques. Ce nouveau brevet américain (US12,472,164) protège jusqu'en novembre 2040 la propriété intellectuelle du masitinib dans cette indication.

- Le masitinib : Un traitement innovant dans la drépanocytose

La drépanocytose est une maladie héréditaire qui se manifeste par un trouble des globules rouges. Le masitinib est développé pour traiter les formes les plus sévères de la maladie, qui représentent environ 65 % des cas de drépanocytose. Les formes graves de la maladie représentent un défi majeur pour la santé publique et peuvent mener au décès précoce. Le traitement de la drépanocytose peut être curatif grâce à la thérapie génique (qui cible la mutation HbS), mais cette option reste extrêmement limitée en raison de la rareté des donneurs, des problèmes de tolérance non résolus et des coûts très élevés. Le traitement standard de la drépanocytose est une transfusion de globules rouges ainsi qu'un traitement à l'hydroxyurée pour gérer les complications, mais le besoin médical reste important.

Les mastocytes, une cible majeure du masitinib, semblent jouer un rôle essentiel dans les formes graves de drépanocytose et ses complications, telles que les crises vaso-occlusives (CVO), le syndrome thoracique aigu et la douleur [1-2]. Le masitinib a démontré un bénéfice de survie dans un modèle murin de drépanocytose: toutes les souris de contrôle atteintes de drépanocytose ont eu des crises vaso-occlusives et 83 % d'entre elles sont mortes dans les 3 premières heures, alors que les souris atteintes de drépanocytose et traitées au préalable avec le masitinib pendant 4 jours n'ont pas eu de crises vaso-occlusives et ne sont pas mortes. En outre, l'histologie pulmonaire et l'immunohistochimie ont montré que le masitinib protège des lésions pulmonaires aiguës et de l'infiltration des mastocytes dans un modèle murin de drépanocytose.

- Etude de phase 2 avec biomarqueur entièrement financée

Le développement clinique du masitinib dans la drépanocytose est mené dans le cadre du programme collaboratif SICKMAST, financé à hauteur de 9,2 millions d'euros, qui vise à démontrer dans un essai clinique de phase 2 l'efficacité du masitinib dans le traitement des complications aiguës et chroniques de la drépanocytose chez des patients identifiés sur la base de biomarqueurs. L'Assistance Publique-Hôpitaux de Paris (AP-HP) est le promoteur de cette étude de phase 2, conçue en deux étapes :

- Etape 1 : Identification et validation de biomarqueurs mettant en évidence le rôle des mastocytes et des basophiles dans l'orchestration des complications aiguës et chroniques de la drépanocytose

- Etape 2 : Démonstration, dans le cadre d'un essai clinique de phase 2, de l'efficacité du masitinib dans le traitement des complications aiguës et chroniques de la drépanocytose chez des patients identifiés sur la base de biomarqueurs

AB Science reste libre d'exécuter comme il l'entend l'éventuelle phase 3 qui succédera à la phase 2 en cas de succès.

- Drépanocytose : un important besoin médical non satisfait

La drépanocytose est une maladie génétique qui touche des millions de personnes dans le monde. Bien que l'espérance de vie ait augmenté au cours des 20 dernières années, les complications aiguës et chroniques entraînent toujours des comorbidités, une charge sociale élevée et un décès prématuré vers l'âge de 40 ans. Environ 1,1 % des couples dans le monde risquent d'avoir un enfant atteint d'un trouble de l'hémoglobine (drépanocytose ou thalassémie) et 2,3 conceptions sur 1000 sont affectées par la drépanocytose. Les estimations suggèrent que chaque année, environ 300 000 enfants naissent avec la drépanocytose et que ce nombre pourrait atteindre 400 000 d'ici 2050 [3]. La drépanocytose touche plus de 100 000 enfants et adultes aux États-Unis. En France, environ 26 000 patients sont touchés (50 % d'enfants, 50 % d'adultes).

La maladie va bien au-delà des crises douloureuses épisodiques. L'hémolyse chronique, la vaso-occlusion et le dysfonctionnement endothérial entraînent des lésions organiques progressives touchant le cerveau (infarctus silencieux, accident vasculaire cérébral manifeste), les reins, les poumons (hypertension pulmonaire, syndrome thoracique aigu) et la rate. Ces lésions cumulées réduisent l'espérance de vie de 20 à 30 ans, même dans les pays à revenu élevé, et les patients développent souvent des complications que les traitements actuels ne peuvent pas inverser.

Les options thérapeutiques actuelles, telles que l'hydroxycarbamide et les transfusions chroniques, ne permettent pas de prévenir complètement les complications aiguës et chroniques potentiellement mortelles de la drépanocytose. La greffe allogénique de cellules souches et la thérapie génique (Casgevy ; Lyfgenia) ne sont disponibles que pour une minorité de patients, sont associées à une toxicité et sont très coûteuses (coût unitaire de plusieurs millions d'euros), ce qui limite leur utilisation.

Les anticorps anti-P-sélectine (crizanlizumab ; inclacumab), autrefois considérés comme des options thérapeutiques prometteuses, n'ont pas confirmé leur efficacité. Le voxelotor (modificateur de l'hémoglobine), qui avait été approuvé sous conditions, a été retiré du marché en raison d'une augmentation de la fréquence des accidents vasculaires cérébraux mortels lors des essais post-commercialisation.

Il existe un besoin urgent de nouvelles approches thérapeutiques permettant de prévenir les lésions organiques à long terme associées à la maladie.

#### **Rationnel scientifique pour l'utilisation du masitinib dans cette indication**

Récemment, un rôle majeur de l'inflammation médiée par les cellules immunitaires innées et favorisant la vaso-occlusion a été mis en évidence. Des observations cliniques et nos travaux expérimentaux chez la souris et permis de mettre en évidence le rôle des mastocytes et des basophiles dans les complications associées à la drépanocytose :

- Le degré d'activation des mastocytes chez les patients atteints de drépanocytose pourrait participer à l'hétérogénéité de l'inflammation et des complications chroniques et aiguës.
- Le rôle potentiel des basophiles dans la drépanocytose n'a jamais été étudié, mais compte tenu de leur rôle dans diverses maladies et de leur capacité à libérer de la substance-P et de l'histamine, ils pourraient également être des acteurs importants de la physiopathologie de la drépanocytose.

Le masitinib est un inhibiteur de KIT, LYN et FYN, trois kinases majeures impliquées dans l'activation des mastocytes et des basophiles.

## Besoin médical

La vision classique de la physiopathologie implique la polymérisation de l'hémoglobine mutée (HbS), ce qui conduit au dysfonctionnement des globules rouges, suivie d'une anémie hémolytique, d'une crise vaso-occlusive douloureuse et d'un syndrome thoracique aigu.

Les options thérapeutiques actuelles, telles que l'hydroxycarbamide, la transfusion chronique ou les anticorps anti-P-sélectine, ne permettent pas de prévenir totalement les complications aiguës et chroniques de la drépanocytose, qui mettent en jeu le pronostic vital. La transplantation de cellules souches allogéniques et la thérapie génique ne sont disponibles que pour une minorité de patients, sont associées à une toxicité et sont très coûteuses, ce qui limite leur utilisation.

Il existe un fort besoin médical pour prévenir les complications aiguës et chroniques de la drépanocytose.

## Références

- [1] Allali S, Lionnet F, Mattioni S, et al. Br J Haematol. 2019;186(1):125-129.
- [2] Allali S, Maciel TT, Hermine O, de Montalembert M. Haematologica. 2020;105(2):273-283.
- [3] Piel FB, Steinberg MH, Rees DC. Sickle Cell Disease. N Engl J Med. 2017;376(16):1561-1573.

## 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.

AB Science a développé en propre un portefeuille de molécules et la molécule phare d'AB Science, le masitinib, a déjà fait l'objet d'un enregistrement en médecine vétérinaire et est développée chez l'homme en oncologie, dans les maladies neurodégénératives, dans les maladies inflammatoires et dans les maladies virales. 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 publiés par AB Science. 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

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