



LA MOLECULE AB8939 OBTIENT LA DESIGNATION DE MEDICAMENT ORPHELIN DANS L'UNION EUROPEENNE AUPRES DE L'AGENCE EUROPEENNE DES MEDICAMENTS (EMA) DANS LE TRAITEMENT DE LA LEUCEMIE MYELOÏDE AIGUE

Paris, 23 avril 2025, 18h45

AB Science SA (Euronext - FR0010557264 - AB) annonce aujourd'hui que la molécule AB8939 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 leucémie myéloïde aigue (LMA).

La molécule AB8939 avait déjà obtenu la désignation de médicament orphelin auprès de la Food and Drug Administration (FDA) américaine dans la LMA.

Cette obtention de désignation de médicament orphelin dans l'Union Européenne est une étape importante car cela signifie que le COMP a considéré que la molécule AB8939 présentait un bénéfice significatif pour les personnes atteintes de cette affection en plus des traitements existants.

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 :

- Il ne doit exister aucune méthode satisfaisante de diagnostic, de prévention ou de traitement de l'affection concernée, ou, si une telle méthode existe, le médicament doit présenter un bénéfice significatif pour les personnes atteintes de cette affection.
- La demande de désignation de médicament orphelin étant basée sur une hypothèse de bénéfice significatif, une comparaison avec les traitements autorisés est nécessaire.
- Un bénéfice significatif signifie qu'un médicament produit un avantage cliniquement pertinent ou apporte une contribution majeure aux soins prodigués aux patients, par rapport aux méthodes existantes pour traiter la pathologie. Ainsi, la désignation de médicament orphelin est attribuée à un produit qui améliorera le traitement actuel des patients, après avoir pris en considération les autres options disponibles.
- 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.

A l'appui du bénéfice significatif de l'AB8939 dans la LMA, AB Science a communiqué les données précliniques issues de modèles murins démontrant un bénéfice significatif du traitement par AB8939 par rapport aux thérapies actuelles, telles que la cytarabine, l'azacitidine (Vidaza®) et le venetoclax (Venclexta®), avec :

- Une efficacité sur les cellules résistantes : AB8939 parvient à avoir un effet sur les cellules cancéreuses (blastes) de patients atteints de LMA, même lorsque ces cellules résistent à d'autres médicaments comme la vincristine ou la cytarabine. Par exemple, 45 % des cellules résistantes à la vincristine et 66 % de celles résistantes à la cytarabine répondent encore à AB8939, y compris dans des cas graves avec des mutations génétiques complexes (MECOM, TD53).

- Des résultats probants dans des modèles de xéno greffe dérivée de patient atteints de LMA réfractaire : Dans ces modèles de souris imitant la LMA humaine, AB8939 réduit les tumeurs et prolonge la survie, même quand les cellules sont résistantes à la cytarabine.
- Un effet additif avec les traitements de référence : Lorsqu'il est utilisé avec d'autres traitements (citarabine, Vidaza® ou venetoclax), AB8939 améliore encore les résultats. Par exemple, avec venetoclax, il élimine les cellules cancéreuses dans le sang, la rate et la moelle osseuse, sans effets secondaires graves.
- Par ailleurs, contrairement à venetoclax, AB8939 ne cause pas de toxicité pour le sang (hématotoxicité) et semble agir en synergie avec d'autres traitements, ce qui renforce son efficacité.

AB Science a en outre présenté les données préliminaires d'efficacité et de tolérance de la phase 1 de l'AB8939 en monothérapie, avec un cycle de 3 jours de traitement (étape 1 de la phase 1) et un cycle de 14 jours de traitement (étape 2 de la phase 1).

Le Professeur Olivier Hermine, Président du Comité Scientifique d'AB Science, membre de l'Académie des Sciences et Chef du Service d'Hématologie de l'Hôpital Necker a commenté : « Cette désignation témoigne du potentiel de l'AB8939 pour le traitement des LMA. En effet, l'AB8939 a montré une activité en monothérapie sur des lignées des patients résistants à l'Ara-C, y compris dans des situations génétiques défavorables (mutations MECOM, TP53) qui ont résisté à tous les traitements administrés jusqu'à présent, ainsi qu'un effet synergique avec les traitements de référence Vidaza® et Venclaxta®. La phase 1 en cours va à présent permettre d'évaluer la combinaison de l'AB8939 avec ces traitements de référence chez les patient réfractaires ».

À propos de AB8939

AB8939 est une nouvelle molécule synthétique qui cible conjointement les cellules cancéreuses, en déstabilisant les microtubules, indispensable à la division cellulaire, et les cellules souches cancéreuses, en inhibant des enzymes (ALDH1A1 et ALDH2) essentielles pour le maintien de leur état physiologique et leur survie. La molécule '1- {4- [2- (5-éthoxyméthyl-2-méthylphénylamino) -oxazol-5-yl] phényl} imidazolidine-2-one' est l'appellation chimique de AB8939. La propriété intellectuelle de la molécule AB8939 est détenue à 100% par AB Science.

À 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), ou pour lesquels il doit être peu probable que la commercialisation du médicament génère des recettes suffisantes pour justifier l'investissement nécessaire à son développement. En outre, il ne doit exister aucune méthode satisfaisante de diagnostic, de prévention ou de traitement de l'affection concernée, ou, si une telle méthode existe, le médicament doit présenter un bénéfice significatif pour les personnes atteintes de cette affection.

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.

En février 2018, l'EMA a publié un document sous forme de questions-réponses afin de dissiper les malentendus courants concernant la signification de la désignation « médicament orphelin » et d'autres aspects liés aux médicaments orphelins :

https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/rare-diseases-orphan-medicines-getting-facts-straight_en.pdf

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

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