



Paris, 24 octobre 2019, 19h

AB Science obtient l'autorisation de démarrer l'étude confirmatoire de phase 3 du masitinib dans la mastocytose systémique indolente

AB Science tiendra une web conférence sur le masitinib dans la mastocytose systémique indolente avec les principaux leaders d'opinion, le 20 novembre 2019

AB Science SA (NYSE Euronext - FR0010557264 - AB) annonce aujourd'hui avoir obtenu l'autorisation de l'Agence française du médicament, l'ANSM d'initier l'étude confirmatoire de phase 3 évaluant le masitinib dans la mastocytose systémique indolente.

Cette étude (AB15003) est une étude de phase 3 multicentrique, randomisée, à double aveugle, contrôlée par placebo, visant à comparer l'efficacité et la tolérance du masitinib jusqu'à la dose de 6 mg/kg/ jour à celle du placebo dans le traitement de patients atteints de mastocytose systémique indolente sévère et ne répondant pas aux traitements symptomatiques donnés à l'optimal.

L'étude est conçue pour inclure 140 patients présentant ou non la mutation D816V de c-Kit. Le critère principal de l'étude est une mesure de la réponse cumulée sur 3 symptômes sévères associés à la libération de médiateurs de mastocytes (prurit, bouffées de chaleur et dépression) de la semaine 8 à la semaine 24. Les critères secondaires mesureront la réponse aux symptômes sévères de prurit, bouffées de chaleur, dépression et fatigue, pris ensemble et individuellement, la qualité de vie, ainsi que des paramètres biologiques (tryptase) et cutanés. Selon ce protocole, les symptômes sévères liés à la libération de médiateurs de mastocytes (également appelés handicaps) sont définis comme suit : prurit (score ≥ 9), bouffées de chaleur (score ≥ 8), dépression (HAMD-17 ≥ 19) et fatigue (FIS ≥ 75 ou FSS ≥ 36).

Alain Moussy, président et cofondateur d'AB Science, a déclaré : « *Nous sommes déterminés à faire du masitinib la première option thérapeutique pour les patients atteints de mastocytose systémique indolente et nous sommes extrêmement satisfaits de cette autorisation d'initier cette étude de phase 3, qui est une étape clé du programme de développement du masitinib dans cette indication* ».

« *Les résultats de notre précédente étude de phase 3 ayant recruté 135 patients, qui ont été publiés dans la revue The Lancet, ont montré que le masitinib peut considérablement réduire les symptômes sévères associés à la mastocytose systémique indolente, quel que soit le statut mutationnel de c-Kit du patient* », a déclaré le professeur Olivier Hermine, MD., président du comité scientifique d'AB Science et coordinateur du centre de référence pour la mastocytose (CeReMast, Paris, France). « *De plus, les données d'efficacité et de tolérance du masitinib indiquent la possibilité d'un traitement sur le long terme de cette maladie difficile à traiter. Cette observation est importante dans la mesure où la mastocytose systémique indolente est une maladie chronique qui nécessite une prise en charge à vie* ».

Les propriétés anti-mastocytaires du masitinib semblent particulièrement bien adaptées au traitement de la mastocytose systémique indolente. Une réduction de l'activité des mastocytes est générée via son action inhibitrice sur les tyrosines kinases c-Kit, Lyn et Fyn. C'est grâce à ce mécanisme d'action à propriétés multiples, qui est une caractéristique non observée avec les autres inhibiteurs de c-Kit, que le masitinib peut induire une réponse chez les patients présentant ou non la mutation D816V de c-Kit.

Une conférence web se tiendra le 20 novembre 2019 avec le management d'AB Science ainsi que des experts reconnus de la mastocytose afin de présenter en détail la maladie, les programmes de développement actuels, ainsi que les résultats et le design du programme du masitinib dans la mastocytose systémique indolente.

A propos de la mastocytose systémique indolente

La mastocytose systémique indolente est une maladie hématologique caractérisée par un nombre anormalement élevé de mastocytes et leur activation dans la moelle osseuse et dans d'autres organes. La maladie est caractérisée par de multiples symptômes invalidants, qui sont parfois mortels. Les symptômes de la mastocytose indolente systémique sont principalement associés à des troubles neurologiques (dépression, fatigue, troubles cognitifs, maux de tête), des problèmes à la peau (prurit, lésions cutanées), à des bouffées de chaleur et à des troubles gastro-intestinaux. La mastocytose indolente systémique affecte environ 40 000 personnes en Europe et 25 000 aux États-Unis. Actuellement, il n'y a pas de médicament enregistré dans le traitement de la mastocytose indolente systémique.

Désignation de médicament orphelin et statut de propriété intellectuelle

Le masitinib a obtenu la désignation de médicament orphelin auprès de l'EMA et de la FDA dans la mastocytose. L'utilisation du masitinib dans la mastocytose systémique indolente est protégée par un brevet jusqu'en 2031 aux États-Unis (brevet délivré) et jusqu'en 2036 en dehors des États-Unis (brevet en attente).

Précédentes publications du masitinib dans la mastocytose indolente systémique

- 1) Lancet 2017. *Masitinib for treatment of severely symptomatic indolent systemic mastocytosis: a randomised, placebo-controlled, phase 3 study.* Lortholary O, et al. DOI:[http://dx.doi.org/10.1016/S0140-6736\(16\)31403-9](http://dx.doi.org/10.1016/S0140-6736(16)31403-9),
- 2) PLoS One. 2011. *Depression in patients with mastocytosis: prevalence, features and effects of masitinib therapy.* Moura DS, et al. doi: 10.1371/journal.pone.0026375. Epub 2011 Oct 21.
- 3) Am J Hematol. 2010. *Masitinib for the treatment of systemic and cutaneous mastocytosis with handicap: a phase 2a study.* Paul C, et al. doi: 10.1002/ajh.21894.

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.

AB Science a développé en propre un portefeuille de molécule 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 et dans les maladies inflammatoires. 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