



AB SCIENCE ANNONCE UNE NOUVELLE PUBLICATION SUR MEDRXIV DÉMONTRANT DES BÉNÉFICES SUBSTANTIELS EN TERMES DE SURVIE ET DE QUALITÉ DE VIE PRÉSERVÉE AVEC LE MASITINIB CHEZ LES PATIENTS ATTEINTS DE SCLÉROSE LATÉRALE AMYOTROPHIQUE

- **Le traitement par masitinib est associé à un taux de survie à 5 ans de 42,3 % à compter de l'apparition des symptômes de la maladie, soit un doublement par rapport aux références historiques**
- **Le taux de survie à 5 ans à compter de l'apparition de la maladie a atteint 52,9 % chez un sous-groupe de patients atteints de SLA n'ayant pas connu de perte totale de fonctionnalité préalable, soulignant l'importance d'une intervention précoce**
- **Parmi les survivants à long terme (patients ayant atteint le cap des 5 ans de survie à compter de l'apparition des symptômes), 49 % ont conservé une qualité de vie satisfaisante, sans avoir besoin d'assistance mécanique, telle que la ventilation, la gastrostomie, la trachéotomie ou le recours à un fauteuil roulant**
- **Une survie globale médiane de 121 mois a été observée chez les survivants à long terme traités par masitinib, contre 42 mois prévus pour cette cohorte par le modèle ENCALs, ce qui se traduit par un gain de survie médiane résiduelle de 79 mois**

Paris, le 20 avril 2026, 21h

AB Science SA (Euronext - FR0010557264 - AB) a annoncé la publication d'un nouvel article sur la plateforme de prépublication medRxiv, évaluant les survivants à long terme de la sclérose latérale amyotrophique (SLA) traités par le masitinib à la dose de 4,5 mg/kg/jour dans l'étude de phase 2b/3 AB10015. L'article, intitulé « Évaluation des survivants à long terme de la sclérose latérale amyotrophique », est accessible gratuitement en ligne sur le site web de medRxiv [1].

Le Dr Albert Ludolph, auteur principal et professeur émérite de neurologie à l'université d'Ulm, a déclaré : « *Cette analyse des survivants à long terme de l'étude AB10015 semble révéler un avantage de survie substantiel et cliniquement significatif pour les patients atteints de SLA traités par le masitinib par rapport aux références historiques. Plus important encore, la moitié de ces survivants à long terme ont conservé une bonne qualité de vie, ce qui souligne que l'allongement de la survie ne se fait pas nécessairement au détriment de leur autonomie fonctionnelle. Des preuves confirmatoires supplémentaires seront cruciales pour transposer ces résultats prometteurs dans la pratique clinique.* »

Le professeur Olivier Hermine, MD, président du comité scientifique d'AB Science et coauteur de cet article, a commenté : « *Ces données de survie à 5 ans montrent que le mécanisme d'action du masitinib, qui cible l'activité des microglies et des mastocytes, pourrait bien se traduire par un bénéfice clinique significatif. Il convient notamment de noter que l'observation selon laquelle la survie à long terme semble largement indépendante de la plupart des facteurs pronostiques de la SLA à l'inclusion indique la présence d'une sous-population spécifique de patients chez lesquels l'activité des microglies et des mastocytes joue un rôle significatif. Cette compréhension mécanistique suggère qu'un nouveau biomarqueur pourrait aider à identifier les patients les plus susceptibles de répondre au masitinib, ce qui permettrait potentiellement une sélection plus précise des patients et de meilleurs résultats thérapeutiques.* »

L'analyse s'est concentrée sur les patients recevant du masitinib à raison de 4,5 mg/kg/jour dans le cadre de l'étude AB10015, un essai international de phase 2b/3 randomisé et contrôlé par placebo [2]. Cette analyse a comparé les données de survie observées à des prévisions sur la base du modèle ENCALs ainsi que des comparables historiques, et démontre le potentiel du masitinib à prolonger la survie chez les patients atteints de SLA. L'analyse des survivants à long terme a révélé des bénéfices cliniques remarquables, certains patients ayant atteint une survie nettement plus longue que celle prédite par les modèles pronostiques actuels.

Le masitinib est un inhibiteur de tyrosine kinase ciblant l'activité des microglies et des mastocytes dans la pathogenèse de la SLA, offrant un potentiel neuroprotecteur. L'analyse a indiqué que les survivants à long terme étaient largement indépendants des divers facteurs pronostiques de base de la SLA, suggérant l'existence d'une sous-population de patients dont l'évolution est déterminée par l'activité des microglies et des mastocytes. Si tel est le cas, la récente découverte d'un potentiel biomarqueur plasmatique permettant de détecter l'effet du masitinib sur les microglies pro-inflammatoires pathologiques [3] pourrait faciliter l'identification précoce des patients atteints de SLA les plus susceptibles d'atteindre une survie à long terme.

Les principales conclusions et messages de cette étude sont les suivants :

- **Amélioration des taux de survie à 5 ans** : le taux de survie à 5 ans à compter de l'apparition de la maladie a atteint 42,3 % chez l'ensemble des 130 patients traités par masitinib à raison de 4,5 mg/kg/jour, passant à 50 % chez les patients présentant une progression plus lente de la maladie (taux de progression ALSFRS-R < 1,1 point/mois) et à 52,9 % chez ceux qui ne présentaient aucune perte totale de fonction à l'inclusion. Ces résultats dépassent les références historiques, qui variaient entre 7 % et 27,8 % (moyenne pondérée d'environ 23,5 %).
- **Retard du recours à une assistance mécanique** : la moitié des survivants à long terme ont conservé une qualité de vie satisfaisante, définie par l'absence de besoin d'assistance mécanique telle que la ventilation, la gastrostomie, la trachéotomie ou la dépendance à un fauteuil roulant.
- **Gain substantiel en termes de survie médiane** : parmi les survivants à long terme traités par masitinib (n = 55), la survie globale médiane était de 121 mois, contre 42 mois prévus par le modèle ENCALs, ce qui représente un gain de survie médiane résiduelle de 79 mois.
- **Bénéfices chez divers types de patients** : les survivants à long terme présentaient différents facteurs pronostiques de la SLA, y compris avec une progression lente ou modérée de la maladie, une atteinte fonctionnelle modérée ou sévère, un site d'apparition bulbaire ou spinal, une fonction respiratoire variable et des âges différents.
- **Identification d'une sous-population** : Le fait que les survivants à long terme soient largement indépendants des facteurs pronostiques traditionnels de la SLA suggère l'existence d'une sous-population spécifique dont la progression de la maladie est principalement déterminée par l'activité des microglies et/ou des mastocytes.

Étude AB23005 sur le masitinib dans la SLA

L'étude AB23005 est une étude prospective, multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo, à deux bras, menée chez des patients atteints de sclérose latérale amyotrophique (SLA), visant à confirmer l'efficacité et la tolérance du masitinib (à une dose de 4,5 mg/kg/jour en association avec le riluzole) par rapport au riluzole associé à un placebo après 48 semaines de traitement. L'étude inclura 408 patients (randomisés selon un rapport 1:1) atteints de SLA, présentant une progression normale de la maladie (c'est-à-dire un déclin fonctionnel inférieur à 1,1 point par mois) et ne souffrant pas d'une perte totale de fonction (c'est-à-dire un score d'au moins 1 pour chacun des 12 items de l'échelle ALSFRS-R). Les patients

américains recevant de l'édaravone seront également éligibles pour participer à l'étude, l'utilisation de ce médicament constituant un facteur de stratification.

Références

[1] Albert C Ludolph, Terry Heiman-Patterson, Jesus S Mora, Gabriel Rodriguez, Natalia Bohorquez Morera, Patrick Vermersch, Alain Moussy, Colin Mansfield, Olivier Hermine. Évaluation des survivants à long terme de la sclérose latérale amyotrophique traités par masitinib dans l'étude AB10015. medRxiv 2026.04.10.26350104 ; doi : <https://doi.org/10.64898/2026.04.10.26350104>

[2] Mora JS, Genge A, Chio A, et al. Le masitinib en tant que traitement d'appoint au riluzole chez les patients atteints de sclérose latérale amyotrophique : un essai clinique randomisé. Amyotroph Lateral Scler Frontotemporal Degener. 2020;21(1-2):5-14. doi:10.1080/21678421.2019.1632346

[3] Communiqué de presse d'AB Science du 24/02/2026 – <https://www.ab-science.com/category/news/2026/>

À propos de MedRxiv

MedRxiv (prononcé « med-archive ») est un service gratuit d'archivage et de diffusion en ligne de prépublications non publiées dans le domaine des sciences de la vie. Lancée pour accélérer la communication et la collaboration au sein de la communauté médicale, la plateforme offre un accès anticipé à des études importantes avant leur évaluation par les pairs, aidant ainsi les chercheurs, les cliniciens et les responsables de la santé publique à se tenir informés des nouvelles données scientifiques.

À propos du masitinib

Le masitinib est un inhibiteur de tyrosine kinase administré par voie orale qui cible les mastocytes et les macrophages, des cellules importantes pour l'immunité, en inhibant un nombre limité de kinases. Grâce à son mécanisme d'action unique, le masitinib peut être développé pour traiter un grand nombre de pathologies en oncologie, dans les maladies inflammatoires et dans certaines maladies du système nerveux central. En oncologie, grâce à son effet immunothérapeutique, le masitinib peut avoir un impact sur la survie, seul ou en association avec une chimiothérapie. Grâce à son action sur les mastocytes et les microglies, et par conséquent à l'inhibition de l'activation du processus inflammatoire, le masitinib peut avoir un effet sur les symptômes associés à certaines maladies inflammatoires et du système nerveux central, ainsi que sur la dégénérescence liée à ces maladies.

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 (PKI), une classe de protéines ciblées dont l'action est essentielle dans les voies de signalisation au sein des cellules. Nos programmes ciblent exclusivement des maladies présentant des besoins médicaux non satisfaits importants, souvent mortelles avec une survie à court terme, ou rares, ou encore réfractaires aux traitements antérieurs.

AB Science a développé un portefeuille exclusif de molécules et le composé phare de la société, le masitinib, a déjà été homologué en médecine vétérinaire et est développé en médecine humaine dans les domaines de l'oncologie, des maladies neurologiques, des maladies inflammatoires et des maladies virales. La société a son siège social à Paris, en France, et est cotée sur Euronext Paris (symbole boursier : AB).

Pour plus d'informations, consultez le site web d'AB Science : www.ab-science.com.

Déclarations prospectives - AB Science

Le présent communiqué de presse contient des déclarations prospectives. Ces déclarations ne constituent pas des faits historiques. Elles comprennent des projections et des estimations, ainsi que les hypothèses sur lesquelles elles reposent, des déclarations fondées sur des projets, des objectifs, des intentions et des attentes concernant les résultats financiers, les événements, les opérations, les services futurs, le développement de produits et leurs performances potentielles ou futures.

Ces déclarations prospectives peuvent souvent être identifiées par les mots « s'attendre à », « anticiper », « croire », « avoir l'intention de », « estimer » ou « prévoir », ainsi que par d'autres termes similaires. Bien qu'AB Science estime que ces déclarations prospectives sont raisonnables, les investisseurs sont avertis que ces déclarations prospectives sont soumises à de nombreux risques et incertitudes difficiles à prévoir et généralement hors du contrôle d'AB Science, et qui peuvent impliquer que les résultats et les événements réels diffèrent sensiblement de ceux exprimés, suggérés ou anticipés dans les informations et déclarations prospectives d'. Ces risques et incertitudes comprennent les incertitudes liées au développement des produits de la Société, qui pourrait ne pas aboutir, ou aux autorisations de mise sur le marché accordées par les autorités compétentes ou, plus généralement, à tout facteur susceptible d'affecter la capacité de commercialisation des produits développés par AB Science, ainsi que ceux développés ou identifiés dans les documents publics publiés par AB Science. AB Science décline toute obligation ou engagement de mettre à jour les informations et déclarations prospectives, sous réserve des réglementations applicables, en particulier les articles 223-1 et suivants du Règlement général de l'AMF.

Pour plus d'informations, veuillez contacter :

AB Science

Communication financière et relations avec les médias

investors@ab-science.com