



Paris, 30 Septembre 2014, 17h45

**Le Comité Indépendant de Revue des Données  
recommande la poursuite de l'étude de phase 3 du masitinib  
dans le traitement de la mastocytose sur la base des dernières  
données d'efficacité et de tolérance**

**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 que le Comité Indépendant de Revue des Données (Data and Safety Monitoring Board, DSMB), créé dans le cadre de l'étude clinique pivot évaluant le masitinib dans le traitement de la mastocytose, a recommandé la poursuite de l'étude, sur la base des dernières données d'efficacité et de tolérance.

Cette nouvelle recommandation conforte la précédente recommandation du Comité de Novembre 2013, qui préconisait la poursuite de l'étude de phase 3 sur la base des résultats de l'analyse de futilité évaluant la capacité du masitinib à démontrer sa supériorité par rapport au placebo sur l'analyse primaire définie au protocole.

L'objectif de cette étude de phase 3 est de comparer la tolérance et l'efficacité du masitinib à un placebo chez des patients adultes atteints de mastocytose systémique indolente avec handicap sévère à l'inclusion.

Les résultats finaux de l'étude de phase 3 sont attendus en 2015.

Pr. Oliver Hermine, président du comité scientifique d'AB Science a indiqué que "la mastocytose est particulièrement pertinente dans le cadre du développement clinique du masitinib, qui a été conçu pour cibler les mastocytes de façon sélective. Le développement du masitinib dans les troubles inflammatoires et neurologiques est basé sur l'hypothèse que les mastocytes jouent un rôle majeur dans l'organisation et l'activation de l'inflammation, en participant directement à la destruction des tissus ainsi qu'au recrutement et à l'activation des autres cellules de l'immunité.

Dans la mastocytose, les patients présentent plusieurs symptômes liés à l'activation des mastocytes et à la libération de médiateurs, tels que des troubles gastro-intestinaux, des bouffées de chaleur, des douleurs musculaires et osseuses mais aussi des troubles neurologiques, tels que la dépression ou l'altération des fonctions cognitives. La démonstration de l'efficacité du masitinib dans la réduction des symptômes sévères associés à la mastocytose peut permettre d'établir un lien direct entre la présence de symptômes et l'activation des mastocytes, et le bénéfice clinique de cibler les mastocytes ».

La mastocytose est une maladie orpheline caractérisée par une prolifération anormale des mastocytes, soit dans la moelle osseuse uniquement ou dans de nombreux tissus. Il existe deux formes principales de mastocytose : indolente et agressive. La mastocytose indolente peut être cutanée ou systémique. La Mastocytose Indolente Systémique affecte principalement les adultes et sa prévalence est estimée entre 1/40 000 et 1/20 000<sup>1</sup> de la population globale. Les symptômes et les handicaps sont sévères chez environ un tiers des patients, d'où une population cible estimée pour le masitinib allant de 1/120 000 à 1/60 000 de la population globale.

<sup>1</sup> <http://www.orpha.net> (Indolent systemic mastocytosis)

La prévalence de la Mastocytose Indolente Systémique étant considérée comme uniforme dans le monde, la taille de population cible pour le masitinib pourrait atteindre un total de 20 000 patients adultes par an.

La mastocytose systémique indolente est une maladie orpheline pour laquelle il n'existe à ce jour aucun traitement homologué.

Le masitinib a reçu la désignation de médicament orphelin dans la mastocytose, par l'EMA et la FDA.

#### **Précédentes études dans la mastocytose avec le masitinib**

Deux études de phase 2 ont été réalisées sur un total de 46 patients, dans deux sous-groupes de patients souffrant de mastocytose indolente avec handicap : une première étude chez des patients sans la mutation c-kit 816 et une deuxième étude chez des patients avec la mutation c-kit 816.

Le masitinib a diminué la fréquence de flush de 54% par rapport au point de référence, a diminué le score prurit de 45%, a amélioré l'état de dépression de 40% et a diminué le score de fatigue de 52% par rapport au départ. Les deux études étant cohérentes entre elles en dépit du fait que la première concerne des patients sans la mutation c-kit 816 et la seconde avec cette mutation, ce qui suggère que le masitinib agit en inhibant non seulement c-Kit, mais aussi Lyn, pour bloquer la libération des médiateurs par le mastocyte.

En outre, le suivi à long terme des données des deux études de phase 2 démontre la pérennité des réponses déclenchées par le masitinib. Les deux tiers des patients ont décidé de participer à l'extension de l'étude, 61% d'entre eux sont traités depuis plus d'un an, et 25% sont encore traités au masitinib après 5 ans.

#### **À propos du masitinib**

Le masitinib est un nouvel inhibiteur de tyrosine kinase, administré par voie orale, bloquant une cible cellulaire, le mastocyte, cellule clé de l'immunité, et un nombre limité de kinases jouant un rôle clé dans certains cancers. En raison de son mode d'action original, le masitinib peut être développé dans un grand nombre de pathologies, en oncologie, dans les maladies inflammatoires, et certaines maladies du système nerveux central. Par son activité d'inhibiteur de certaines kinases essentielles dans certains processus oncogéniques, le masitinib peut avoir un effet sur la régression tumorale, seul ou en association avec la chimiothérapie. Par son activité sur le mastocyte et sur certaines kinases essentielles à l'activation des cellules inflammatoires et le remodelage tissulaire fibrosant, 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 de nouvelles thérapies ciblées pour les patients atteints de cancer ou d'autres pathologies importantes avec un besoin médical non satisfait, y compris des maladies inflammatoires et des maladies du système nerveux central.

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 treize phases 3 chez l'homme, dans le GIST en 1<sup>er</sup> ligne et en 2<sup>nd</sup> ligne de traitement, le mélanome métastatique exprimant la mutation c-Kit JM, le myélome multiple, le cancer colorectal métastatique, le cancer de la prostate métastatique, le cancer du pancréas, la mastocytose, l'asthme sévère persistant, la polyarthrite rhumatoïde, la maladie d'Alzheimer, la sclérose en plaques dans ses formes progressives, et la sclérose latérale amyotrophique. 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)

*Le présent document contient des informations prospectives. Aucune garantie ne peut être donnée quant à la réalisation de ces prévisions qui sont soumises à des risques dont ceux décrits dans les documents déposés par la Société auprès de l'Autorité des marchés financiers, à l'évolution de la conjoncture économique, des marchés financiers et des marchés sur lesquels AB Science est présente.*

\* \* \*

*AB Science - Communication financière & Relations Presse  
investors@ab-science.com*