



COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Le traitement Tadekinig alfa d'AB2 Bio obtient le statut de traitement novateur (Breakthrough Therapy Designation, BTD) de la Food and Drug Administration (FDA) américaine pour le traitement de maladies auto-inflammatoires et monogéniques associées à l'interleukine 18 (IL-18) avec inflammation systémique en phase active.

De plus, AB2 Bio obtient le statut de médicament orphelin (Orphan Drug Designation, ODD) de la FDA pour le traitement de la lymphohistiocytose hémophagocytaire (LHL).

- **Le statut de traitement novateur reconnaît les bénéfices thérapeutiques potentiels majeurs de Tadekinig alfa (IL-18BP) dans le traitement de maladies auto-inflammatoires sévères et potentiellement mortelles**
- **Les statuts BTD et ODD de la FDA soutiennent le développement accéléré de Tadekinig alfa**

Lausanne (Suisse), le 3 avril 2017. La société de biotechnologie suisse AB2 Bio SA, spécialisée dans le développement de thérapies innovantes pour le traitement de maladies auto-inflammatoires systémiques graves, a annoncé aujourd'hui que la Food and Drug Administration (FDA) américaine a accordé le statut de traitement novateur (BTD) à Tadekinig alfa pour le traitement de maladies auto-inflammatoires et monogéniques associées à IL-18 avec inflammation systémique en phase active.

La FDA a également accordé le statut de médicament orphelin (ODD) à Tadekinig alfa pour le traitement de la lymphohistiocytose hémophagocytaire (LHL).

Dr. Andrew Sleight, CEO d'AB2 Bio SA, a déclaré: «Le statut de traitement novateur souligne le potentiel de Tadekinig alfa de fournir aux patients souffrant de ces maladies potentiellement mortelles les options thérapeutiques dont ils ont tant besoin. Nous nous réjouissons de travailler étroitement avec la FDA afin d'apporter ce médicament potentiellement bénéfique à des patients gravement malades.»

Dr. Andrew Sleight, CEO d'AB2 Bio SA, a ajouté: «Nous sommes également très heureux que, après l'octroi du statut de médicament orphelin par l'Agence européenne des médicaments (EMA) en novembre 2016, la FDA ait également octroyé le statut de médicament orphelin à Tadekinig alfa pour le traitement de la lymphohistiocytose hémophagocytaire (LHL).»

Statuts de traitement novateur et de médicament orphelin pour Tadekinig alfa

Lors du Congrès annuel de l'American College of Rheumatology en novembre 2015, a eu lieu la présentation du cas d'un nourrisson gravement malade portant une mutation du gène NLRC4 et traité avec succès avec IL-18BP dans le cadre d'un usage compassionnel. Suite à ce succès thérapeutique, AB2 Bio va initier une étude clinique pivot de Phase III chez des patients présentant la même pathologie.

Les mutations du gène NLRC4 sont des maladies auto-inflammatoires et monogéniques associées à IL-18 et sont classifiées comme sous-groupe de maladies LHL. Le statut de traitement novateur couvre cette maladie ainsi que d'autres pathologies telles que les carences de la protéine XIAP. Ce statut vise à accélérer le développement et les délais de revue de nouveaux médicaments destinés à traiter des maladies graves ou potentiellement mortelles lorsque des preuves cliniques préliminaires



indiquent qu'un médicament est susceptible d'apporter une amélioration substantielle par rapport aux traitements existants.

A propos du statut de traitement novateur

Le statut de traitement novateur (BTD) de la FDA vise à accélérer le développement et les délais de revue d'un candidat-médicament destiné au traitement d'une maladie grave ou potentiellement mortelle lorsque des preuves cliniques préliminaires indiquent que le médicament est susceptible d'apporter une amélioration substantielle, sur un ou plusieurs critères significatifs d'évaluation sur le plan clinique, par rapport aux traitements existants. Les avantages du statut de médicament novateur sont notamment l'éligibilité à une revue continue des données, à une revue prioritaire, et un dialogue plus intensif et interactif avec des cadres supérieurs de la FDA pour un programme efficace de développement du médicament.

A propos du statut de médicament orphelin

Pour recevoir le statut de médicament orphelin de la FDA, un médicament doit être destiné au traitement d'une maladie ou d'un trouble touchant moins de 200 000 personnes aux Etats-Unis. Le statut de médicament orphelin offre des avantages conçus pour favoriser le développement de médicaments, notamment l'assistance à l'élaboration des protocoles d'études cliniques et sept ans d'exclusivité de marché aux Etats-Unis dès l'octroi de l'autorisation de mise sur le marché pour l'indication désignée.

A propos de la lymphohistiocytose hémophagocytaire (LHL)

La LHL et les troubles associés sont des pathologies auto-inflammatoires systémiques graves potentiellement mortelles. Les personnes atteintes de LHL développent habituellement des symptômes dans les premiers mois ou les premières années de vie, tels que: fièvre, pancytopenie, coagulopathie et hémophagocytose. Ces troubles peuvent être soit héréditaires (génétiques) soit secondaires à d'autres pathologies comme certaines maladies inflammatoires, infectieuses ou tumorales. La LHL est liée à une activation exagérée des macrophages. Un aspect essentiel du profil thérapeutique de Tadekinig alfa est qu'il cible spécifiquement une des principales causes de la LHL en contrôlant les macrophages et en les empêchant de se suractiver.

A propos d'Interleukin-18 Binding Protein (IL-18BP), un traitement sûr et potentiellement décisif des maladies auto-inflammatoires graves

Bien qu'une réponse inflammatoire limitée dans le temps soit un mécanisme naturel destiné à limiter les lésions causées au corps humain, les processus inflammatoires excessifs et persistants sont la base de plusieurs maladies inflammatoires et auto-immunes chroniques. IL-18BP est une protéine humaine endogène présentant une haute affinité pour IL-18, une cytokine qui joue un rôle important dans les phénomènes inflammatoires. Chez les personnes en bonne santé, les taux d'IL-18BP sont largement excédentaires, permettant de maintenir à un faible niveau les taux d'IL-18 libre. Cependant, chez les patients présentant certaines maladies inflammatoires, l'équilibre IL-18/IL-18BP est rompu, ce qui se traduit par des niveaux élevés d'IL-18 libre avec pour conséquence une réponse inflammatoire pathologique. L'administration de la protéine de liaison recombinante humaine IL-18BP d'AB2 Bio rétablit l'équilibre IL-18/IL-18BP, éliminant l'IL-18 libre et réduisant ainsi l'inflammation. De plus, AB2 Bio a développé le premier test propriétaire détectant l'IL-18 libre et permettant l'identification de maladies provoquées par un excès d'IL-18 libre. Les patients présentant des niveaux élevés d'IL-18 libre pouvant ainsi être identifiés, l'impact clinique du traitement avec IL-18BP en sera maximisé. En outre, les patients non susceptibles de répondre au



traitement ne seront pas inutilement exposés à un traitement sans efficacité pour eux. Les résultats des études cliniques de Phase I, Ib et II ont démontré qu'IL-18BP est très bien toléré et a un excellent profil d'innocuité.

A propos d'AB2 Bio SA

AB2 Bio SA, installée dans le Parc de l'Innovation de l'École polytechnique fédérale de Lausanne (EPFL) en Suisse, est spécialisée dans le développement de traitements contre les maladies auto-inflammatoires. Elle met au point des médicaments qui non seulement traiteront les symptômes mais cibleront aussi les causes sous-jacentes des maladies d'origine inflammatoire.

AB2 Bio est en train d'initier une étude clinique pivot de Phase III auprès de patients portant des mutations du gène NLRC4 ou du gène XIAP. De plus, AB2 Bio vient de terminer une étude clinique de Phase II sur la maladie de Still de l'adulte et les données cliniques sont en cours d'analyse. Pour plus d'informations, rendez-vous sur www.ab2bio.com.

Contact pour les médias

Stefan Mathys, Partner IRF Communications AG, téléphone +41 43 244 81 49, stefan.mathys@irfcom.ch