



Advanced BioDesign annonce des premiers résultats exceptionnels chez l'homme de son traitement innovant contre la Leucémie Myéloïde Aigüe

- **Le candidat-médicament ABD-3001 est une forme galénique du DIMATE, un inhibiteur suicide first-in-class des aldéhydes déshydrogénases 1 (ALDH1), testé chez des patients en rechute dont les options thérapeutiques sont limitées.**
- **Les données préliminaires de l'étude First-in-human ODYSSEY démontrent qu'ABD-3001 a été bien toléré ; une activité du candidat médicament sur sa cible, mais aussi d'une activité biologique avérée, ont été observées à toutes les doses testées.**
- **Des signaux préliminaires d'efficacité ont été observés chez plus de 65% des patients traités, dont deux qui ont bénéficié d'un effet à long terme du traitement.**
- **Ces résultats ouvrent la voie à la seconde phase de l'essai ODYSSEY au cours de laquelle trois cohortes de patients devraient recevoir des cycles de traitement complet de trois mois, permettant d'obtenir des premiers résultats d'efficacité.**

Lyon (France), le 4 juin 2024 - Advanced BioDesign, société de biotechnologie spécialisée dans le développement de nouvelles approches thérapeutiques contre les cancers résistants, dévoile les premières données de l'étude first-in-human ODYSSEY, visant à traiter la leucémie aigüe myéloïde (LAM) avec le candidat médicament ABD-3001.

« Nous sommes très heureux de démontrer la bonne tolérance et la sécurité d'emploi de notre candidat médicament ABD-3001 dans le cadre de cette étude de Phase I/II chez des patients atteints de LAM et résistants aux traitements standards. Les objectifs de cette première partie ont été atteints, et ont même dépassé nos espérances. En effet, nous avons observé une activité de notre candidat médicament sur sa cible d'intérêt, l'ALDH1, mais aussi l'observation d'une activité biologique et ceci à toutes les doses évaluées. Ces résultats sont très encourageants et nous permettent de débiter avec enthousiasme la deuxième phase de cette étude, au cours de laquelle plusieurs cycles de traitements seront évalués à des régimes de doses optimisés afin de confirmer le positionnement d'ABD-3001 dans l'arsenal thérapeutique du traitement des leucémies myéloïdes aigües. Je tiens à remercier l'ensemble des patients et les centres d'investigation pour leur implication », a déclaré Ismail Ceylan, CEO d'Advanced BioDesign.

Le Professeur Regis Costello, chef du service Hématologie et Thérapie Cellulaire en Cancérologie de Marseille (CEPCM, Hôpital de la Timone), et investigateur principal et coordinateur de l'étude ODYSSEY, a expliqué : *« Les données pré-cliniques étaient déjà remarquables compte tenu de l'action sélective du DIMATE sur les cellules tumorales tout en épargnant les cellules saines. Mais souvent le passage à l'essai chez l'homme apporte son lot de désillusions. Or, cet essai de phase I/II, qui n'a pas pour objectif de démontrer une efficacité thérapeutique, a d'ores et déjà permis d'identifier très clairement des effets hématologiques. De plus, les résultats obtenus chez deux patients nous permettent d'avoir un certain optimisme quant à la suite du développement de ce produit. En effet, nous avons pu constater qu'avec une seule injection de DIMATE, ils ont vu leurs paramètres hématologiques s'améliorer sur une durée de 3 mois, ce qui dans le contexte de la leucémie aigüe, dont l'appellation reflète l'évolution souvent foudroyante de la maladie, représente une réponse très encourageante. L'ensemble de ces observations nous a amené à accélérer le rythme du développement*



d'ABD-3001 sous deux aspects. Le premier est la modification du protocole dans sa deuxième partie, à savoir le traitement des patients sur 3 cycles afin d'observer des possibles signaux forts d'efficacité. Le second est, compte tenu du caractère exceptionnel des data déjà collectées, de faire auprès des autorités une demande d'accès hors protocole pour des patients ayant répondu de manière positive au traitement. »

L'étude ODYSSEY, multicentrique, est la seule étude first-in-human de phase I/II en France visant un traitement de la LAM. Débutée il y a 15 mois, elle a pour objectif principal d'évaluer la tolérance d'ABD-3001, mais aussi de collecter des données de pharmacocinétique et pharmacodynamie afin de définir un régime de traitement pour les prochaines études chez des patients atteints de leucémie myéloïde aigue pour lesquels les options thérapeutiques sont limitées et le pronostic défavorable. Cette étude suit un design adaptatif et intègre une première partie à dose unique ascendante sur six cohortes de patients.

Aussi, les résultats préliminaires annoncés ce jour font-ils suite aux avancées de la 6^{ème} et dernière cohorte de patients.

- Ils démontrent qu'ABD-3001 a été globalement bien toléré, sans problème de sécurité majeure. La plupart des toxicités enregistrées dans l'étude sont le fait de la maladie et non du traitement. A ce jour, une seule toxicité, à 540 mg/m² (6^{ème} dose), a été considérée comme dose limitante.
- Les marqueurs d'activités biologiques (inhibition de l'activité de l'enzyme cible ALDH1A1 et phosphorylation de la protéine JNK) ont démontré une action du composé ABD-3001 dès la première dose.
- Au niveau hématologique, il a été observé un effet sur les leucocytes chez 50% des patients à 6 et 9 jours après le traitement. Ces données démontrent un effet biologique d'ABD-3001 sans corrélation aux doses, l'effet étant observé dès la première dose à 18 mg/m².
- Enfin, chez deux patients une amélioration des paramètres hématologiques a été observée à long terme (environ 3 mois). Pour l'un d'eux, l'investigateur de l'étude envisage une demande spécifique auprès de l'ANSM en vue d'une poursuite du traitement hors protocole.

Rappelons enfin que la Leucémie Myéloïde Aiguë (LAM) est l'une des leucémies les plus fréquentes et les plus sévères chez les adultes de plus de 60 ans. Pour cette forme de cancer, l'incidence dans les pays occidentaux est de l'ordre de 5 personnes pour 100.000 habitants et la survie à 5 ans ne dépasse pas 20%. Aujourd'hui 150.000 patients par an dans le monde demeurent en impasse thérapeutique.

A propos de l'essai clinique ODYSSEY

ODYSSEY est un essai clinique de phase I/II pour le traitement de la leucémie aiguë myéloïde (LAM). C'est une étude multicentrique dont les centres se trouvent à Paris, Lyon, et Marseille, destinée à évaluer la sécurité et la tolérance du candidat médicament ABD-3001.

Organisée en suivant un design adaptatif, cette étude intègre une première partie à dose unique ascendante, sur six cohortes de patients, suivie d'une seconde partie, au cours de laquelle trois cohortes



de patients recevront des cycles de traitement complet de 3 mois, permettant ainsi d'obtenir des premiers résultats d'efficacité.

Entièrement financé par la société Advanced BioDesign, l'essai clinique ODYSSEY est coordonné par le **Professeur Régis Costello** (Hôpital de la Timone, Marseille), en collaboration avec le **Docteur Lina Benajiba** (Hôpital Saint-Louis, Paris), et le **Docteur Maël HEIBLIG** (Hôpital Lyon Sud, Lyon).

A propos d'Advanced BioDesign

Advanced BioDesign est une société de biotechnologie française qui développe une nouvelle approche thérapeutique innovante contre les cancers résistants, avec une première indication dans la leucémie aiguë myéloïde (LAM). Son premier candidat médicament, ABD-3001, est un inhibiteur « suicide » first-in-class des aldéhydes déshydrogénases de la classe 1 (ALDH1). Advanced BioDesign a obtenu en Janvier 2022 l'autorisation de l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament (ANSM) pour le lancement de son premier essai clinique chez l'homme, ODYSSEY, qui a débuté en Novembre 2022. Basée à Lyon, Advanced BioDesign est soutenue et accompagnée par les fonds Xerys Invest qui financent ses recherches et ses programmes de développement depuis 2013.

Pour plus d'informations : <https://www.a-biodesign.com>; LinkedIn [@Advanced BioDesign](#)

Contacts :

Advanced BioDesign

Ulysse Communication - Relation Presse

Bruno Arabian / barabian@ulyссе-communication.com / +33 (0) 6 87 88 47 26

Nicolas Entz / nentz@ulyссе-communication.com / +33 (0) 6 33 67 31 54