

2019-12-18

MODAG lance le premier essai clinique de phase 1 chez l'homme sur Anle138b

- Brevet mondial sécurisé pour anle138b-

18 décembre 2019 05h00 Heure normale de l'Est

WENDELSHEIM, Allemagne - (BUSINESS WIRE) - MODAG, une société allemande de biotechnologie axée sur le développement de petites molécules thérapeutiques ciblant les maladies neurodégénératives, a annoncé aujourd'hui le **lancement d'un essai clinique** et le recrutement de volontaires sains pour une étude **de phase 1** de son candidat-médicament, anle138b. Initialement développé pour le traitement de l'atrophie multi-systématisée (AMS), le composé moléculaire ouvre des perspectives pour d'autres synucléinopathies, telles que la maladie de Parkinson. MODAG a également obtenu récemment aux Etats-Unis pour anle138b, un brevet qui protège la propriété exclusive des brevets de la société pour anle138b au niveau mondial.

«L'obtention d'une protection par brevet mondial pour anle138b parallèlement au début des tests cliniques chez des individus en bonne santé marque non seulement une progression stratégique significative de notre potentiel de développement, mais souligne également notre capacité à agir selon notre vision et nos objectifs d'entreprise. Avec le début de cet essai, nous sommes sur la bonne voie pour réaliser les tests qui rapprocheront anle138b des patients », a déclaré le Dr Torsten Matthias, PDG de MODAG.

Anle138b est un petit composé moléculaire qui, en se liant spécifiquement aux structures oligomères toxiques de l'alphasynucléine, ces agrégats de protéines au centre des troubles parkinsoniens, empêche de nouveaux oligomères de se former et le processus d'agrégation de progresser. L'étude aura pour objectif principal d'évaluer l'innocuité et la tolérabilité du composé chez des volontaires sains. Les objectifs secondaires comprennent l'analyse du profil pharmacocinétique ainsi que des évaluations de la détermination des dosages de l'anle138b. Le recrutement pour l'essai, qui sera mené par Quotient Sciences à Nottingham, au Royaume-Uni, est en cours. Anle138b sera administré seul, par voie orale, à des volontaires sains.

«Anle138b a le potentiel pour devenir une réelle option de traitement pour arrêter l'AMS, une indication très mal desservie, dans son élan. Les patients atteints de MSA sont gravement touchés par les troubles progressifs des mouvements, de l'équilibre et des fonctions autonomes et, comme pour de nombreuses maladies neurodégénératives, aucune option de traitement permettant de stopper la maladie n'est disponible. En cas de succès, l'essai de phase 1 ouvre également la possibilité à MODAG d'étudier anle138b dans d'autres troubles parkinsoniens et de Parkinson lui-même », a ajouté le Dr Johannes Levin, CMO de MODAG.

À propos d'anle138b

Le candidat principal de MODAG, anle138b, est un composé à petite molécule qui se lie spécifiquement aux structures oligomères toxiques de l'alphasynucléine, la protéine d'agrégation centrale dans les troubles parkinsoniens. Grâce à la liaison, anle138b dissout les oligomères toxiques et empêche la formation de nouveaux oligomères, s'attaquant aux maladies à la base. Des études précliniques sur des modèles animaux dans la maladie de Parkinson et la MSA ont démontré la capacité d'arrêter la progression de la maladie et d'atténuer les symptômes in vivo, empêchant efficacement d'autres dommages en arrêtant l'accumulation d'agrégats de protéines pathologiques dans le cerveau. Contrairement aux anticorps, anle138b peut être administré par voie orale, passant efficacement la barrière hémato-encéphalique, tout en agissant directement sur les oligomères intracellulaires toxiques.

À propos de l'AMS

L'atrophie multisystématisée (AMS) est un trouble neurologique actuellement non guérissable caractérisé par une neurodégénérescence dans plusieurs parties du cerveau, y compris les noyaux gris centraux et le cervelet. Il se caractérise par une accumulation de protéines alpha-synucléine pathologiquement agrégées dans les cellules neuronales et gliales. Les patients éprouvent un éventail de symptômes, y compris des troubles du mouvement, de l'équilibre et de la fonction autonome. Les médicaments actuels ne traitent pas la cause de la maladie et ne sont capables que de traiter les symptômes qui évoluent parallèlement à la maladie. L'AMS est classée comme une maladie rare avec un taux d'incidents d'environ 0,6 cas pour 100 000 personnes par an dans l'Union européenne. En Europe / États-Unis / Japon, il y a environ 50 000 patients AMS. L'âge moyen d'apparition de la maladie se situe dans la sixième décennie de la vie. La période de survie moyenne après le début de la maladie est de 6 à 10 ans.

À propos de la maladie de Parkinson

La maladie de Parkinson (PD) est l'une des maladies les plus courantes du système nerveux central. Il est généralement diagnostiqué entre 50 et 79 ans, avec une incidence croissante à un âge avancé; les hommes sont plus souvent touchés que les femmes. Les médicaments et les thérapies de soutien peuvent atténuer les symptômes moteurs, mais à ce jour, il n'existe aucun remède contre la MP. PD appartient au groupe des synucléinopathies, maladies caractérisées par le dépôt anormal de la protéine α -synucléine dans le système nerveux central et périphérique. Dans la MP, l' α -synucléine s'accumule principalement dans les neurones, entraînant la formation de soi-disant corps de Lewy et de neurites de Lewy, qui peuvent être détectés au microscope lors d'examens neuropathologiques. Les symptômes moteurs typiques qui affligent les patients atteints de MP comprennent les tremblements, la raideur musculaire et la lenteur des mouvements. Ils sont principalement causés par un manque de neurotransmetteur, la dopamine, qui est produite par certaines cellules nerveuses du mésencéphale. Dans la MP, les cellules nerveuses productrices de dopamine dans la substantia nigra présentent des dépôts de synucléine prononcés.

À propos de MODAG

MODAG, une société de biotechnologie allemande privée, vise à fournir une nouvelle approche pour le traitement des maladies neurodégénératives en combinant une thérapie ciblée à petites molécules avec les bons outils de diagnostic. Notre premier objectif est de démontrer la preuve de concept clinique avec notre composé principal anle138b dans l'atrophie multisystématisée (AMS), en cherchant à arrêter la

progression et à fournir une première thérapeutique modifiant la maladie. Ce succès nous permettra d'appliquer notre technologie à des maladies similaires telles que la maladie de Parkinson et d'autres synucléinopathies dans le but de dissoudre les oligomères intracellulaires liés à la maladie, réduisant ainsi leurs propriétés toxiques.

La société a été fondée en 2013 sur la base de recherches menées par le professeur Giese (Université Ludwig Maximilian de Munich) et le professeur Griesinger (Institut Max-Planck de chimie biophysique) examinant l'agrégation des protéines et ses propriétés toxiques dans les maladies neurodégénératives pour développer des options thérapeutiques pour les conditions sans traitements modificateurs de la maladie disponibles. MODAG a été soutenu par des subventions d'organisations de patients de premier plan, dont la Fondation Michael J Fox pour la recherche sur la maladie de Parkinson, le Cure Parkinson's Trust et le Parkinson's UK. Pour plus d'informations, voir www.modag.net

MODAG Initiates First-in-Human Phase 1 Clinical Trial for Anle138b

-- Worldwide patent for anle138b secured --

December 18, 2019 05:00 AM Eastern Standard Time

WENDELSHEIM, Germany--([BUSINESS WIRE](#))--MODAG, a German biotechnology company focused on the development of disease-modifying small molecule therapeutics for neurodegenerative diseases, today announced the clinical trial initiation of, and recruitment for, a first-in-human Phase 1 study of lead candidate, anle138b in healthy volunteers. The compound is initially being developed for the treatment of Multiple System Atrophy (MSA), with the potential to be applied to other synucleinopathies, such as Parkinson's disease, in the future. MODAG also recently secured a U.S. patent for anle138b, expanding the Company's patent estate for anle138b to exclusive, worldwide coverage.

"Obtaining global patent protection for anle138b while beginning clinical testing in healthy individuals not only marks a significant strategic progression of our pipeline, but also emphasizes our ability to act on our corporate vision and goals. With the start of this trial, we are on track to run the tests necessary to bring anle138b one step closer to patients," said Dr. Torsten Matthias, CEO of MODAG.

Anle138b is a small molecule compound that specifically binds toxic oligomeric structures of alpha-synuclein, the core aggregating protein in Parkinsonian disorders, preventing new oligomers from forming and blocking the aggregation process from advancing. As a primary objective, the study will evaluate the safety and tolerability of the compound in healthy volunteers. Secondary objectives include the analysis of the pharmacokinetic profile as well as dose-finding evaluations of single and multiple ascending doses of anle138b. Recruitment into the trial, which will be conducted by Quotient Sciences in Nottingham, UK, is underway. Anle138b will be administered orally as a single agent to healthy volunteers.

"Anle138b has the potential to become a tangible treatment option to stop MSA, a highly underserved indication, in its tracks. MSA patients are severely impacted by progressing movement, balance and autonomic function impairments and as with many neurodegenerative diseases, there are no disease-halting treatment options available. If successful, the Phase 1 trial also opens the opportunity for

MODAG to investigate anle138b in other Parkinsonian disorders and Parkinson's itself," added Dr. Johannes Levin, CMO of MODAG.

About anle138b

MODAG's lead candidate, anle138b, is a small molecule compound that specifically binds toxic oligomeric structures of alpha-synuclein, the core aggregating protein in Parkinsonian disorders. Through the binding, anle138b dissolves toxic oligomers and prevents new oligomers from forming, addressing the diseases at the core. Pre-clinical animal model studies in Parkinson's disease and MSA have demonstrated the ability to halt disease progression and alleviate symptoms *in vivo*, effectively preventing further damage by stopping the accumulation of pathological protein aggregates in the brain. In contrast to antibodies, anle138b can be administered orally, efficiently passing the blood-brain-barrier, while directly acting on toxic intracellular oligomers.

About MSA

Multiple System Atrophy (MSA) is a currently non-curable neurological disorder characterized by neurodegeneration in several parts of the brain including the basal ganglia and the cerebellum. It is characterized by a build-up of pathologically aggregated alpha-synuclein proteins in neuronal and glial cells. Patients experience an array of symptoms, including movement, balance and autonomic function disorders. Current drugs do not address the cause of the disease and are only capable of treating symptoms which progress alongside the disease. MSA is classified as a rare disease with an incident rate of approximately 0.6 cases per 100,000 people annually in the European Union. In Europe/United States/Japan, there are approximately 50,000 MSA patients. The mean age of onset of the disease is in the sixth decade of life. The mean survival period after the onset of the disease is 6-10 years.

About Parkinson's disease

Parkinson's disease (PD) is one of the most common diseases of the central nervous system. It is usually diagnosed between the ages of 50 and 79, with increasing incidences at an advanced age; men are affected more often than women. Drugs and supportive therapies can alleviate motor symptoms, but to date, there is no cure for PD. PD belongs to the group of synucleinopathies, diseases that are characterized by the abnormal deposition of the α -synuclein protein in the central and peripheral nervous system. In PD, α -synuclein accumulates predominantly in neurons, resulting in the formation of so-called Lewy bodies and Lewy neurites, which can be detected microscopically in neuropathological examinations. The typical motor symptoms that afflict PD patients include tremors, muscle stiffness and slowness of movements. They are mainly caused by a lack of the neurotransmitter, dopamine, which is produced by certain nerve cells in the midbrain. In PD, the dopamine-producing nerve cells in the substantia nigra exhibit pronounced synuclein deposits.

About MODAG

MODAG, a privately held German biotech company, aims to provide a novel approach for treating neurodegenerative diseases by combining targeted small molecule therapeutics with the right diagnostic tools. Our first objective is to demonstrate clinical proof-of-concept with our lead compound anle138b in

Multiple System Atrophy (MSA), seeking to halt the progression and provide a first disease-modifying therapeutic. This success will allow us to apply our technology to similar diseases such as Parkinson's disease and other synucleinopathies with the goal of dissolving disease-related intra-cellular oligomers, thereby reducing their toxic properties. The Company was founded in 2013 based on research conducted by Prof. Dr. Giese (Ludwig Maximilian University of Munich) and Prof. Dr. Griesinger (Max-Planck-Institute for Biophysical Chemistry) examining protein aggregation and its toxic properties in neurodegenerative diseases to develop therapeutic options for conditions without available disease-modifying treatments. MODAG has been supported by grants from leading patient organizations including the Michael J Fox Foundation for Parkinson's Research, the Cure Parkinson's Trust, and the Parkinson's UK. For more information see www.modag.net

Contacts

For MODAG:

Dr. Torsten Matthias, CEO

Website: www.modag.net

E-mail: info@modag.net

Phone: +49 6734 96 228000

For Media Inquiries:

Trophic Communications

Stephanie May or Valeria Fisher

E-mail: may@trophic.eu or fisher@trophic.eu

Phone: +49 89 238877 - 34 or +49 175 8041816