

<https://www.businesswire.com/news/home/20200805005393/en/MODAG-Successfully-Completes-Phase-1-Study-Lead>

2020-08-05

## **MODAG termine avec succès l'étude de phase 1 de son candidat principal Anle138b et reçoit 1,4 million USD supplémentaires de la Michael J. Fox Foundation**

WENDELSHEIM, Allemagne - (BUSINESS WIRE) - MODAG, une société de biotechnologie allemande axée sur le développement de thérapies à petites molécules, traitements de fond des maladies neurodégénératives, a annoncé aujourd'hui la réussite de son premier essai clinique d'anle138b (NCT04208152) chez des volontaires sains. Le candidat-médicament principal de la société, qui a été administré à des doses allant jusqu'à 300 mg par jour, a démontré d'excellents profils d'innocuité et de tolérabilité à tous les niveaux de dose et a atteint des niveaux plasmatiques significativement plus élevés chez l'homme que ceux requis pour une efficacité thérapeutique complète dans des modèles animaux.

Anle138b a été initialement développé pour le traitement de l'atrophie multi-systématisée (AMS) et pourrait être appliqué à d'autres synucléinopathies, telles que la maladie de Parkinson. Sur la base des résultats positifs de l'étude de phase 1, MODAG a également pu obtenir un financement supplémentaire de 1,4 million de dollars de la Fondation Michael J. Fox pour la recherche sur la maladie de Parkinson.

*«La réussite de notre premier essai clinique avec anle138b est une étape importante vers une évaluation plus approfondie des maladies neurodégénératives et souligne notre expertise dans le développement de médicaments», a commenté le Dr Torsten Matthias, PDG de MODAG. «Le fait que nous ayons pu mener cette étude en temps opportun malgré la pandémie de COVID-19 est largement dû aux efforts inlassables et à l'engagement de l'équipe MODAG. Je tiens également à remercier nos partenaires de l'étude de phase 1, Quotient Sciences, Aptuit et Granzer Consulting. »*

Le professeur Armin Giese, Directeur scientifique de MODAG, poursuit: *«Anle138b est une petite molécule qui se lie spécifiquement aux structures oligomères toxiques de l'alpha-synucléine, la protéine d'agrégation de base dans la maladie de Parkinson. Ce qui empêche la formation de nouveaux oligomères et bloque ainsi le développement du processus d'agrégation spécifique à la maladie. Dans l'étude de phase 1 récemment achevée, l'innocuité, la tolérabilité et les propriétés pharmacocinétiques de l'anle138b connues à partir de modèles animaux ont été confirmées chez l'homme. Déjà à un niveau de dose de 100 mg, des niveaux plasmatiques d'anle138b qui étaient significativement au-dessus de la dose seuil efficace dans les expériences animales pouvaient être atteints. De plus, aucun effet secondaire spécifique au traitement n'a été observé. La demi-vie plasmatique de l'anle138b après administration orale sous forme de capsule était d'environ 12 heures, ce qui est idéal pour cette application. De plus, il a pu être démontré que l'absorption de la substance n'était pas significativement modifiée par une prise alimentaire parallèle. »*

Le professeur Johannes Levin, Directeur médical de MODAG, a ajouté: «*Les données de cette étude de phase 1 serviront de base au développement clinique ultérieur de notre candidat-médicament. **Nous travaillons avec diligence à la prochaine étape: une première étude chez les patients examinant la sécurité, la tolérabilité et la pharmacocinétique chez les patients atteints de la maladie de Parkinson, qui devrait commencer d'ici la fin de cette année.***»

*MODAG a déjà reçu une subvention de 1,26 million de dollars de la Fondation Michael J.Fox en 2015 pour l'optimisation préclinique du développement du test anle138b et des biomarqueurs et maintenant la fondation soutiendra cette première étude chez les patients. Les analystes de la Fondation Michael J. Fox comptent parmi les plus grands experts mondiaux de la maladie de Parkinson, de sorte que le financement de cette étude par cette organisation hautement reconnue ajoute une validation supplémentaire à notre approche et à son potentiel. Dans mon travail clinique auprès des patients atteints d'AMS et de Parkinson, je suis confronté au besoin urgent de traitements de fond au quotidien. Ainsi, je suis heureux que nous ayons fait des progrès aussi rapides vers les premiers tests potentiels chez les patients. »*

**À la suite de la première étude chez les patients, MODAG prévoit de mener des essais cliniques sur la durée sur l'efficacité de l'anle138b chez les patients atteints d'AMS et de la maladie de Parkinson. Ces études devraient commencer à la fin de 2021.**

### **À propos de anle138b**

Le candidat principal de MODAG, anle138b, est un composé à petite molécule qui se lie spécifiquement aux structures oligomères toxiques de l'alpha-synucléine, la principale protéine d'agrégation 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 l'AMS ont démontré la capacité de bloquer la progression de la maladie et d'en atténuer les symptômes in vivo, de prévenir 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, en passant efficacement la barrière hémato-encéphalique, tout en agissant directement sur les oligomères intracellulaires toxiques.

### **À propos de MODAG**

MODAG, une société allemande de biotechnologie privée, vise à fournir une nouvelle approche pour le traitement des maladies neurodégénératives en combinant des thérapies ciblées à petites molécules avec les bons outils de diagnostic. Notre premier objectif est de démontrer une preuve de concept clinique avec notre principal composé anle138b dans l'atrophie multi-systématisée (AMS) et la maladie de Parkinson, en cherchant à arrêter la progression et à fournir un premier traitement de fond. Ce succès nous permettra d'appliquer notre technologie à des maladies similaires avec agrégation de protéines, y compris la maladie d'Alzheimer et des tauopathies telles que la PSP, dans le but de dissoudre les oligomères intracellulaires liés à la maladie, réduisant ainsi leurs propriétés toxiques. La société a été fondée sur la base de recherches menées par des scientifiques de l'Université Ludwig Maximilian de Munich et du Max-Planck-Institute for Biophysical Chemistry à Göttingen et a été soutenue par des subventions d'organisations de patients de premier plan, notamment la Michael J.Fox

Foundation for Parkinson's Research, le Cure Parkinson's Trust et Parkinson's UK. Pour plus d'informations, voir [www.modag.net](http://www.modag.net)

## **MODAG Successfully Completes Phase 1 Study of their Lead Candidate Anle138b and Receives Additional USD 1.4 Million from Michael J. Fox Foundation**

August 05, 2020 05:00 AM Eastern Daylight 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 successful completion of its first clinical trial of anle138b ([NCT04208152](#)) in healthy volunteers. The Company's lead candidate, which was administered in doses of up to 300 mg daily, demonstrated excellent safety and tolerability profiles at all dose levels and reached significantly higher plasma levels in humans than those required for full therapeutic efficacy in animal models. Anle138b was initially developed for the treatment of Multiple System Atrophy (MSA) and has the potential to be applied to other synucleinopathies, such as Parkinson's disease. Based on the positive Phase 1 study results, MODAG was also able to obtain additional funding of USD 1.4 million from The Michael J. Fox Foundation for Parkinson's Research.

"The fact that we were able to carry out this study in a timely manner despite the COVID-19 pandemic, is largely due to the tireless efforts and commitment of the MODAG team. I would also like to thank our Phase 1 study partners, Quotient Sciences, Aptuit and Granzer Consulting." [Tweet this](#)

"The successful completion of our first clinical trial with anle138b is an important step toward beginning further evaluation in neurodegenerative diseases and underscores our expertise in drug development," commented Dr. Torsten Matthias, CEO of MODAG. "The fact that we were able to carry out this study in a timely manner despite the COVID-19 pandemic, is largely due to the tireless efforts and commitment of the MODAG team. I would also like to thank our Phase 1 study partners, Quotient Sciences, Aptuit and Granzer Consulting."

Professor Armin Giese, CSO of MODAG, continued, "Anle138b is a small molecule that specifically binds to toxic oligomeric structures of alpha-synuclein, the core aggregating protein in Parkinson's disease. This prevents the formation of new oligomers and thereby blocks the disease-specific aggregation process from advancing. In the recently completed Phase 1 study, safety, tolerability and pharmacokinetic properties of anle138b known from animal models were confirmed in humans. Already at a 100 mg dose-level, anle138b plasma levels that were significantly above the threshold dose effective in animal experiments could be achieved. Furthermore, no therapy-specific side effects were observed. The plasma half-life of anle138b after oral administration in capsule form was about 12 hours, which is ideal for this application. Furthermore, it could be shown that the uptake of the substance was not significantly altered by parallel food intake."

Professor Johannes Levin, CMO of MODAG, added: "The data from this Phase 1 study will serve as the foundation for the further clinical development of our lead candidate. We are diligently working on the next step: a first-in-patient study investigating safety, tolerability and pharmacokinetics in Parkinson's patients which is planned to start by the end of this year. MODAG already received a \$1.26 million grant from The Michael J. Fox Foundation in 2015 toward pre-clinical optimization of anle138b and biomarker assay development and now the foundation will support this first-in-patient study. The reviewers of The

Michael J. Fox Foundation are among the world's leading experts on Parkinson's disease, so the funding for this study from this highly recognized organization adds further validation to our approach and its potential. In my clinical work with MSA and Parkinson's patients, I am confronted with the urgent need for disease-modifying treatments on a daily basis. Thus, I am pleased that we have made such rapid progress towards the first potential tests in patients.”

Following the first-in-patient study, MODAG plans to conduct long-term clinical trials investigating the efficacy of anle138b in MSA and Parkinson's disease patients. These studies are anticipated to begin at the end of 2021.

### **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 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) and Parkinson's disease, seeking to halt the progression and provide a first disease-modifying therapeutic. This success will allow us to apply our technology to similar diseases with protein aggregation including Alzheimer's disease and tauopathies such as PSP, with the goal of dissolving disease-related intra-cellular oligomers, thereby reducing their toxic properties. The Company was founded based on research conducted by scientists at the Ludwig Maximilian University of Munich and the Max-Planck-Institute for Biophysical Chemistry in Göttingen and 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 Parkinson's UK. For more information see [www.modag.net](http://www.modag.net)

## **Contacts**

### **For MODAG:**

Dr. Torsten Matthias, CEO

Website: [www.modag.net](http://www.modag.net)

E-Mail: [info@modag.net](mailto:info@modag.net)

Phone: +49 6734 96 228000

### **For Media Inquiries:**

Trophic Communications

Stephanie May or Valeria Fisher

E-Mail: [may@trophic.eu](mailto:may@trophic.eu) or [fisher@trophic.eu](mailto:fisher@trophic.eu)

Phone: +49 171 185 56 82 or +49 175 804 18 16