

## ***Gliome de haut grade récidivant chez l'enfant : Onxeo annonce l'inclusion du 1<sup>er</sup> patient dans l'essai clinique de phase 1b/2 mené par le consortium européen ITCC, avec la promotion de l'Institut Curie***

**Paris (France), le 1er septembre 2022 – 20h CEST - Onxeo S.A.** (Euronext Growth : ALONX, Nasdaq First North : ONXEO), société de biotechnologie au stade clinique spécialisée dans le développement de médicaments innovants ciblant les mécanismes de réponse aux dommages de l'ADN tumoral (DDR) pour lutter contre les cancers rares ou résistants, annonce aujourd'hui que le 1<sup>er</sup> patient vient d'être inclus et traité dans l'étude clinique de phase 1b/2 qui vise à évaluer l'efficacité et la bonne tolérance d'AsiDNA<sup>1</sup>, inhibiteur *first-in-class* de la réponse aux dommages de l'ADN, en association avec la radiothérapie chez les enfants, adolescents ou jeunes adultes atteints d'un gliome de haut grade (HGG) récidivant. La validation clinique de cette thérapie innovante offre l'espoir d'améliorer la prise en charge de ces cancers pédiatriques à haut risque.

Les HGG, qui constituent environ 20% des tumeurs du système nerveux central (SNC) de l'enfant, ont aujourd'hui encore un très mauvais pronostic avec une survie à 5 ans inférieure à 20%. La chirurgie, combinée à la radiothérapie ou à la chimiothérapie, permet souvent un contrôle de la maladie. Cependant, ce contrôle est inconstant dû au développement de cellules tumorales résistantes aux traitements. Des études menées sur des modèles précliniques et des essais cliniques initiaux réalisés chez l'adulte<sup>2</sup> ont permis de mettre en évidence l'effet synergique d'AsiDNA en association avec des traitements qui ciblent et détruisent l'ADN, tels que la radiothérapie.

Cet essai de phase 1b/2, dont l'Institut Curie est le promoteur, sera mené dans le cadre du consortium européen ITCC<sup>3</sup>, avec l'objectif d'évaluer l'efficacité et la tolérance d'AsiDNA sur un nombre maximal de 32 patients (enfants, adolescents ou jeune adultes) atteints de HGG récidivant. Le 1<sup>er</sup> patient de l'étude a été inclus au sein du Centre SIREDO de l'Institut Curie (Soins, Innovation, Recherche en cancérologie de l'Enfant, l'adolescent et l'adulte jeune). D'autres centres français vont participer à cette étude et son ouverture à d'autres pays européens est prévue dans les prochains mois. Les premiers résultats intermédiaires de l'étude sont attendus au 1<sup>er</sup> trimestre 2024.

**Shefali Agarwal, Présidente Directrice Générale d'Onxeo**, déclare : « *Onxeo est fier de sa collaboration clinique avec l'Institut Curie et remercie le Pr François Doz, investigateur principal de l'étude, pour son implication dans ce projet. Nous espérons que l'association d'AsiDNA à la radiothérapie dans ce type de cancer apportera un réel bénéfice aux patients qui souffrent d'une forme récidivante de gliome de haut grade.* »

« *L'inclusion du 1<sup>er</sup> patient est une étape importante dans cette étude de preuve de concept dont le but est d'évaluer l'efficacité et la bonne tolérance de l'administration systémique d'AsiDNA combinée à une nouvelle radiothérapie. Nous espérons que cette étude apportera des arguments pour permettre d'améliorer le pronostic aujourd'hui très défavorable de cette maladie et pour laquelle le besoin de nouveaux traitements est donc majeur,* » conclut **le Pr François Doz**, pédiatre oncologue, directeur adjoint de la recherche clinique, de l'innovation et de l'enseignement du Centre SIREDO à l'Institut Curie, et investigateur principal de l'étude.

Cette étude de phase 1b/2 bénéficie d'une subvention du programme européen Fight Kids Cancer<sup>4</sup>.

<sup>1</sup> En 2016, Onxeo a acquis DNA Therapeutics, spin-off de l'Institut Curie fondée sur les travaux innovants de Marie Dutreix, directrice de recherche CNRS à l'Institut Curie, qui ont conduit au développement d'AsiDNA.

<sup>2</sup> *First-in-human phase I study of the DNA repair inhibitor DT01 in combination with radiotherapy in patients with skin metastases from melanoma.* Le Tourneau C et al. *Br J Cancer.* 2016 May 24;114(11):1199-205.

<sup>3</sup> Le [Consortium Thérapies innovantes pour les enfants atteints de cancer](#) (ITCC) est une organisation à but non lucratif regroupant 63 départements européens d'oncologie pédiatrique ayant une expertise dans la conduite d'essais de phase précoce chez l'enfant et l'adolescent, et 25 laboratoires de recherche européens.

<sup>4</sup> [Fight Kids Cancer](#) est un appel à projets européen, initiative conjointe de l'association française Imagine for Margo, la fondation belge KickCancer et la fondation luxembourgeoise Kriibskrank Kanner

### À propos de l'Institut Curie

L'Institut Curie, 1<sup>er</sup> centre français de lutte contre le cancer, associe un centre de recherche de renommée internationale et un ensemble hospitalier de pointe qui prend en charge tous les cancers y compris les plus rares. Fondé en 1909 par Marie Curie, l'Institut Curie rassemble sur 3 sites (Paris, Saint-Cloud et Orsay) plus de 3700 chercheurs, médecins et soignants autour de ses 3 missions : soins, recherche et enseignement. Fondation privée reconnue d'utilité publique habilitée à recevoir des dons et des legs, l'Institut Curie peut, grâce au soutien de ses donateurs, accélérer les découvertes et ainsi améliorer les traitements et la qualité de vie des malades. **Pour en savoir plus :** [www.curie.fr](http://www.curie.fr)

Depuis 2011, l'Institut Curie est certifié "Institut Carnot Curie Cancer". Le label Carnot est un label d'excellence décerné aux structures de recherche académique ayant fait preuve de qualité et d'implication dans la recherche en partenariat. Curie Cancer offre aux partenaires industriels la possibilité de mettre en place des collaborations de recherche en bénéficiant de l'expertise des équipes de l'Institut Curie pour le développement de solutions thérapeutiques innovantes contre les cancers, de la cible thérapeutique à la validation clinique. Curie Cancer est membre du réseau Carnot FINDMED, un groupe de treize instituts Carnot, afin de faciliter l'accès à leurs plateformes technologiques et à leurs capacités d'innovation pour les très petites et moyennes entreprises, les PME et les PMI de l'industrie pharmaceutique.

**Pour en savoir plus :** [www.instituts-carnot.eu/fr/institut-carnot/curie-cancer](http://www.instituts-carnot.eu/fr/institut-carnot/curie-cancer)

### À propos d'Onxeo

**Onxeo** (Euronext Growth Paris : ALONX, Nasdaq First North Copenhagen : ONXEO) est une société de biotechnologie au stade clinique qui développe de nouveaux médicaments contre le cancer en ciblant les fonctions de l'ADN tumoral par des mécanismes d'action sans équivalents dans le domaine très recherché de la réponse aux dommages de l'ADN (DDR). La Société se concentre sur le développement de composés novateurs first-in-class ou disruptifs (internes, acquis ou sous licence) depuis la recherche translationnelle jusqu'à la preuve de concept clinique chez l'homme, un point d'inflexion créateur de valeur et attrayant pour de potentiels partenaires.

**platON** est la plateforme de chimie des oligonucléotides leurres d'Onxeo, dédiée à la génération de nouveaux composés innovants destinés à enrichir le portefeuille de produits de la Société.

**AsiDNA**, le premier composé de platON, est un candidat first-in-class au stade clinique, très différencié dans le domaine de la réponse aux dommages de l'ADN (DDR) appliqué à l'oncologie. Son mécanisme de leurre et d'agoniste agissant en amont de multiples voies DDR entraîne des propriétés antitumorales distinctives, notamment la capacité de prévenir ou d'abroger la résistance tumorale aux thérapies ciblées telles que les inhibiteurs de PARP et une forte synergie avec les agents endommageant l'ADN tumoral tels que la radio/chimiothérapie. AsiDNA est actuellement évalué en Europe en association avec d'autres modes de traitement dans des tumeurs solides difficiles à traiter.

**OX400** est une série de nouveaux candidats médicaments générés par platON, conçu pour être un puissant agoniste de PARP, agissant à la fois sur la réponse aux dommages de l'ADN et sur l'activation de la réponse immunitaire, sans induire de résistance. Le candidat OX400 le plus prometteur est en phase d'optimisation et de preuve de concept préclinique, seul et en association avec des immunothérapies.

**Pour plus d'information, visitez** [www.onxeo.com](http://www.onxeo.com)

### Déclarations prospectives

Le présent communiqué contient de manière implicite ou expresse certaines déclarations prospectives relatives à Onxeo et à son activité. Ces déclarations dépendent de certains risques connus ou non, d'incertitudes, ainsi que d'autres facteurs, qui pourraient conduire à ce que les résultats réels, les conditions financières, les performances ou réalisations de Onxeo diffèrent significativement des résultats, conditions financières, performances ou réalisations exprimés ou sous-entendus dans ces déclarations prospectives. Onxeo émet ce communiqué à la présente date et ne s'engage pas à mettre à jour les déclarations prospectives qui y sont contenues, que ce soit par suite de nouvelles informations, événements futurs ou autres. Pour une description des risques et incertitudes de nature à entraîner une différence entre les résultats réels, les conditions financières, les performances ou les réalisations de Onxeo et ceux contenus dans les déclarations prospectives, veuillez-vous référer aux Facteurs de Risque décrits dans le dernier document d'enregistrement ou tout autre rapport financier périodique ou communiqué de presse, disponibles gratuitement sur le site Internet de la Société ([www.onxeo.com](http://www.onxeo.com)) et/ou de l'AMF ([www.amf-france.org](http://www.amf-france.org)).

## Contacts

### Onxeo

Valérie Leroy, Relations  
Investisseurs  
[investors@onxeo.com](mailto:investors@onxeo.com)  
+33 1 45 58 76 00

### Relations Presse

Nicolas Merigeau  
NewCap  
[onxeo@newcap.eu](mailto:onxeo@newcap.eu)  
+33 1 44 71 94 98

### Relations Investisseurs / Communication stratégique

Dušan Orešanský / Emmanuel Huynh  
NewCap  
[onxeo@newcap.eu](mailto:onxeo@newcap.eu)  
+33 1 44 71 94 92

### Institut Curie

#### Relations Presse

Catherine Goupillon-Senghor - [catherine.goupillon-senghor@curie.fr](mailto:catherine.goupillon-senghor@curie.fr) - + 33 6 13 91 63 63  
Elsa Champion – [elsa.champion@curie.fr](mailto:elsa.champion@curie.fr) – + 33 7 64 43 09 28