

## COMMUNIQUÉ DE PRESSE

### **Première étude clinique au monde visant à évaluer un vaccin anti-Abêta destiné à cibler les caractéristiques de type Alzheimer chez les personnes atteintes du syndrome de Down**

- **Etude de l'ACI-24 d'AC Immune, le premier vaccin anti-amyloïde destiné au traitement des caractéristiques de type Alzheimer chez les personnes atteintes du syndrome de Down**
- **Etude clinique devant être réalisée en collaboration avec l'Université de Californie à San Diego**
- **Les Instituts américains National Institutes of Health assurent le financement principal, auquel s'ajoutera une subvention supplémentaire de la LuMind Research Down Syndrome Foundation**
- **Les caractéristiques de type Alzheimer se développent chez pratiquement toutes les personnes atteintes du syndrome de Down âgées de plus de 40 ans. En outre, la majorité de ces personnes présentent également une démence après 60 ans.**

**Lausanne, Suisse, San Diego, Californie et Marlborough, Massachusetts (États-Unis) - 7 janvier 2016** – Aujourd'hui, la réalisation prochaine de la première étude clinique au monde d'un vaccin ciblant les caractéristiques de type Alzheimer chez les personnes atteintes du syndrome de Down a été annoncée. Menée en collaboration avec le Down Syndrome Research and Treatment Center de l'Université de Californie à San Diego, l'étude portera sur le vaccin ACI-24 d'AC Immune. Côté financement, les Instituts américains National Institutes of Health (NIH) apporteront une subvention conséquente, complétée par celle de la LuMind Research Down Syndrome Foundation. Il s'agit de la première collaboration publique-privée dans le cadre d'une étude clinique portant sur le syndrome de Down.

Les personnes atteintes du syndrome de Down possèdent une copie supplémentaire du chromosome 21, qui porte le gène APP codant la protéine précurseur de l'Abêta, l'un des marqueurs clés de la maladie d'Alzheimer. Une conséquence importante est que les personnes atteintes du syndrome de Down développent des caractéristiques de type Alzheimer à une fréquence trois à cinq fois supérieure à celle de la population générale et à un âge beaucoup plus précoce. Par ailleurs, les caractéristiques de type Alzheimer apparaissent chez plus de 98% des personnes atteintes du syndrome de Down âgées de plus de 40 ans et elles sont 80% à présenter également une démence après 60 ans. D'après les estimations, parmi la population mondiale, 6 millions de personnes sont atteintes du syndrome de Down, dont 400 000 aux États-Unis.

Les participants à l'étude seront des adultes atteints du syndrome de Down. L'étude vise principalement à étudier l'innocuité et la tolérance de l'ACI-24, son effet sur la production d'anticorps dirigés contre l'Abêta, les mesures cliniques et cognitives chez les adultes atteints du syndrome de Down et son effet sur les biomarqueurs d'une pathologie de type Alzheimer dans le syndrome de Down. Les participants à l'étude recevront le traitement pendant 12 mois, avant de faire l'objet d'un suivi pendant 12 mois supplémentaires.

**Le Prof Andrea Pfeifer, CEO d'AC Immune**, s'est exprimé à ce sujet: «Nous sommes ravis de mettre ce traitement prometteur dans le cadre de la maladie d'Alzheimer, à la disposition des personnes atteintes du syndrome de Down, qui présentent une vulnérabilité et des prédispositions génétiques à cette pathologie. La mise en commun des connaissances et des ressources d'AC Immune, de l'Université de Californie à San Diego, des NIH et de la LuMind Research Down Syndrome Foundation devrait s'avérer bénéfique et riche d'enseignements pour le traitement des caractéristiques de type Alzheimer chez les personnes atteintes du syndrome de Down. Qui plus est, cette étude clinique révolutionnaire pourrait améliorer notre compréhension de l'intervention précoce et de la prévention de la maladie d'Alzheimer en général.»

**Le Dr William Mobley, directeur exécutif du Down Syndrome Research and Treatment Center de l'Université de Californie à San Diego**, a commenté: «Nous sommes ravis de nous joindre à nos collègues d'AC Immune et de la LuMind Research Down Syndrome Foundation dans le cadre de cette étude passionnante, qui constitue la première étape d'un processus dont la principale finalité est de prévenir la maladie d'Alzheimer chez les personnes atteintes du syndrome de Down. Cette source combinée de financement public et privé témoigne de l'importance accordée à la maladie d'Alzheimer et de celle des enseignements que nous tirerons des études de ce trouble dans le syndrome de Down. Nous souhaitons remercier nos collègues et leur faire part de notre impatience et de notre détermination à aider les personnes atteintes du syndrome de Down, ainsi que leurs familles et leurs proches.»

**Le Dr Michael Harpold, directeur scientifique de la LuMind Research Down Syndrome Foundation**, a ajouté: «Nous sommes très heureux à l'idée que la LuMind Research Down Syndrome Foundation puisse collaborer avec AC Immune, l'Université de Californie à San Diego et les NIH dans le cadre du tout premier partenariat privé-public destiné à une étude clinique sur le syndrome de Down. Au cœur de la mission de notre fondation: l'accélération de la recherche et du développement de nouveaux traitements potentiels des troubles du développement et des déficiences intellectuelles, ainsi que de l'apparition précoce de la maladie d'Alzheimer chez les personnes atteintes du syndrome de Down. Nous nous efforçons également de prévenir le déclin précoce et la perte des facultés intellectuelles de ces personnes.»

### **A propos de l'ACI-24**

Propriété d'AC Immune, l'ACI-24 est un vaccin anti-Abêta liposomal thérapeutique. Il a été découvert grâce à la plateforme technologique SupraAntigen™ exclusive de la société. Le vaccin est conçu pour stimuler le système immunitaire du patient afin qu'il produise des anticorps ciblant particulièrement la forme oligomérique et fibrillaire de la protéine Abêta de façon à prévenir l'accumulation de plaques bêta-amyloïdes et à améliorer l'élimination des plaques. Les données précliniques ont mis en évidence une activité significative dans la réduction des plaques et le rétablissement de la mémoire, ainsi qu'un profil d'innocuité favorable, caractérisé par une absence d'inflammation locale et un mécanisme d'action indépendant des lymphocytes T inflammatoires. Le vaccin fait actuellement aussi l'objet d'une étude clinique de phase 1/2a menée chez des patients atteints de la forme légère à modérée de la maladie d'Alzheimer, chez qui aucun problème d'innocuité significatif n'a été détecté à ce jour.

### **A propos du syndrome de Down**

Le syndrome de Down, ou trisomie 21, est la cause génétique la plus courante de déficiences intellectuelles et de retard du développement. Il touche un nouveau-né sur 700. Cette maladie survient lorsqu'une personne possède trois copies du 21<sup>e</sup> chromosome, au lieu de deux. Ce matériel génétique supplémentaire est à l'origine de troubles cognitifs et de troubles de la croissance. Il est en outre associé à d'autres problèmes médicaux, allant des déficiences neurologiques et cardiaques aux troubles de la vision et de l'audition, en passant par le développement précoce de la maladie d'Alzheimer. L'espérance de vie moyenne des personnes atteintes du syndrome de Down est passée de 25 ans dans les années 1980 à environ 60 ans aujourd'hui.

### **A propos de la maladie d'Alzheimer**

Il devient de plus en plus clair que la maladie d'Alzheimer est le résultat d'une série complexe d'événements qui surviennent dans le cerveau sur une longue période. Deux protéines – Tau et bêta-amyloïdes (Abêta) – sont considérées comme des marqueurs majeurs de la neurodégénérescence: des enchevêtrements et d'autres formes anormales de la protéine Tau s'accumulent dans les cellules cérébrales et se propagent entre les cellules, tandis que des plaques et des oligomères formés par l'Abêta se développent en dehors des cellules cérébrales chez les personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer.

Constituant l'un des principaux fardeaux de notre société, la maladie d'Alzheimer connaît une forte incidence qui ne cesse de croître dans le monde, avec un nouveau cas toutes les trois secondes ou 9,9 millions de nouveaux cas de démence chaque année. L'incidence et la prévalence de la maladie d'Alzheimer augmentant avec l'âge, le nombre de patients ne cessera de progresser dans notre société vieillissante. En 2015, on compte 46,8 millions de personnes atteintes de démence dans le monde et ce nombre devrait tripler pour atteindre 131,5 millions de patients d'ici 2050. On estime que le coût annuel des formes de démence pour la société et l'économie est passé de

604 milliards de dollars en 2010 à 818 milliards en 2015. Aux Etats-Unis, la maladie d'Alzheimer est désormais la sixième cause de décès quel que soit l'âge et la cinquième pour la population âgée de 65 ans et plus.

### **A propos d'AC Immune**

[AC Immune](#) est une société biopharmaceutique suisse axée sur les maladies neurodégénératives dont trois produits font actuellement l'objet d'essais cliniques. La société conçoit, découvre et développe des produits thérapeutiques et diagnostiques visant à prévenir et modifier des maladies provoquées par des protéines mal repliées. Les deux plateformes technologiques exclusives d'AC Immune créent des anticorps, de petites molécules et des vaccins destinés à de vastes marchés pour un large spectre d'indications neurodégénératives. La maladie d'Alzheimer est la principale indication de ces produits, mais les traitements novateurs, extrêmement différenciés et modificateurs de la maladie sont en mesure de révolutionner le traitement d'autres maladies neurodégénératives telles que la maladie de Parkinson, le syndrome de Down et le glaucome. La société dispose d'un vaste pipeline diversifié et prometteur comptant sept produits thérapeutiques et trois produits diagnostiques. Parmi ceux-ci, le produit le plus avancé est le crenezumab, un anticorps anti-Abêta concédé en licence à Genentech et qui entre en phase 3. Le crenezumab a été choisi par l'US National Institute of Health pour être évalué dans le cadre du premier essai jamais mené en matière de prévention de la maladie d'Alzheimer. La société a conclu des partenariats pour trois programmes ciblant la protéine Tau: ACI-35 avec Janssen (vaccin thérapeutique, phase 1b), des traceurs TEP de la protéine Tau avec Piramal (agent diagnostique de la maladie d'Alzheimer) ainsi que des anticorps anti-Tau avec Genentech (stade préclinique). L'essai de phase 1/2a évaluant le vaccin anti-Abêta ACI-24 est réalisé en interne par AC Immune.

### **A propos du Down Syndrome Research and Treatment Center (centre de traitement et de recherche sur le syndrome de Down) de l'Université de Californie à San Diego**

Créé en 2009, le centre s'efforce de définir les gènes et les mécanismes responsables des troubles cognitifs dont souffrent les personnes atteintes du syndrome de Down. Les enseignements tirés des études de recherche permettent de convertir les résultats scientifiques en nouveaux traitements, soit sur la base de médicaments existants, soit par la mise au point de nouvelles substances. Le travail du centre s'est traduit par des innovations conceptuelles et par une série de nouvelles cibles thérapeutiques. Il a également inspiré les études existantes, ainsi que l'étude clinique dont il est question dans le présent communiqué de presse (financée par la subvention des NIH numéro R01AG047922). Le centre bénéficie du soutien des NIH et de fondations privées, notamment de la LuMind Research Down Syndrome Foundation, de l'Alzheimer Association, du Tau Consortium et du Cure Alzheimer Fund.

### **A propos de la LuMind Research Down Syndrome Foundation**

La [LuMind Research Down Syndrome Foundation](#), anciennement Down Syndrome Research and Treatment Foundation (DSRTF) and Research Down Syndrome, est un organisme international à but non lucratif basé à Marlborough, dans le Massachusetts, dont la mission consiste à accélérer l'élaboration de traitements visant à améliorer sensiblement les facultés cognitives, notamment la mémoire, l'apprentissage et le langage, des personnes atteintes du syndrome de Down. La LuMind RDS Foundation est le principal organisme de financement privé soutenant la recherche sur le syndrome de Down dans les grands centres de recherche, notamment Johns Hopkins Medicine, la Stanford University, l'Université de Californie à San Diego et l'Université d'Arizona. Depuis sa création en 2004, la LuMind RDS Foundation a investi plus de 13 millions de dollars dans le financement de programmes de recherche performants en faveur des enfants et des adultes atteints du syndrome de Down. Son rôle a été prépondérant dans le lancement des études cliniques en cours.

**Pour de plus amples informations, veuillez contacter:**

**AC Immune**

Prof. Andrea Pfeifer Chief Executive Officer Tel: +41-21-693 91 21 E-mail: <a href="mailto:andrea.pfeifer@acimmune.com">andrea.pfeifer@acimmune.com</a>	Eva Schier Corporate Communications Manager Tel: +41-21-693 91 34 E-mail: <a href="mailto:eva.schier@acimmune.com">eva.schier@acimmune.com</a>
Nick Miles Senior Consultant Cabinet Privé de Conseils s.a. Tel : +41 79 678 76 26 E-mail : <a href="mailto:miles@cpc-pr.com">miles@cpc-pr.com</a>	In the US Ted Agne The Communications Strategy Group Inc. Tel: +1 781 631 3117 E-mail: <a href="mailto:edagne@comstratgroup.com">edagne@comstratgroup.com</a>

**UCSD**

William C Mobley, M.D., Ph.D. Professor of Neurosciences, and Executive Director, Down Syndrome Research and Treatment Center Tel: +1 858-534-9434 E-mail: <a href="mailto:wmobley@ucsd.edu">wmobley@ucsd.edu</a>	Scott LaFee Director, Media Relations Marketing and Communications UC San Diego Health Sciences Tel : +1 619-543-6163 E-mail : <a href="mailto:mailto:slafee@ucsd.edu">mailto:slafee@ucsd.edu</a>
--	--

**LuMind Research Down syndrome Foundation**

Carolyn Cronin President/Chief Executive Officer Tel: (508) 630-2178 E-mail: <a href="mailto:ccronin@lumindrds.org">ccronin@lumindrds.org</a>	Ellen Oliver Marketing Director Tel: (508) 630-2179 E-mail: <a href="mailto:eoliver@lumindrds.org">eoliver@lumindrds.org</a>
Michael M. Harpold, PhD Chief Scientific Officer Tel: (520) 297-3105 E-mail: <a href="mailto:mharpold@lumindrds.org">mharpold@lumindrds.org</a>	