



MaaT Pharma annonce des résultats positifs pour l'étude pivotale de Phase 3 ARES évaluant MaaT013 dans la maladie aiguë du greffon contre l'hôte

L'étude a atteint son critère principal d'évaluation avec un taux de réponse globale gastro-intestinale significatif au 28^{ème} jour de 62% démontrant une efficacité sans précédent de MaaT013 en tant que traitement de troisième ligne de l'aGvH avec atteinte gastro-intestinale (GI-aGvH)

- Le taux de réponse globale gastro-intestinale élevé est supérieur au taux de réponse attendu de 38%. Les réponses complètes (CR) à elles seules étaient de 38% et les très bonnes réponses partielles (VGPR) de 20%.
- Les réponses pour tous les organes (ORR), fréquentes et significatives, comprenant principalement 36% de réponse complète (CR) et 18% de très bonne réponse partielle (VGPR), reflètent aussi les effets systémiques au-delà du tractus gastro-intestinal.
- La probabilité de survie à 1 an de 54% associée à la réponse clinique, souligne le potentiel de MaaT013 pour améliorer la survie à long terme de la GI-aGvH en 3^{ème} ligne.
- La Société prévoit de déposer une demande d'AMM en Europe à la mi-2025, devançant ainsi les délais annoncés initialement.

Une conférence téléphonique et un webcast se tiendront le jeudi 9 janvier 2025, à 16h00 CET / 7h00 PST / 10h00 EST / 19h00 GST
[Pour vous inscrire, veuillez cliquer ici.](#)

Lyon, France, 8 janvier 2025 - 19h30 CET - [MaaT Pharma](#) (EURONEXT : MAAT - la « Société »), société de biotechnologies en stade clinique avancé, leader dans le développement de Microbiome Ecosystem Therapies™ (MET)¹ visant à améliorer la survie des patients atteints de cancers grâce à la modulation du système immunitaire, annonce aujourd'hui les résultats principaux d'ARES, une étude européenne pivotale de Phase 3 multicentrique, ouverte et à un seul bras, évaluant l'efficacité et la sécurité de

¹ Microbiome Ecosystem Therapy™: Microbiothérapie à Ecosystème Complet

MaaT013 chez des patients atteints de la maladie aiguë du greffon contre l'hôte avec atteinte gastro-intestinale (GI-aGvH) en troisième ligne de traitement, c'est-à-dire réfractaires aux stéroïdes et réfractaires ou intolérants au ruxolitinib. L'étude a notamment atteint son critère principal d'évaluation, avec un taux de réponse globale gastro-intestinale (GI-ORR) significatif à 28 jours de 62%, supérieur au taux de réponse attendu de 38%. Les réponses évaluées par un Comité de revue indépendant (Independent Review Committee - IRC) dépassent le seuil de significativité prédéfini dans le protocole et confirment l'efficacité clinique sans précédent de MaaT013 dans le traitement de la GI-aGvH en troisième ligne.

« L'aGvH avec atteinte gastro-intestinale est une maladie dévastatrice, en particulier pour les patients qui ne répondent pas au ruxolitinib. Ces patients font face à un besoin médical urgent non satisfait, avec des taux de survie extrêmement bas et un manque crucial d'options thérapeutiques efficaces », a déclaré le Professeur Mohamad Mohty, Professeur d'hématologie et Chef du Service d'hématologie et de thérapie cellulaire à l'Hôpital Saint-Antoine et à Sorbonne Université, Paris France. « Les résultats de MaaT013 dans cet essai de Phase 3 marquent une avancée décisive dans le traitement de troisième ligne de la GI-aGvH. En ciblant directement l'interface intestin-immunité, cette thérapie innovante a le potentiel de redéfinir la prise en charge de cette maladie, apportant un nouvel espoir aux patients et aux cliniciens. »

« Nous tenons à remercier tous les patients ayant participé à cette étude pionnière. Ces résultats principaux positifs positionnent MaaT013 comme un traitement « first in class » de la GI-aGvH, offrant une nouvelle option potentielle pour les patients ayant besoin de traitements efficaces lorsque les stéroïdes et le ruxolitinib ont échoué. ARES représente la toute première étude clinique pivotale positive avec une approche centrée sur le microbiote, limitant l'usage prolongé des immunosuppresseurs, et confirme le leadership de MaaT Pharma dans ce domaine. Ces résultats valident également la plateforme thérapeutique de la Société, soutenant ses programmes et ouvrant la voie à de nouvelles applications potentielles en oncologie, dans les maladies inflammatoires et dans d'autres domaines thérapeutiques », ajoute le Docteur Gianfranco Pittari, PhD, directeur médical, MaaT Pharma.

Les options thérapeutiques pour les patients atteints de GI-aGvH réfractaires aux stéroïdes et réfractaires ou intolérants au ruxolitinib restent très limitées au regard du mauvais pronostic de cette maladie, avec un taux de survie à un an de seulement 15 % (Abedin et al., 2021). MaaT013 a le potentiel de devenir la première option approuvée en traitement de troisième ligne, améliorant considérablement les chances de survie et redéfinissant les perspectives à long terme pour environ 3 000 patients atteints de GI-aGvHD en troisième ligne diagnostiqués chaque année aux États-Unis, au Canada et en Europe.

Résultats principaux :

- Dans l'étude ARES à un seul bras, 66 patients adultes atteints de GI-aGvH réfractaires aux stéroïdes et réfractaires ou intolérants au ruxolitinib ont été traités avec MaaT013 en troisième ligne dans 50 sites européens (Autriche, Belgique, France, Allemagne, Italie et Espagne).
- Caractéristiques des patients :
 - Sexe : 47% femmes, 53% hommes

- Age médian : 55,5 ans (24-76)
 - À l'inclusion, la classification de l'aGvHD (selon les évaluations de l'IRC et des investigateurs) :
 - Grade II : 9,1 %
 - Grade III : 57,6 %
 - Grade IV : 33,3 %
 - Réfractaire aux stéroïdes : 86,4 %
 - Dépendant des stéroïdes : 13,6 %
 - Réfractaire au ruxolitinib : 100 %
 - Intolérant au ruxolitinib : 0 %
- L'étude **a atteint son critère principal d'évaluation** ($p < 0.0001$), à savoir le taux de réponse GI-ORR au 28^{ème} jour du traitement par MaaT013, tel qu'évalué par le Comité de revue indépendant (IRC).
 - **Taux de réponse nets, forts et durables, se traduisant par une survie prolongée :**
 - Le GI-ORR au 28^{ème} jour a été observé chez 41/66 patients (62%) avec principalement une réponse complète (CR) pour 25/66 patients, soit 38% et une très bonne réponse partielle (VGPR) pour 13/66 patients, soit 20%.
 - L'ORR dans tous les organes évaluables a été observé chez 42/66 patients (64%) et était également lié à un taux élevé de CR (pour 24/66 patients, soit 36%) et de (VGPR pour 12/66 patients, soit 18%).
 - La probabilité de survie globale à 12 mois était de 54% (médiane de survie non atteinte). La probabilité de survie globale à 12 mois des patients répondeurs au 28^{ème} jour était significativement plus élevée que celle des non-répondeurs (respectivement 67% vs 28%, $p < 0.0001$), soulignant le bénéfice clinique significatif de MaaT013 en termes de survie dans les cas de GI-aGvH réfractaires.

Les patients recrutés continueront à être suivis pour l'évaluation des critères d'évaluation secondaires et exploratoires pendant toute la durée de l'étude. Les résultats devraient être présentés lors de futures conférences scientifiques.

La sécurité de MaaT013 a déjà été confirmée en octobre 2023 par le Comité indépendant de surveillance et de sécurité (Data Safety Monitoring Board - DSMB) dans le cadre de l'étude ARES, après évaluation des 30 premiers patients inclus. Les résultats ont montré que le traitement était bien toléré, sans augmentation du risque d'infection ni d'événements sérieux indésirables liés au traitement ([Détails ici](#)). La pharmacovigilance et le suivi par le DSMB se poursuivent.

Grâce à ces données robustes sur l'efficacité et la sécurité, MaaT Pharma poursuit l'instruction de son dossier réglementaire pour MaaT013 en Europe, dans le traitement de la GI-aGvH en troisième ligne, avec pour objectif de soumettre une demande d'autorisation centralisée de mise sur le marché (AMM) à l'Agence européenne des médicaments (EMA) à la mi-2025, en avance par rapport aux délais annoncés initialement. La procédure centralisée permet d'obtenir une autorisation unique dans l'ensemble de l'Union Européenne (27 membres), facilitant ainsi l'accès aux patients et la mise sur le marché.

Conformément à sa mission de proposer de nouvelles options thérapeutiques pour répondre à des besoins médicaux non satisfaits, MaaT Pharma continuera à garantir l'accès à MaaT013 en Europe pour les patients atteints d'aGvH (et d'autres indications) via son programme d'accès compassionnel (EAP), qui a dépassé les 100 demandes en 2024. Le programme EAP se poursuivra tout au long de la phase d'évaluation réglementaire et jusqu'à la commercialisation, attendue fin 2026. Par ailleurs, le programme d'accès compassionnel, qui a été [étendu aux États-Unis en décembre 2024](#), se poursuivra en parallèle, pendant que la Société progresse dans ses préparatifs de l'essai clinique de Phase 3 aux États-Unis, dont l'initiation est attendue en 2025, sous réserve de l'obtention des financements nécessaires.

Informations sur la conférence téléphoniques et le webcast

MaaT Pharma organisera une conférence téléphonique et un webcast demain, jeudi 9 janvier 2025, à 16h00 CET / 7h00 PST / 10h00 EST / 19h00 GST. Hervé Affagard, Directeur Général et co-fondateur, Dr Gianfranco Pittari, PhD, Directeur Médical, Eric Soyer, Directeur Financier, et Sian Crouzet, Chief of Staff, commenteront plus en détail l'impact des résultats de l'étude de Phase 3 ARES et les perspectives associées pour MaaT Pharma. [Pour vous inscrire, veuillez cliquer ici](#). Les participants peuvent également rejoindre la conférence par téléphone en composant le numéro suivant +33 1 78 42 94 76 et le code PIN 85 99 53.

A propos de MaaT Pharma

MaaT Pharma est une société de biotechnologie en phase clinique avancée, leader dans le développement de médicaments issus du microbiote intestinal dédiés à moduler le système immunitaire des patients atteints de cancer et à améliorer leur survie. Soutenue par une équipe experte qui s'engage à faire la différence pour les patients du monde entier, la Société a été fondée en 2014 et est basée à Lyon en France. Pionnière dans son domaine, MaaT Pharma développe le premier candidat-médicament immunomodulateur basé sur le microbiote intestinal en oncologie, actuellement en phase 3 d'évaluation clinique. Grâce à ses technologies propriétaires de « pooling » (combinaison de dons de microbiotes sains) et de co-culture microbienne, MaaT Pharma développe des médicaments standardisés à haute diversité bactérienne, visant à améliorer la survie des patients atteints de cancer. MaaT Pharma est cotée sur Euronext Paris (MAAT) depuis 2021.



À propos de MaaT013

Les microbiothérapies à écosystème complet (MET) développées par MaaT Pharma sont conçues pour tirer parti de l'écosystème complet du microbiote afin de rétablir l'équilibre et de maximiser les avantages cliniques pour les patients souffrant de dysbiose sévère induite par le traitement dans les maladies aiguës. MaaT013 est une *Microbiome Ecosystem Therapy* (microbiothérapie à écosystème complet) prête à l'emploi, standardisée et issue d'une combinaison de microbiotes de donneurs sains pour une utilisation dans les situations d'urgence. Le produit est caractérisé par une diversité et une richesse élevées et standardisées des espèces microbiennes qu'il contient et la présence de Butycore™ (ensemble de bactéries produisant des métabolites anti-inflammatoires). MaaT013 a pour objectif de restaurer la relation symbiotique entre le microbiote intestinal du patient et son système immunitaire, afin de corriger la réactivité et restaurer la tolérance des fonctions immunitaires et ainsi de réduire l'aGvH gastro-intestinale résistante aux stéroïdes. MaaT013 a reçu la désignation de médicament orphelin de la Food and Drug Administration (FDA) aux États-Unis et de l'Agence européenne des médicaments (EMA).

À propos de la maladie du greffon contre l'hôte aiguë

L'aGvH survient chez les patients dans les 100 jours après une greffe de cellules souches ou de moelle osseuse. Les cellules greffées "attaquent" le receveur, provoquant une inflammation de la peau, du foie et/ou du tractus gastro-intestinal et entraînant une morbidité et une mortalité élevées. L'atteinte gastro-intestinale notamment

est associée à des complications graves telles que diarrhées intenses, douleurs abdominales, hémorragies intestinales et mettant en jeu le pronostic vital du patient, avec un risque de mortalité accru, en raison des difficultés liées à la prise en charge d'une inflammation gastro-intestinale sévère et des risques associés d'infection, de malnutrition et de défaillance d'organes. Le traitement thérapeutique standard de première ligne pour traiter l'aGvH est le recours aux stéroïdes. Si les patients ne répondent pas aux stéroïdes, ils sont considérés comme résistants (SR) et d'autres traitements peuvent être administrés. Actuellement, le seul médicament approuvé pour le traitement de l'aGvH SR, après échec de la corticothérapie, est le ruxolitinib. Pour cette indication, ce dernier est actuellement approuvé aux États-Unis et a également reçu l'approbation du Comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) en Mars 2022.

Données prospectives

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives. Toutes les déclarations autres que les énoncés de faits historiques inclus dans le présent communiqué de presse au sujet d'événements futurs sont sujettes à (i) des changements sans préavis et (ii) des facteurs indépendants de la volonté de la Société. Ces déclarations peuvent comprendre, sans s'y limiter, tout énoncé précédé, suivi ou incluant des mots tels que « cibler », « croire », « s'attendre à », « viser », « avoir l'intention de », « pouvoir », « prévoir », « estimer », « planifier », « projeter », « vouloir », « pouvoir avoir », « susceptible de », « probable », « devoir », « prévisions » et d'autres mots et termes ayant un sens similaire ou la forme négative qui en découle. Les déclarations prospectives sont assujetties à des risques et à des incertitudes inhérentes indépendants de la volonté de la Société qui pourraient conduire à ce que les résultats ou les performances réels de la Société diffèrent considérablement des résultats ou des performances attendus exprimés ou sous-entendus dans ces déclarations prospectives.

Contacts

MaaT Pharma – Relations investisseurs

Guillaume Debroas, Ph.D.
Responsable des Relations Investisseurs
+33 6 16 48 92 50
invest@maat-pharma.com

MaaT Pharma – Relations médias

Pauline Richaud
Sr PR & Corporate Communications Manager
+33 6 14 06 45 92
media@maat-pharma.com

Rx Communications Group – U.S. Relations Investisseurs

Michael Miller
Managing Director
+1-917-633-6086
mmiller@rxir.com

Catalytic Agency – U.S. Relations Médias

Heather Shea
Media relations
+1 617-286-2013
heather.shea@catalyticagency.com