

Onxeo présentera les résultats finaux de l'étude de phase 1 DRIIV-1 d'AsiDNA™ dans les tumeurs solides avancées au Congrès international sur les cibles moléculaires et les thérapeutiques anticancéreuses de l'AACR-NCI-EORTC

Les résultats positifs de tolérance et d'activité de DRIIV-1 ont permis l'initiation de DRIIV-1b, étude de phase 1b évaluant AsiDNA™ en association avec une chimiothérapie

Paris (France), le 15 octobre 2019 - 18h00 CEST - Onxeo S.A. (Euronext Paris, NASDAQ Copenhague : ONXEO – éligible PEA-PME), ci-après « Onxeo » ou « la Société », 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 la Société présentera les résultats finaux de son étude de phase 1 DRIIV-1 d'AsiDNA™, son inhibiteur *first-in-class* de la réparation de l'ADN, lors d'une session de posters qui se tiendra le 27 octobre 2019 à l'occasion du Congrès international sur les cibles moléculaires et les thérapeutiques anticancéreuses de l'AACR-NCI-EORTC, à Boston (États-Unis).

Olivier de Beaumont, directeur médical d'Onxeo, commente : « DRIIV-1 a confirmé le profil de tolérance favorable d'AsiDNA™ et a validé son mécanisme d'action dans les cellules tumorales des patients au travers de l'activation marquée de ses cibles. De plus, la dose active optimale de 600 mg d'AsiDNA™ a été déterminée et est actuellement utilisée dans l'étude DRIIV-1b en cours, dans laquelle AsiDNA™ est associé à la chimiothérapie. DRIIV-1 a été le point de départ de notre stratégie de développement clinique d'AsiDNA™ par voie intraveineuse et nous nous réjouissons de partager les résultats complets de cette importante étude avec la communauté internationale de l'oncologie, ainsi que de présenter les prochaines étapes prévues. »

Le poster, intitulé « **Phase I dose escalation study evaluating the safety, pharmacokinetics (PK) and pharmacodynamics (PD) of AsiDNA, a first-in-class DNA Repair Inhibitor, administered intravenously (IV) in patients with advanced solid tumors¹** », sera présenté par le professeur Christophe Le Tourneau, investigateur principal de l'étude et directeur du département d'essais cliniques précoces et d'innovation à l'Institut Curie à Paris.

| | |
|------------------------------------|---------------------------------|
| > Titre de la session | Essais cliniques |
| > Date de la session | Dimanche 27 octobre |
| > Heure de démarrage de la session | 12h30 |
| > Heure de fin de la session | 16h00 |
| > Lieu | Hall D, Centre de congrès Hynes |
| > Numéro permanent de l'abstract | A076 |

L'objectif principal de cette étude ouverte à dose croissante était d'établir les toxicités limitant la dose et de déterminer la dose maximum tolérée d'AsiDNA™ administrée par voie intraveineuse. Elle avait aussi pour objectif d'évaluer le profil de tolérance du candidat-médicament, ses paramètres pharmacocinétiques et pharmacodynamiques, ainsi que les données préliminaires d'efficacité. Vingt-deux patients atteints de

¹ Étude de phase I à dose croissante évaluant le profil de toxicité, la pharmacocinétique et la pharmacodynamique d'AsiDNA, un inhibiteur first in class de la réparation de l'ADN administré par voie intraveineuse chez des patients présentant des tumeurs solides avancées



tumeurs solides avancées et en échec après plusieurs traitements anti-tumoraux ont reçu une dose de charge d'AsiDNA™ pendant trois jours consécutifs, suivis d'une perfusion hebdomadaire d'une heure au cours de cycles de 21 jours. Lors de chaque cycle suivant, AsiDNA™ a été administré chaque semaine et ce jusqu'à la progression de la maladie, ou jusqu'à un niveau de toxicité inacceptable, ou sur décision du patient.

L'activité biologique a été mise en évidence par l'augmentation de γ H2AX et pHSP90, deux biomarqueurs intra-tumoraux de DNA-PK, l'une des protéines de réparation de l'ADN ciblées par AsiDNA™. Le profil de tolérance favorable du candidat-médicament a été confirmé, dans la mesure où 90% de tous les effets indésirables liés au produit sont des effets non spécifiques de grade 1 et 2. La dose maximale tolérée n'a pas été atteinte. La dose de 600 mg a été déterminée comme étant la dose biologique optimale pour le développement ultérieur du produit, compte tenu des profils de tolérance et pharmacocinétique favorables, ainsi que de la forte activation des cibles constatée à ce niveau de dose. La maladie a été stabilisée chez deux patients atteints d'un cancer colorectal avancé.

Prochains événements

- | | | |
|-------------------------|--|----------------------|
| ▪ 23 et 24 octobre 2019 | Conférence Galien MedStart'Up | New York, États-Unis |
| ▪ 26-30 octobre 2019 | Conférence 'Molecular Targets & Cancer Therapeutics' de l'AACR-NCI-EORTC | Boston, États-Unis |
| ▪ 6 novembre 2019 | Évènement Direct Dirigeants | Paris, France |
| ▪ 12-13 novembre 2019 | Bryan, Garnier & Co European Healthcare Conference | Paris, France |
| ▪ 12-15 novembre 2019 | Tides Europe 2019 | Amsterdam, Hollande |
| ▪ 29-31 janvier 2020 | DNA Damage Response Therapeutics Summit 2019 | Boston, États-Unis |

À propos d'Onxeo

Onxeo (Euronext Paris, NASDAQ 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 exclusive 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 issu de platON™, est un inhibiteur first-in-class et très différencié de la réponse aux dommages de l'ADN tumoral, basé sur un mécanisme original de leurre et d'agoniste agissant en amont de multiples voies de DDR. Les études translationnelles ont mis en évidence des propriétés antitumorales singulières d'AsiDNA™, notamment la capacité à s'opposer et même à inverser la résistance des tumeurs aux inhibiteurs de PARP quel que soit le statut de mutation génétique. AsiDNA™ a aussi montré une forte synergie avec d'autres agents endommageant l'ADN tumoral comme la chimiothérapie ou les inhibiteurs de PARP. L'étude de phase 1 DRIIV-1 (*DNA Repair Inhibitor administered IntraVenously*) évaluant AsiDNA™ par administration systémique (IV) dans les tumeurs solides avancées a permis de confirmer les doses actives et un bon profil de tolérance chez l'homme. L'étude d'extension DRIIV-1b en cours évalue la tolérance et l'efficacité d'AsiDNA™ à la dose de 600 mg en association avec le carboplatine puis avec carboplatine plus paclitaxel, chez des patients atteints de tumeurs solides et éligibles à ces traitements. DRIIV-1b se déroule en Belgique dans deux centres investigateurs et les premiers résultats de tolérance et d'efficacité sont attendus en fin d'année.

OX401 est un nouveau candidat généré par platON™, optimisé pour être un inhibiteur de PARP de nouvelle génération, agissant à la fois sur la réponse aux dommages de l'ADN et sur l'activation de la réponse immunitaire, sans induire de résistance. OX401 est en phase de preuve de concept préclinique, seul et en association avec des immunothérapies.

Le portefeuille d'Onxeo comprend également **belinostat**, un inhibiteur d'HDAC (épigénétique). Belinostat dispose déjà d'une approbation conditionnelle de la FDA pour le traitement de 2^{ème} ligne des patients atteints de lymphome à



cellules T périphériques et est commercialisé depuis 2014 aux États-Unis dans cette indication sous le nom de Beleodaq®.

Pour plus d'informations, visitez 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 à la section 5.5.1.4 « Facteurs de Risque » du document de référence 2018 déposé auprès de l'Autorité des marchés financiers le 5 avril 2019 sous le numéro D.19-0282, qui est disponible sur les sites Internet de l'AMF (www.amf-france.org) et de la Société (www.onxeo.com).

Contacts

Onxeo

Valérie Leroy, Relations
Investisseurs
investors@onxeo.com
+33 1 45 58 76 00

Relations Presse

Nicolas Merigeau
NewCap
onxeo@newcap.eu
+33 1 44 71 94 98

Relations Investisseurs / Communication stratégique

Dušan Orešanský / Emmanuel Huynh
NewCap
onxeo@newcap.eu
+33 1 44 71 94 92

Investor Relations US

Brian Ritchie
LifeSci Advisors
britchie@lifesciadvisors.com
+1 212 915 2578