

### EXONHIT FAIT LE POINT SUR SES ACTIVITES THERAPEUTIQUES CLINIQUES

**Un pas décisif a été franchi : un « diagnostic compagnon » permet de suivre l'efficacité de la molécule EHT 0202**

**Paris, France – 23 novembre 2006** - ExonHit Therapeutics, société de découverte pharmaceutique et diagnostique concentre ses efforts de recherche depuis plusieurs années sur l'identification de biomarqueurs permettant la détection et le suivi des patients atteints de la maladie d'Alzheimer ainsi que sur la synthèse de molécules susceptibles de changer le cours de la maladie. Ces recherches sur fonds propres s'effectuent en synergie avec celles réalisées dans le cadre de la collaboration avec la société Allergan qui recouvre le domaine des maladies neurodégénératives et l'ensemble constitue un programme de recherche de grande ampleur.

ExonHit Therapeutics a toujours soutenu que la mise au point d'un « diagnostic compagnon » devait procurer un avantage décisif au succès du développement d'une molécule au travers des différentes phases cliniques. ExonHit Therapeutics annonce aujourd'hui avoir démontré que la molécule EHT 0202 conduit à une augmentation d'un marqueur sanguin dont les propriétés sont directement liées aux effets de la molécule sur les symptômes et l'évolution de la maladie d'Alzheimer. Cette découverte a déjà fait l'objet de dépôts de nouveaux brevets, et va permettre de recruter, lors des essais cliniques, les patients atteints de la maladie d'Alzheimer susceptibles de répondre à l'administration du EHT 0202.

La maladie d'Alzheimer se caractérise, entre autre, par la présence dans le cerveau de plaques séniles qui sont composées d'agrégats du peptide bêta amyloïde. Les plaques séniles sont à l'origine de la mort des neurones dans des zones discrètes du cerveau responsables des fonctions cognitives. Les chercheurs d'ExonHit ont découvert deux séries de molécules, dont l'une, la molécule EHT 0202, s'oppose à la toxicité et à la formation du peptide bêta amyloïde en induisant la production dans le cerveau d'un peptide neuroprotecteur, le sAPP alpha, avec à la clé une amélioration importante des fonctions cognitives. Les doses d'EHT 0202 atteintes chez l'homme correspondent aux doses qui permettent pleinement d'améliorer les performances cognitives chez l'animal et de s'opposer aux effets délétères des plaques amyloïdes. Le sAPP alpha est également produit à partir des plaquettes sanguines et l'EHT 0202 induit une production de ce peptide qui est alors mesurable dans le sang. EHT 0202 a déjà été administrée, au cours de deux études de Phase I réalisées en 2005, à une centaine de patients volontaires jeunes. Ces derniers mois ExonHit a réalisé plusieurs étapes essentielles au bon développement clinique de cette molécule : la détection du peptide sAPP alpha dans le sang, la modification de la formulation pharmaceutique de la molécule pour être en phase avec les nouvelles normes européennes, et la poursuite des études de Phase Ib chez des volontaires sains mais cette fois-ci âgés. Ces études seront terminées en 2007 et une fois revues par les autorités réglementaires, EHT 0202 pourra alors être proposée pour des essais de recherche de doses actives chez des patients âgés atteints de la maladie d'Alzheimer (Phase 2) tout en dosant la production du peptide sAPP alpha dans le sang de ces patients.

« L'utilisation d'un diagnostic sanguin, mesurant la production du peptide suspecté être à l'origine des effets pro cognitifs de notre molécule, constitue un bel exemple de recherche clinique en pharmacogénomique. La FDA et l'EMA sont très favorables aux recherches thérapeutiques assistées par des diagnostics susceptibles de bien identifier les patients qui ont les meilleures chances de bénéficier du traitement proposé. C'est dans cet esprit que nous continuons nos essais cliniques thérapeutiques, relayés par un réseau international de cliniciens, afin de créer le meilleur contexte possible pour vendre en licence EHT 0202 une fois les Phase 2 réalisées » déclare Bruno Tocque, Président du Directoire d'ExonHit Therapeutics.

## A propos d' ExonHit Therapeutics

[www.exonhit.com](http://www.exonhit.com)

ExonHit Therapeutics est le leader dans l'analyse de l'épissage alternatif de l'ARN, un processus qui lorsqu'il est dérégulé est à l'origine de pathologies.

ExonHit a une stratégie commerciale à plusieurs composantes pour valoriser au mieux sa position dominante dans le domaine de l'épissage alternatif. La société a des revenus provenant de la commercialisation de SpliceArray, une nouvelle génération de puces à ADN permettant aux chercheurs de détecter des informations cruciales sur les pathologies. Ces produits sont commercialisés à travers le monde en partenariat avec les sociétés Agilent et Affymetrix. Dans le domaine du diagnostic, la société a une collaboration stratégique avec bioMérieux afin de mettre au point des diagnostics sanguins dans le domaine des cancers, visant à une meilleure prise en charge du cancer du sein et d'autres cancers majeurs.

En parallèle, ExonHit développe son propre portefeuille thérapeutique dans le domaine des maladies neurodégénératives et des cancers. La société a des essais cliniques en cours, un portefeuille de produits en stade pré-clinique et travaille également en collaboration avec la société Allergan pour la découverte et le développement de nouveaux médicaments dans le domaine de la douleur, de l'ophtalmologie et des maladies neurodégénératives. Cette collaboration procure un financement régulier à ExonHit pour ses efforts de recherche.

ExonHit Therapeutics, fondée en 1997, est basée à Paris et a également un laboratoire de recherche à Gaithersburg (Maryland, USA). La société est cotée sur le marché Alternext d'Euronext Paris (Mnémo : ALEHT ; ISIN : FR0004054427).

## Contacts

### ExonHit Therapeutics

Bruno Tocqué, Président du Directoire  
Philippe Rousseau, Directeur Financier

Tel: 33 1 58 05 47 00  
[philippe.rousseau@exonhit.com](mailto:philippe.rousseau@exonhit.com)

*Les éléments qui figurent dans cette communication peuvent contenir des informations prévisionnelles impliquant des risques et des incertitudes. En outre, le présent communiqué ne contient que des informations résumées et ne doit pas être considéré comme exhaustif. Les objectifs, déclarations et informations prospectives d' ExonHit Therapeutics qui pourraient être contenus dans ce document ne sont donnés qu'à des fins d'illustration et reposent sur les appréciations et hypothèses actuelles des dirigeants. Ces objectifs, déclarations et informations prospectives impliquent des risques connus ou inconnus ainsi que des incertitudes qui peuvent affecter les résultats, les réalisations ou la performance, tels que détaillés à la section 4.2 « Facteurs de risques » du Document de Base disponible sur le site Internet d'ExonHit Therapeutics ([www.exonhit.com](http://www.exonhit.com)) de manière à les rendre substantiellement différents de ceux attendus dans l'information résumée.*

*Enfin, le présent communiqué peut être rédigé en langue français et en langue anglaise. En cas de différences entre les deux textes, la version française prévaudra.*