

## COMMUNIQUE DE PRESSE

# MaaT Pharma annonce des premiers résultats positifs dans l'essai clinique de phase 2 HERACLES avec MaaT013 chez les patients atteints d'une maladie du greffon contre l'hôte aiguë (aGvHD)

- L'étude atteint ses objectifs clés, principaux et secondaires, avec un impact clinique positif et une bonne tolérance globale chez 21 patients lourdement prétraités et immunodéprimés présentant une GvHD aiguë réfractaire aux stéroïdes avec une prédominance gastro-intestinale après une greffe de cellules souches hématopoïétiques.
- Ces résultats sont en ligne avec les données précédemment observées sur une population plus importante de patients traités avec MaaT013 dans le cadre d'une ATU nominative en France<sup>1</sup>.
- Le programme MaaT013 est en bonne voie pour progresser vers une étude clinique pivot de phase 3.

**Lyon, France, le 17 mars 2021** - [MaaT Pharma](#) annonce aujourd'hui les premiers résultats positifs de son essai clinique de phase 2 évaluant sa *Microbiome Ecosystem Therapy*<sup>2</sup> la plus avancée, MaaT013, chez des patients à haut risque souffrant d'une maladie du greffon contre l'hôte aiguë et sévère (de grade III-IV), réfractaire aux stéroïdes, à composante gastro-intestinale prédominante (SR-GI-aGvHD). L'étude a atteint son principal critère d'efficacité clinique, démontrant un taux de réponse combiné de 33,3 % (réponse complète (CR) ou très bonne réponse partielle (VGPR)) à 28 jours après le début du traitement. En outre, le taux de réponse globale (ORR) était de 38,1% au 28<sup>ème</sup> jour et le meilleur taux de réponse globale (BORR) - soit le nombre de patients obtenant une réponse à tout moment jusqu'au jour 28 - était de 57,1%. MaaT013 a également montré un profil de sécurité acceptable chez ces patients.

Sur la base des bénéfices cliniques et du bon profil de sécurité observés à ce jour chez plus de 70 patients traités dans le cadre de l'essai HERACLES et de programmes d'accès précoce<sup>3</sup>, MaaT Pharma prévoit de lancer avec MaaT013 un essai pivot de phase 3 à visée d'enregistrement dans la GI-aGvHD.

---

<sup>1</sup> Autorisation Temporaire d'Utilisation délivrée à la demande et sous la responsabilité du médecin prescripteur qui considère que le médicament est susceptible de présenter un bénéfice pour ce patient.

<sup>2</sup> Une biothérapie tirant partie de la diversité de l'écosystème microbien

<sup>3</sup> Voir <https://www.maatpharma.com/maat-pharma-presents-positive-updated-results-with-its-lead-microbiome-biotherapeutic-maat013-in-intestinal-acute-gvhd-at-ash-2020-annual-meeting/>

Dr John Weinberg, MD, Directeur Médical de MaaT Pharma, commente : « *La GvHD aiguë est une maladie dévastatrice dont le traitement se limite souvent à inhiber le système immunitaire du patient. L'effet thérapeutique de notre produit le plus avancé, MaaT013, est très encourageant, en particulier chez une population de patients à haut risque. Il valide et renforce notre approche consistant à restaurer l'écosystème microbien de l'intestin pour normaliser la réponse immunitaire du patient. Les données de l'essai HERACLES, ainsi que les résultats des programmes d'accès précoce dans une population de patients plus diversifiée, démontrent le bénéfice réel que MaaT013 peut apporter à ces patients. Nous sommes impatients de partager les données complémentaires de l'essai HERACLES dans une publication à comité de lecture et de générer les données cliniques supplémentaires qui permettront de mettre MaaT013 à la disposition des patients atteints de GI-aGvHD dans le monde entier.* »

MaaT013 a été globalement bien toléré, dans un contexte où les patients ont été lourdement prétraités et sont immunodéprimés lorsqu'ils présentent une aGvHD réfractaire aux stéroïdes, sans qu'aucune augmentation des infections n'ait été observée.

Le professeur Mohamad Mohty, MD, PhD, coordinateur international de l'essai HERACLES, professeur d'hématologie à l'université de la Sorbonne et chef du service d'hématologie et de thérapie cellulaire de l'hôpital Saint-Antoine à Paris, ajoute : « *Le taux de mortalité chez les patients qui développent une GvHD aiguë peut aller jusqu'à 80%, et il a été démontré qu'un écosystème microbien altéré a un impact sur leur survie. Les résultats de l'étude de phase 2 de MaaT Pharma indiquent clairement que la restauration de l'écosystème microbien par la thérapie MaaT013 a un impact bénéfique sur ces patients. La colonisation réussie d'un microbiome intestinal et la restauration de l'interaction hôte-microbiome constituent une approche thérapeutique très prometteuse dans la GvHD aiguë.* »

MaaT Pharma présentera les données complètes de cette étude, y compris une analyse plus détaillée des critères d'évaluation principaux et secondaires, dans une publication scientifique et lors des prochaines conférences médicales.

### [A propos de la GvHD](#)

La maladie du greffon contre l'hôte (GvHD) est une affection qui peut survenir après une transplantation de cellules souches hématopoïétiques (HSCT), une thérapie potentiellement curative pour de nombreuses hémopathies malignes. La GvHD peut affecter la peau, le tractus gastro-intestinal (GI) et le foie ; la forme aiguë de la GvHD (aGvHD) intervient dans les 100 premiers jours après la greffe. La GI-aGvHD se développe lorsque des cellules immunitaires du donneur attaquent les tissus du patient, qu'elles ne reconnaissent pas comme appartenant à leur organisme, entraînant une morbidité et une mortalité élevées.



### A propos de l'essai HERACLES

L'essai HERACLES ([NCT03359980](#)) est une étude multicentrique, en ouvert, à un seul bras évaluant la sécurité et l'efficacité de MaaT013 chez des patients présentant une aGvHD de grade III-IV avec une atteinte gastro-intestinale prédominante après une allogreffe de cellules souches hématopoïétiques, et réfractaires au traitement de première intention, les corticostéroïdes à forte dose. Un total de 24 patients, dont 21 dans l'analyse per-protocole, ont reçu au moins une administration, et jusqu'à trois doses, de MaaT013 et la réponse au traitement a été évaluée sept jours après chaque administration et au 28<sup>ème</sup> jour après l'inclusion du patient. Le suivi des patients a été réalisé à 3 mois et 6 mois, avec un suivi final 12 mois après l'inclusion dans l'étude.

### À propos de MaaT013

MaaT013 est une biothérapie qui vise à restaurer l'écosystème du microbiote pour normaliser la réponse immunitaire du patient. MaaT013 est caractérisé par une grande richesse et une grande diversité microbienne. C'est un produit standardisé, composé d'une combinaison de microbiotes fécaux issus de donneurs, pour une administration par lavement. MaaT013 entend restaurer la relation symbiotique entre le microbiote intestinal du patient et ses cellules immunitaires afin de corriger la réactivité et restaurer la tolérance du système immunitaire et ainsi réduire la GI-aGvHD. 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). MaaT013 a été évalué dans un essai clinique de phase 2 (HERACLES - [NCT03359980](#)) et est également administré en usage compassionnel et dans le cadre d'une ATU nominative en France.

### À propos de MaaT Pharma

MaaT Pharma est une société de biotechnologies au stade clinique qui a mis au point une approche complète pour restaurer la symbiose microbiote/hôte des patients atteints de maladies graves et sévères. Engagée dans le traitement des cancers et de la maladie du greffon contre l'hôte (GVH), une complication grave survenant après une greffe de cellules souches hématopoïétiques, MaaT Pharma a déjà réalisé la preuve de concept de son approche chez des patients atteints de leucémie myéloïde aiguë et dans un essai clinique de phase 2 dans la GVH aiguë.

Pour soutenir le développement de notre portefeuille de produits et son extension à des indications plus larges, nous avons construit GutPrint®, une puissante plateforme de découverte et d'analyse pour 1/ évaluer les médicaments candidats, 2/ déterminer de nouvelles cibles thérapeutiques et 3/ identifier des biomarqueurs dans la prise en charge de pathologies impliquant le microbiote.

Nos thérapies restaurant l'écosystème du microbiote (*Microbiome Ecosystem Therapies*) peuvent être administrées par lavement ou encapsulée pour une administration orale. Elles



sont toutes produites dans le cadre très standardisé d'une fabrication et de contrôles qualité cGMP<sup>4</sup> afin de garantir en toute sécurité l'accès à la diversité et la richesse du microbiome. MaaT Pharma bénéficie de l'engagement de scientifiques de renommée mondiale et de relations établies avec les instances réglementaires pour être le fer de lance des bénéfiques thérapeutiques de la modulation du microbiote des patients et de son intégration dans la pratique clinique.

## Contacts

**Hervé Affagard, CEO MaaT Pharma**

Téléphone : +33 4 2829 1400

Courriel : [haffagard@maat-pharma.com](mailto:haffagard@maat-pharma.com)

## Médias

**France : ATCG Partners**

Marie Puvieux / Céline Voisin

Téléphone : +33 (0)9 81 87 46

Courriel : [maat@atcg-partners.com](mailto:maat@atcg-partners.com)

**Hors France : Trophic Communications**

Jacob Verghese / Stephanie May

Téléphone : +49 89 2388 7731

Courriel : [maat@trophic.eu](mailto:maat@trophic.eu)

---

<sup>4</sup> current Good Manufacturing Practices, ou en français « bonnes pratiques de fabrication aux standards les plus récents ».