

## **Le PBT 434 de Prana Biotechnology labellisé « médicament orphelin » pour le traitement de l'AMS**

**31 janvier 2019**

Prana Biotechnology Ltd (ASX: PBT, NASDAQ: PRAN) a annoncé aujourd'hui que la FDA (Food and Drug Administration) des États-Unis avait accordé l'appellation « médicament orphelin » à sa molécule-phare, PBT434, pour le traitement de l'atrophie multisystématisée (AMS). C'est la première fois que la FDA accorde le label « orphelin » à un médicament destiné au traitement de l'AMS.

L'appellation « médicament orphelin » par la FDA confère à Prana une exclusivité commerciale de sept ans pour l'utilisation du PBT434 dans le traitement de l'AMS et permet au promoteur du médicament de bénéficier de diverses incitations au développement prévues par la loi « Orphan Drug », notamment des crédits d'impôt pour des essais cliniques qualifiés.

La candidature de Prana qui vient d'être retenue présentait l'utilisation du PBT434 en tant que traitement de l'AMS et sa justification médicale et scientifique. Le dossier de candidature expliquait comment le PBT434 empêche l'accumulation de l' $\alpha$ -synucléine, préserve les neurones et améliore la fonction motrice dans un modèle animal largement accepté d'AMS. L'alpha-synucléine est un élément essentiel car les formes agrégées de cette protéine sont une caractéristique pathologique des affections parkinsoniennes, dont l'AMS, et représentent une cible thérapeutique reconnue par la communauté scientifique.

*« Nous sommes ravis que la FDA ait reconnu l'importance du PBT434 comme traitement potentiel de l'AMS. Cette reconnaissance, associée au récent investissement de Life Biosciences, nous positionne fortement pour accélérer le développement de PBT434 pour cette maladie dévastatrice », a déclaré le Dr David Stamler, médecin en chef.*

Prana a identifié un besoin médical clair et non satisfait, sans traitement approuvé spécifiquement pour l'AMS. Prana mène actuellement sur PBT434 un essai clinique de phase 1 qui devrait s'achever cette année.

\*\*\*\*\*

### **Prana Biotechnology développe des thérapies novatrices pour traiter les maladies neurodégénératives orphelines.**

Le candidat-médicament principal de Prana, PBT434, est la première d'une nouvelle génération de petites molécules conçues pour inhiber l'agrégation des protéines pathologiques impliquées dans la neurodégénérescence. Il a été prouvé que PBT434 réduisait l'accumulation anormale de protéines  $\alpha$ -synucléine et tau dans des modèles animaux de maladie en rétablissant l'équilibre normal du fer dans le cerveau. Il présente ainsi un excellent potentiel pour traiter diverses formes de parkinsonisme atypique, telles que l'atrophie multisystémique (AMS) et la paralysie supranucléaire progressive (PSP).

PBT434 s'est engagé dans les essais cliniques avec une étude de phase 1 chez des volontaires en bonne santé qui a commencé en juillet 2018 et sera suivie par une étude sur des patients atteints d'AMS et de PSP. Il n'y a pas de remède connu pour ces deux maladies ni de traitement actuel pour ralentir la progression de la maladie.

Prana Biotechnology a été fondée à Melbourne (Australie) en 1997 et possède des bureaux à Melbourne (Australie) et à San Francisco (États-Unis). La société a été inscrite à la bourse australienne des valeurs mobilières (ASX: PBT) en 2000 et à la cote du NASDAQ (NASDAQ: PRAN) en 2002.

## **Prana receives Orphan Designation for PBT434 for treatment of MSA**

January 31, 2019

Prana Biotechnology Ltd (ASX: PBT, NASDAQ: PRAN) has today announced the US Food and Drug Administration (FDA) has granted Orphan Drug designation for its lead molecule, PBT434, for the treatment of Multiple System Atrophy (MSA). This is the first time the FDA has granted orphan designation to a drug for the treatment of MSA.

Orphan Drug designation by the FDA entitles Prana to seven years of market exclusivity for the use of PBT434 in the treatment of MSA and qualifies the sponsor of the drug for various development incentives of the Orphan Drug Act, including tax credits for qualified clinical testing.

Prana's successful application was based on the proposed use of PBT434 as a treatment for MSA, including the medical and scientific rationale. The application articulated how PBT434 prevents  $\alpha$ -synuclein accumulation, preserves neurons, and improves motor function in a widely accepted animal model of MSA. Alpha-synuclein is of great interest because aggregated forms of the protein are a pathological hallmark of Parkinsonian conditions, including MSA, and it represents a recognised therapeutic target by the scientific community.

"We are pleased that the FDA has acknowledged the importance of PBT434 as a potential treatment for MSA. This recognition, in conjunction with the recent investment from Life Biosciences, positions us strongly to accelerate the development of PBT434 for this devastating condition," said Dr David Stamler, Chief Medical Officer.

Prana has identified a clear unmet medical need with no approved treatments specifically for MSA. Prana is conducting a Phase 1 clinical trial of PBT434 and expects it to be completed this year.

\*\*\*\*\*

### **Prana Biotechnology is developing first-in-class therapies to treat orphan neurodegenerative diseases.**

Prana's lead candidate, PBT434, is the first of a new generation of small molecules designed to inhibit the aggregation of pathological proteins implicated in neurodegeneration. PBT434 has been shown to

reduce abnormal accumulation of  $\alpha$ -synuclein and tau proteins in animal models of disease by restoring normal iron balance in the brain. In this way, it has excellent potential to treat various forms of atypical parkinsonism such as Multiple System Atrophy (MSA) and Progressive Supranuclear Palsy (PSP).

PBT434 will enter the clinic with a Phase 1 study in healthy volunteers in mid-2018 and thereafter in a study of patients with MSA and PSP. There is no known cure for either disease and no current treatments for slowing disease progression.

Prana Biotechnology was incorporated in Melbourne, Australia in 1997 and has offices in Melbourne, Australia, and San Francisco, USA. The Company listed on the Australian Securities Exchange (ASX: PBT) in 2000 and listed on the NASDAQ (NASDAQ: PRAN) in 2002.