



COMMUNIQUE DE PRESSE

Marseille/Evry, le 10 octobre 2007

Amyotrophie spinale Un essai clinique démarre auprès de 20 malades

Trophos, société biopharmaceutique basée à Marseille et spécialisée dans les maladies neurologiques, démarre un essai clinique de phase 1b sur 20 patients atteints d'amyotrophie spinale, une maladie rare neuromusculaire d'origine génétique. Mené à Garches, à Marseille et à Lille, l'essai vise à tester la tolérance ainsi que la vitesse d'absorption et d'élimination d'une molécule nouvelle (TRO19622), déjà testée avec succès sur des volontaires sains ainsi que sur des personnes atteintes de sclérose latérale amyotrophique. Cette molécule innovante a été désignée médicament orphelin par la Commission européenne.

Pour ce projet, Trophos reçoit depuis 7 ans le soutien financier déterminant de l'AFM grâce aux dons du Téléthon. A peine 4 ans après l'identification d'une molécule candidate, un essai sur l'Homme démarre : cela illustre une nouvelle fois le rôle moteur que peut jouer une association de malades sur le chemin du médicament.

Cet essai clinique de phase 1b vise à démontrer la sécurité de la molécule TRO19622 et d'en étudier la pharmacocinétique (comment cette nouvelle molécule se comporte dans l'organisme : vitesse d'absorption et d'élimination du médicament). Il concerne 20 enfants et jeunes adultes âgés de 6 à 25 ans atteints des types 1b, 2 et 3 de l'amyotrophie spinale, et se déroulera dans 3 centres hospitaliers français : à Garches (Pr Estournet – hôpital Raymond Poincaré), à Marseille (Pr Chabrol – hôpital de La Timone), et à Lille (Dr Cuisset – Centre Hospitalier Régional Universitaire).

La molécule TRO19622 a été découverte et développée par Trophos grâce à sa plate-forme de criblage. 40 000 molécules y ont été testées sur des cellules neuronales en culture afin d'identifier des composés susceptibles de traiter efficacement les maladies du motoneurone. Une fois identifiée, la molécule candidate a fait l'objet de tests précliniques qui ont montré une action neuro-protectrice et neuro-régénérative de la molécule. En 2005, plusieurs essais cliniques de phase 1 ont été menés avec succès chez des volontaires sains. En 2006, elle a été testée sur des personnes atteintes de sclérose latérale amyotrophique, une autre maladie neuromusculaire affectant le motoneurone, ce qui a permis de démontrer sa bonne tolérance et de caractériser sa pharmacocinétique.

En cas de succès et en fonction des autorisations réglementaires, cet essai de phase 1b sera suivi en 2008 d'un essai clinique multicentrique européen de phase II/III visant à tester l'efficacité du médicament dans l'amélioration de la fonction motrice des malades.

L'amyotrophie spinale (aussi appelée maladie de Werdnig-Hoffmann) est une maladie rare neuromusculaire héréditaire à transmission autosomique récessive. On estime leur prévalence à 1 naissance sur 6 000 à 10 000. Elle est due à la dégénérescence de certaines cellules nerveuses de la moelle épinière, les motoneurones : les nerfs moteurs des muscles sont lésés et meurent, l'ordre du mouvement n'est plus acheminé jusqu'aux muscles. Inactifs, ceux-ci s'affaiblissent, s'atrophient et se rétractent. Il existe 3 types d'amyotrophie spinale, définis par l'âge de début de la maladie et les capacités motrices des malades.

Pour plus d'infos sur la maladie : www.afm-france.org

Contacts Presse :

AFM : Estelle Assaf, 01 69 47 12 78, presse@afm.genethon.fr

Trophos : Andrew Lloyd, +44 1273 675 100, allo@ala.com