

La meilleure nouvelle pour la communauté Huntington depuis la découverte du gene : Les données de l'essai de Ionis révélées, Roche confirme le passage direct en phase 3.

Les chercheurs ont révélés des informations additionnelles, impressionnantes, durant la conférence à la fondation DHDI, à propos de l'essai clinique historique de Ionis : la diminution de la protéine mutante observée dans le liquide spinal cérébral (CSF) des participants correspond à 85% de diminution dans le cortex cérébral, a annoncé le Dr Sarah Tabrizi.

C'est la meilleure nouvelle pour la communauté HD depuis la publication des résultats de recherche annonçant la découverte du gène il y a 25 ans. Comme les scientifiques l'ont observé, c'est également un majeur progrès pour la maladie et la recherche en général.

« La réduction de protéine mutante observée est supérieure à la réduction nécessaire pour observer une modification de la maladie chez les modèles animaux. », a dit Dr Tabrizi, de l'université de Londres (siège de l'essai clinique), devant une audience de 350 scientifiques, représentants de compagnies pharmaceutiques, et membres de la communauté HD lors de la conférence à Palm Springs, CA.

Les porte-paroles de Ionis ont annoncé en décembre que la phase 1/2a de l'essai pour le médicament à technologie de silençage génique IONIS-HTT_{RX} « dépasse leurs espérances » dans la diminution de la protéine huntingtine mutante dans le CSF.

Pour la première fois, la présentation du Dr Tabrizi a spécifié le niveau de réduction de la protéine.

Pendant l'essai clinique, les participants ont reçu le médicament par injection spinale, et les médecins ont mesurés la capacité de ce médicament à réduire le taux de protéine mutante en extrayant des échantillons de CSF.

IONIS HTT_{RX} a diminué la protéine mutante de 40% en moyenne, avec une réduction maximale de 60%. Comme l'a expliqué le Dr Tabrizi, en s'appuyant sur les données obtenues chez des modèles animaux par Ionis, la réduction dans le cortex est comprise entre 55 et 85%.

Le cortex, ainsi que le striatum, qui est critique pour le contrôle moteur, est la partie du cerveau la plus touchée par la maladie de Huntington. C'est la partie la plus développée du cerveau, source de la pensée et du langage, dont le fonctionnement est très atteint par la maladie.

Regardez la vidéo du Dr Tabrizi où elle explique ces données, et remerciez les 46 volontaires de l'essai ainsi que les nombreuses autres personnes ayant participé. Je vous recommande également de regarder la vidéo en entier –elle inclut d'autres données cliniques et un résumé du projet par Anne Smith, docteure chez Ionis).

Texte par Gene Veritas
Traduit de l'anglais par Claire Pierret

Les plans pour RG6042, le nouveau nom du médicament

La présentation par les Drs Smith et Tabrizi –la première présentation publique des données- peut peut-être aider à inspirer la communauté HD et les chercheurs à s'engager pour la prochaine étape cruciale : tester l'efficacité du médicament.

Basé sur son partenariat avec Ionis, le géant pharmaceutique Roche, qui détient maintenant la licence pour le médicament, s'occupera de la suite de l'essai avec des centaines de participants, incluant les USA.

La question principale est : les symptômes de cette maladie vont-ils se stabiliser, ou disparaître ?

Lors d'une interview pendant la conférence, Roche m'a officiellement révélé que –comme Ionis l'a indiqué- l'entreprise va exceptionnellement passer la phase 2 de l'essai (tester l'efficacité pour la première fois) et aller directement en phase 3 (confirmer l'efficacité chez des centaines de participants).

Ceci s'explique par les excellents résultats de la phase 1/2a, le développement exceptionnel du médicament par Ionis, l'expertise de CHDI, et l'enthousiasme –ainsi que le besoin urgent- de la communauté.

Roche a officiellement changé de nom de IONIS-HTT_{Rx} en RG6042. R représente « Roche », et G « Genentech », une entreprise pharmaceutique américaine achetée par Roche en 2009 pour 46.8 milliards de dollars. Le nombre 6042 est un nombre standard donné par l'entreprise. Si la phase 3 est un succès, le médicament à visée commercial aura un nom différent.

Tous les produits américains de chez Roche sont encore sous la dénomination Genentech.

Roche n'a pas encore déterminé une date pour le début de la phase 3. Je publierai un rapport détaillé sur l'interview et les plans de Roche, et également sur mes réactions personnelles suite à la conférence, dans les articles suivants.

L'heure de l'excitation mais aussi des précautions

Le chef scientifique CHDI Robert Pacifici, docteur, a qualifié les résultats de « incroyablement excitant ».

Cependant, il conseille de rester précautionneux.

« La découverte d'un médicament prend beaucoup de temps, et malheureusement, rencontre de nombreux échecs ». « La première fois que vous mettez quelque chose dans un être humain, vous ne savez pas s'il va être bien toléré ou non dangereux. Ce qu'a montré l'essai jusqu'à maintenant est que, à ces doses, pour ce mode d'administration, pour ces gens, le médicament est effectivement non dangereux, et bien toléré. »

Texte par Gene Veritas

Traduit de l'anglais par Claire Pierret

« Il faut à présent être très précautionneux. Cela va prendre du temps pour mettre en place la phase 3. Il s'agit d'une étape pivot, qui va nous dire si le médicament fonctionne ou pas. ».

Tout doit être fait afin d'obtenir des "résultats concluants", ajoute-t-il.

Si l'essai est un échec, les scientifiques recueillerons quand même de précieuses données pour de futures recherches.

« Nous sommes plein de gratitude à ces patients qui ont signés pour cet essai clinique ». Dr Pacifici a conclu. « Nous allons avoir besoin de plus de participation, et de beaucoup de patiente ».

Vous pouvez également voir mon interview du Dr Pacifici à propos de la conférence de Ionis.

You can watch my interview with Dr. Pacifici about the conference and the Ionis trial in the video below.