



Odiparcil

Un nouveau traitement expérimental qui facilite l'élimination de GAG dans la mucopolysaccharidose de types I, II, IVA, VI et VII

Odiparcil est une petite molécule en cours de développement clinique par Inventiva Pharma. Odiparcil est capable de se lier à deux formes de glycosaminoglycanes (GAG) qui s'accumulent dans les cellules des patients atteints de mucopolysaccharidose (MPS). Ces GAG liés à Odiparcil deviennent plus solubles, et ils peuvent être transportés en dehors de la cellule et éliminés dans l'urine.

Vu que l'accumulation de GAG est la cause des symptômes cliniques rapportés chez les patients atteints de MPS, Inventiva considère qu'Odiparcil est susceptible de contribuer à réduire la sévérité d'un grand nombre des symptômes cliniques en abaissant les taux de GAG. Dans des études précliniques utilisant des modèles animaux, Inventiva a par exemple montré qu'Odiparcil peut réduire l'épaisseur du cartilage au niveau du genou chez des souris atteintes de MPS de type VI, ce qui va de pair avec une augmentation de la mobilité des animaux concernés. Un effet similaire a été observé sur la trachée. En outre, Odiparcil a restauré à la normale la structure de la cornée de souris atteintes de MPS de type VI.

Les GAG qui peuvent ainsi être éliminés sont le sulfate de dermatane (DS), le sulfate de chondroïtine (CS) et, mais à un degré nettement moindre, le sulfate d'héparane (HS). Inventiva pense qu'un traitement par Odiparcil peut se montrer bénéfique dans tous les types de MPS dans lesquels ces GAG sont mis en jeu.

Odiparcil est une petite molécule et elle est donc largement distribuée dans l'organisme, y compris des organes dans lesquels les traitements enzymatiques substitutifs (TES) ne peuvent pas accéder tels que l'œil et le cartilage, comme mentionné précédemment. Toutefois, Odiparcil ne traverse pas la barrière hémato-encéphalique (BHÉ) et il ne devrait théoriquement pas agir sur le cerveau. En raison de sa petite taille, Odiparcil peut par ailleurs être administré par voie orale.

Bien qu'Odiparcil constitue une approche expérimentale nouvelle dans le traitement de la MPS, la molécule a déjà été utilisée chez un grand nombre de volontaires et de patients dans des études cliniques antérieures concernant une autre indication. Odiparcil a été bien toléré.

Odiparcil sera en premier lieu développé pour le traitement de la MPS de type VI. Un essai de phase IIa chez des adultes atteints de MPS de type VI est en cours dans des centres de recherche de l'Europe, mais tout patient peut y participer, où qu'il soit dans le monde. Les déplacements seront organisés par MPS Commercial, la branche commerciale de l'association britannique *MPS Society*, qui prendra grand soin des participants. Les patients sous TES comme ceux qui ne reçoivent pas un tel traitement à l'heure actuelle peuvent participer. Pour plus de renseignements sur l'essai, visitez le site Internet <http://www.improves-mpsvi-trial.com> ou contactez-nous à iMProveS@inventivapharma.com.

Inventiva prépare maintenant l'étape suivante, à savoir la réalisation d'un essai de phase Ib chez des enfants âgés de 5 ans ou plus atteints de MPS de type VI qui reçoivent un TES. Là encore, l'essai sera mené en Europe mais tout patient pourra y participer, où qu'il soit dans le monde. Le recrutement n'a pas encore débuté. Toutefois, si vous souhaitez demeurer informé de l'avancement de l'essai, merci de nous envoyer un courriel à SAFE-KIDDS@inventivapharma.com.



Inventiva juge qu'il est important d'obtenir des données cliniques chez des patients atteints de MPS de type VI avant d'élargir les recherches à d'autres formes de MPS. Toutefois, si vous souffrez de MPS de type I, II, IVA, VI ou VII et souhaitez être tenu informé des éventuels essais à venir ou si vous avez toute question, n'hésitez pas à nous contacter par courriel à l'une des adresses susmentionnées.