

FLASH NEWS SCIENTIFIQUE DE L'AFM-TÉLÉTHON

La sécurité du médicament Omigapil démontrée dans le traitement de deux formes de dystrophies musculaires congénitales

Le laboratoire suisse Santhera Pharmaceuticals annonce aujourd'hui les résultats positifs du candidat-médicament Omigapil testé chez des patients atteints de deux formes de dystrophies musculaires congénitales (DMC). Cette étude pharmacocinétique a permis de définir les effets du produit dans l'organisme et en démontrer la sécurité chez 20 enfants et adolescents atteints de DMC. Les travaux précliniques ont été financés par l'AFM-Téléthon.

Les dystrophies musculaires sont un groupe de maladies neuromusculaires héréditaires qui se manifestent par une faiblesse musculaire et des difficultés motrices et respiratoires apparaissant à la naissance ou dans les premiers mois de vie. Les dystrophies de type Ullrich, liées à une déficience en collagène VI (COL6) et les dystrophies avec déficit primaire en mérosine (LAMA2), sont les formes les plus courantes de dystrophies musculaires congénitales pour lesquelles aucun traitement n'est actuellement disponible.

L'Omigapil initialement développé pour soigner des maladies neurologiques de l'adulte, a été repositionné par Santhera Pharmaceuticals pour être testé chez des enfants et des adolescents atteints de dystrophies musculaires congénitales. Les travaux précliniques, financés par l'AFM-Téléthon à hauteur de 742 000 euros, ont démontré que l'Omigapil entraîne une diminution de la sévérité des symptômes - comme la réduction de la perte de poids, de la fonction respiratoire et de la déformation du squelette - et une augmentation de la survie de modèles animaux de dystrophies musculaires congénitales (2009, J Pharmacol Exp Ther).

Au total, 20 patients âgés de 5 à 16 ans atteints de l'une des deux formes de DMC les plus courantes (COL6 ou LAMA2) ont été inclus dans cette étude, menée au centre clinique du NIH à Bethesda, (Maryland - États-Unis), dont l'objectif est de vérifier la sécurité et l'effet du candidat-médicament dans l'organisme, de son absorption à son élimination. Les enfants et adolescents ont donc reçu de l'Omigapil, par voie orale sous forme liquide à raison d'une dose quotidienne allant de 0,02 mg/kg à 0,08 mg/kg pendant 3 mois. Les données détaillées de l'essai clinique seront partagées après leur analyse complète mais le laboratoire annonce d'ores et déjà que l'objectif principal de l'étude (sécurité du produit) est atteint.

La société collabore maintenant avec des experts internationaux et les autorités de réglementation pour faire avancer le développement clinique de l'Omigapil vers un essai pivot visant à confirmer les propriétés thérapeutiques du médicament.

A propos de l'AFM-Téléthon

L'AFM-Téléthon est une association de malades et de parents de malades engagés dans le combat contre la maladie. Grâce aux dons du Téléthon, elle est devenue un acteur majeur de la recherche biomédicale pour les maladies rares en France et dans le monde. Elle soutient aujourd'hui des essais cliniques concernant des maladies génétiques de la vue, du sang, du cerveau, du système immunitaire, du muscle. À travers ses laboratoires, c'est également une association atypique en capacité de concevoir, produire et tester ses propres médicaments de thérapie innovante. **Numéro accueil familles 0800 35 36 37 (numéro vert)**

[Pour accéder à l'espace presse de l'AFM-Téléthon](#)

Suivre l'actualité presse de l'AFM-Téléthon sur twitter [@AfmPresse](#)

Contacts presse :

Stéphanie Bardon – 01.69.47.12.78 – presse@afm-telethon.fr