

Webinaire Ovid du 10/06/2020

Organisé par l'Angelman Syndrome Foundation (USA)

Intervenants: Jeremy Levin, Amit Rakhit, Luke Rosen - Ovid Therapeutics

Point d'étape d'Ovid¹

Le PDG Jeremy Levin souligne l'engagement plus fort que jamais d'Ovid à fournir un médicament efficace et sûr pour les patients atteints de SA. Ce serait ainsi le premier traitement global du SA et pas seulement d'un de ses symptômes.

En attendant que les thérapies ASO (AntiSense Oligonucleotide = thérapies visant à activer l'allèle paternel silencieux) deviennent éventuellement une réalité, ce médicament pourrait aider les personnes SA à avoir une meilleure qualité de vie.

L'étude STAR (phase 2) est terminée. 88 patients, adolescents et adultes, ont été traités aux États-Unis et en Israël pendant 3 mois.

Ils ont été divisés en 3 groupes afin de trouver la bonne dose du médicament et de démontrer que les améliorations constatées n'étaient pas le fruit du hasard :

- Groupe 1 : 1 prise / jour
- Groupe 2 : 2 prises/jour
- Groupe 3 : placebo

Les patients ont été contrôlés régulièrement pendant l'étude dans différents domaines : comportement, communication, sommeil, motricité. La meilleure évaluation trouvée pour ce faire est l'échelle CGI (Clinical Global Impression), qui examine le patient globalement.

Les meilleurs résultats ont été obtenus avec 1 prise /jour. Peu d'effets secondaires. 60% des patients ont eu des changements positifs dans plusieurs domaines, ce qui montre l'impact du médicament sur un grand nombre de cellules du cerveau.

Cette étude a démontré l'innocuité et la posologie adéquate du médicament, et a mesuré les améliorations pour les patients.

Le manuscrit de l'étude est en cours.

L'étude NEPTUNE (phase 3) est ouverte à l'inclusion des patients, jusqu'à fin juillet. L'étude commencera à l'automne et se terminera à la fin de l'année 2020. 90 patients âgés de 4 à 12 ans seront traités pendant 3 mois et seront examinés à 3 moments clés : inclusion, semaine 6, semaine 12.

Différents centres participeront à cette étude : États-Unis (3 centres), Australie, Allemagne (Munich), Pays-Bas (Rotterdam), éventuellement Italie (Milan).

Le CGI sera à nouveau utilisé comme test d'évaluation.

L'objectif de l'étude est d'examiner l'effet du médicament sur des patients plus jeunes. Les patients inclus dans cette étude auront 1 prise/jour à l'heure du coucher. La dose dépendra du poids des patients.

¹ Ovid Therapeutics est un laboratoire pharmaceutique américain qui travaille depuis quelques années sur une molécule appelée OV101, dont il est question dans cet article et qui a fait et fera l'objet d'essais cliniques sur l'Homme. Pour en savoir plus : <https://ovidrx.com>

Un petit groupe (4/5 patients) de jeunes enfants de 2-3 ans sera testé à part, pour voir comment le médicament agit dans leur organisme au métabolisme particulier lié à la croissance

Les données seront disponibles d'ici la fin de l'année 2020.

La crise sanitaire du Covid-19 a contribué à changer et à simplifier cette étude : la télémédecine est désormais possible pour les patients inscrits et le médicament peut être directement envoyé aux familles.

Les études STARS et NEPTUNE seront complémentaires et conduiront à l'approbation officielle des régulateurs américains, européens, etc. Ovid souhaite que ce médicament soit approuvé et disponible dans le monde entier.

Il faut compter entre 6 et 12 mois pour obtenir l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament aux US (ce délai peut être plus court, au moins aux US, pour des médicaments orphelins).

Après NEPTUNE, ELARA commencera : il s'agit d'une étude à long terme pour les patients ayant participé à STAR et NEPTUNE et leurs frères et sœurs porteurs du SA, le cas échéant. Aucun placebo n'est prévu dans cette étude.

Pour en savoir plus sur les essais cliniques en cours et à venir :

<https://fr.angelmanclinicaltrials.com>

Pour en savoir plus sur les différentes phases de tests pour arriver à la mise sur le marché d'un médicament, nous vous renvoyons vers le dossier publié dans le numéro 41 d'«AFSA Liaisons»

Prise de notes et rédaction : Lara Hermann

Relecture : Sophie-Dorothee Montagutelli