

MEDESIS PHARMA reçoit une subvention de l'AFM-TELETHON pour financer les premières phases du développement de NanosiRNA-HD, son traitement par ARN interférence de la maladie de Huntington

Montpellier, le 20 juillet 2022 à 8h00 — MEDESIS PHARMA, société de biotechnologie pharmaceutique développant des candidats médicaments à partir de sa technologie propriétaire Aonys® d'administration de principes actifs dans des nano micelles par voie buccale annonce la décision de l'AFM-Téléthon de participer à hauteur de 300 000 euros sur 24 mois pour contribuer aux premières phases de développement préclinique de son traitement pour la maladie de Huntington.

L'AFM-Téléthon, Association Française contre les Myopathies, a décidé de participer au financement du programme préclinique développé par MEDESIS PHARMA

Le Conseil d'Administration de l'AFM-Téléthon, en sa séance du 7 juillet 2022, a donné un accord de principe pour le financement du projet NanosiRNA-HD : « Utilisation de NanosiRNA pour le traitement de la maladie de Huntington » pour une durée de 24 mois et un montant total de 300 000 euros HT, correspondant au 1/3 du coût total du développement préclinique.

Le projet en cours et objet du financement prévoit un développement préclinique de 24 mois (juillet 2022 - juillet 2024) avec une étude de pharmacocinétique / pharmacodynamie, une étude d'efficacité pharmacologique et une étude de toxicologie.

Les résultats positifs de ces phases de développement permettront la mise en œuvre d'une étude clinique de phase Ib/IIa sur des malades dans plusieurs pays européens, en accord avec le programme de développement validé par l'Agence Européenne du Médicament.

Ce projet donnerait naissance à la première thérapie de modification de l'évolution de la maladie de Huntington et ouvrirait de nouvelles perspectives pour le développement de traitements basés sur l'ARN interférence.

La Maladie de Huntington

La Maladie de Huntington est une maladie neurodégénérative du système nerveux central, rare et héréditaire. Elle se manifeste par des troubles moteurs, cognitifs et psychiatriques qui s'aggravent progressivement jusqu'à un état grabataire et une détérioration intellectuelle sévère. Le décès survient en moyenne vingt ans après le début des symptômes.

La maladie est due à une mutation, un grand nombre de répétitions du trinuécléotidique CAG sur un allèle du gène HTT. L'allèle sauvage (normal) possède un faible nombre (< 27) de répétitions, l'allèle mutant possède un plus grand nombre de répétitions (la sévérité de la maladie est corrélée au nombre de répétitions). Un test génétique (analyse du gène de la huntingtine à partir d'un prélèvement sanguin) permet de confirmer le diagnostic.

La prévalence de la maladie de Huntington est d'environ 8 cas pour 100 000 individus. Dans le monde, on estime à environ 100 000 le nombre de malades et à 200 000 les porteurs du gène anormal. Il n'existe aucun traitement contre la Maladie de Huntington, les traitements actuels sont strictement symptomatiques.

MEDESIS PHARMA développe un programme de traitement génétique de la Maladie de Huntington alliant les technologies d'ARN interférences et sa plateforme de délivrance d'actif, Aonys

Les patients Huntington sont hétérozygotes : ils possèdent un allèle mutant, dominant, et un allèle sauvage. L'allèle mutant étant dominant, les thérapies efficaces devront être répressives. Mais, comme le gène HTT est essentiel, il est important de ne pas réprimer l'allèle de type sauvage, les thérapies efficaces doivent donc être sélectives. Les deux allèles peuvent être différenciés par la longueur des répétitions CAG mais aussi par la présence de certains nucléotides différents (single nucléotide polymorphisme).

Medesis Pharma utilisera des petits ARN interférents ciblant spécifiquement un nucléotide différent sur le gène muté, ce qui permettrait de diminuer spécifiquement la production de la protéine mutée et donc ses conséquences délétères. Le premier nucléotide ciblé pourrait être utilisé chez 50 % des patients en Union Européenne et en Amérique du Nord.

Aonys, la plateforme d'administration de principes actifs développée par MEDESIS PHARMA, permet d'administrer ces ARN interférents non modifiés par voie buccale en les protégeant de leur administration par un dépôt dans la bouche, un transport protégé dans les lipoprotéines HDL jusqu'à leur délivrance dans toutes les cellules du corps dont le cerveau (passage de la barrière hémato-encéphalique).

A propos de Medesis Pharma

Pour avancer dans le traitement des maladies graves dépourvues de traitement efficace, Medesis Pharma conçoit des candidats médicaments en s'appuyant sur sa technologie propriétaire Aonys® d'administration de principes actifs sous forme de nano-gouttelettes par voie buccale qui rend efficace le delivery des principes actifs dans toutes les cellules, avec un passage de la Barrière Hémato Encéphalique

Cette approche innovante est appliquée à de futurs médicaments pour traiter des maladies majeures dépourvues de traitements efficaces : la Maladie d'Alzheimer, la Maladie de Huntington, certains cancers résistants et les inflammations respiratoires sévères comme celles liées à la COVID-19. Medesis Pharma développe également des traitements dédiés aux populations contaminées ou irradiées après un accident nucléaire civil ou militaire.

Société biopharmaceutique française implantée près de Montpellier, Medesis Pharma est à l'origine de 15 publications scientifiques, détient 11 familles de brevets et 71 brevets, fruits de 17 années de recherche et se consacre plus particulièrement aujourd'hui à 4 projets dans le domaine des maladies neurodégénératives et du traitement de la Covid-19. Reconnue mondialement, Medesis Pharma travaille par ailleurs sur de nouvelles applications de sa technologie en partenariat avec des laboratoires de recherche publics (CNRS, CEA, IRBA), des centres hospitaliers universitaires majeurs en France, au Canada et aux États-Unis ainsi que des acteurs privés, comme Transgene. Les actions Medesis Pharma sont cotées sur Euronext Growth Paris : FRO01844464 - ALMDP

Pour plus d'information :

www.medesispharma.com

MEDESIS PHARMA

Tessa Olivato

Tel: +33 4 67 03 03 96

contact@medesispharma.com

CALYPTUS

Marie Calleux

Tel : +33 1 53 65 68 66

medesispharma@calyptus.net

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.