

MEDESIS PHARMA : le plan de développement de son candidat médicament pour le traitement de la maladie de Huntington reçoit un avis favorable de l'Agence Européenne du Médicament

Montpellier, le 3 juin 2021 à 8h00 – Medesis Pharma (ISIN : FR0010844464, MNEMO : ALMDP), société de biotechnologie pharmaceutique développant des candidats médicaments avec sa technologie propriétaire d'administration de principes actifs en nano micelles par voie buccale, annonce aujourd'hui que le programme de développement de son candidat médicament NanosiRNA HD, pour le traitement de la maladie de Huntington, a reçu un avis favorable fin mai par le Comité Scientifique de l'EMA (*European Medicines Agency*). Soumis début mars 2021, le plan de développement couvre les étapes pharmaceutiques, précliniques et cliniques du NanosiRNA HD. NanosiRNA HD est un des quatre candidats médicaments actuellement développés par Medesis Pharma.

La Maladie de Huntington (MH) est une maladie neurodégénérative du système nerveux central caractérisée par des mouvements involontaires choréiques, des troubles comportementaux et des troubles psychiatriques. La prévalence dans la population caucasienne est estimée de 1/10 000 à 1/20 000, ce qui la caractérise comme une maladie orpheline. L'évolution de la maladie entraîne la perte d'autonomie dans la vie quotidienne nécessitant une assistance à temps plein jusqu'au décès.

Une approche innovante renforcée par la technologie propriétaire Aonys® d'administration de principes actifs sous forme de nano-gouttelettes par voie buccale

La Maladie de Huntington est due à une expansion de triplets CAG répétés (à 36 répétitions ou plus) sur le bras court du chromosome 4(4p16.3) dans le gène *HTT* de l'huntingtine. Un traitement curatif doit bloquer l'expression de ce gène anormal.

Les approches thérapeutiques du monde de la recherche développées jusqu'ici ont été arrêtées. Elles ciblaient le gène de la huntingtine en bloquant aussi bien la huntingtine normale (très importante pour le cerveau) que la huntingtine mutée. L'administration des produits tests était réalisée soit en intrathécal (dans le liquide céphalo rachidien) soit directement dans le cerveau. Il n'y a pas de traitement curatif à ce jour.

Le candidat médicament de Medesis Pharma cible spécifiquement la partie anormale du gène et s'appuie sur sa technologie propriétaire Aonys pour une administration buccale non contraignante, et un delivery intracérébral après un passage de la Barrière Hémato-Encéphalique. Le ciblage spécifique de l'allèle mutant et non de l'allèle sauvage pose un défi majeur : les deux séquences sont pratiquement identiques, à l'exception de leur nombre de répétitions trinuécléotidiques CAG. Le gène *HTT* contient quelques SNP (polymorphismes mononucléotidiques) avec des fréquences alléliques dans la population humaine. Il est ainsi possible de cibler spécifiquement les ARNm mutants avec un ARNi spécifique à l'allèle dirigé contre les SNP. Parce que le lien entre les SNP individuels et les répétitions CAG dépend de l'information génétique de chaque patient, il sera donc nécessaire de séquencer le locus *HTT* du patient avant de choisir les siRNA. Une telle médecine personnalisée est désormais réalisable grâce au développement du séquençage du génome humain faisant de NanosiRNA HD un projet totalement innovant.

Le plan de développement du NanosiRNA HD de Medesis Pharma, approuvé par l'EMA, prévoit une première phase de développement CMC et préclinique de 9 à 12 mois puis un développement clinique sur plusieurs pays européens d'environ 1 an. Les résultats cliniques pourraient être connus mi-2023, en vue d'obtenir un accord de commercialisation auprès des malades dans des délais rapides au niveau international.

[A propos de l'Avis Scientifique de l'Agence Européenne du Médicament](#)

L'Agence européenne des médicaments (EMA) peut fournir aux développeurs de médicaments des conseils sur la manière la plus appropriée de générer des preuves solides sur les avantages et les risques d'un médicament. L'EMA fournit des conseils scientifiques pour soutenir le développement opportun et judicieux de médicaments de haute qualité, efficaces et sûrs, dans l'intérêt des patients.

Les conseils scientifiques et l'assistance au protocole sont particulièrement utiles aux développeurs de médicaments lorsqu'ils développent un médicament innovant et qu'il semble qu'il n'y ait pas ou pas de détails pertinents dans les lignes directrices ou documents d'orientation de l'UE, ou dans les monographies de la pharmacopée, y compris les projets de documents ou de monographies publiés pour consultation.

Les Avis Scientifiques permettent de garantir que les développeurs effectuent les tests et études appropriés, de sorte qu'aucune objection majeure concernant la conception des tests ne soit susceptible d'être soulevée lors de l'évaluation de la demande d'autorisation de mise sur le marché. Cela permet également d'éviter que les patients participent à des études qui ne produiront pas de preuves utiles.

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 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 9 brevets, fruits de 17 années de recherche et se consacre plus particulièrement aujourd'hui à 4 projets qui rentrent en Phase II clinique 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 de Medesis Pharma sont cotées sur Euronext Growth Paris. FR0010844464 - 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