Maladie de Pompe

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/maladie-pompe-resultats-preliminaires-positifs-neogaa-140513>

Maladie de Pompe : résultats préliminaires positifs de néoGAA

L'essai COMET a comparé néoGAA au Myozyme, le traitement de référence de la maladie de Pompe, chez 100 personnes atteintes de la forme tardive de la maladie.

Le traitement de la [maladie de Pompe](#) (ou glycoséose de type 2) repose sur l'enzymothérapie de substitution qui permet d'apporter aux personnes malades une enzyme de remplacement à l'enzyme alpha-glucosidase acide (GAA) qui leur fait défaut. Myozyme est la première enzyme de substitution développée pour le traitement de la maladie de Pompe. Commercialisée par Sanofi-Genzyme depuis 2006, les [analyses à long terme](#) confirment son efficacité dans la forme adulte de la maladie.

Afin que le traitement pénètre mieux dans les cellules musculaires, Sanofi-Genzyme a développé une enzymothérapie de nouvelle génération, l'avalglucosidase alpha ou néoGAA. L'efficacité et la sécurité d'utilisation de la néoGAA ont été comparées à celles du Myozyme au cours de l'[essai COMET](#). Pendant la première année de l'essai, 100 participants ont été traités soit par Myozyme, soit par néoGAA, puis à l'issue de cette première année, tous ont reçu la néoGAA.

Une amélioration de la marche et de la respiration

Les résultats préliminaires de l'essai ont été annoncés par communiqué de presse en juin 2020. Ils montrent que le traitement par néoGAA est aussi bien toléré que le traitement par Myozyme.

À l'issue de la première année, les personnes qui avaient reçu néoGAA présentaient une meilleure capacité respiratoire (mesurée par la capacité vitale) et une plus grande mobilité (mesurée par la distance parcourue en marchant 6 minutes) par rapport à ceux traités par Myozyme.

Les résultats pour la deuxième année de l'essai, au cours de laquelle tous les participants ont été traités par néoGAA ne sont pas encore disponibles pour tous les participants. Les premières données recueillies semblent confirmer l'amélioration des paramètres respiratoires et musculaires.

Le développement du candidat-médicament continue

S'appuyant sur ces résultats préliminaires, Sanofi-Genzyme annonce vouloir constituer un dossier de demande d'[autorisation de mise sur le marché](#) (AMM) auprès des différentes agences d'évaluation des médicaments mondiales d'ici la fin de l'année.

Source

[Sanofi-Genzyme, Communiqué de presse du 16 juin 2020](#)

Sanofi's investigational enzyme replacement therapy shows clinically meaningful improvement in critical manifestations of late-onset Pompe disease

---

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2020/08/31/essai-comet-dans-la-maladie-de-pompe-les-premieres-analyses-montrent-un-effet-benefique-de-neogaa/>

Essai COMET dans la maladie de Pompe : les premières analyses montrent un effet bénéfique de néoGAA

L'essai COMET a comparé l'efficacité et la tolérance de néoGAA, une enzymothérapie de nouvelle génération au Myozyme, traitement de référence dans la maladie de Pompe, tous deux développés par Sanofi-Genzyme. Cet essai de phase 3 en double-aveugle s'est déroulé auprès de 100 personnes atteintes de la forme tardive de la maladie, dans 56 centres différents, répartis dans 20 pays à travers le monde.

L'analyse préliminaire des données au bout d'un an (49 semaines) montrent chez les patients traités par néoGAA:

- une amélioration de 2,4 points du pourcentage de la capacité vitale théorique ;

- une amélioration de 30 mètres de la distance parcourue lors du test de marche pendant 6 minutes.

Sanofi-Genzyme compte constituer un dossier d'autorisation de mise sur le marché auprès des différentes autorités sanitaires compétentes d'ici la fin de l'année.

Source

[Sanofi-Genzyme, Communiqué de presse du 16 juin 2020](#)

Sanofi's investigational enzyme replacement therapy shows clinically meaningful improvement in critical manifestations of late-onset Pompe disease