

Dystrophie musculaire de Duchenne

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/myopathie-duchenne-resultats-plus-complets-pf-06939926-140509>

Myopathie de Duchenne : des résultats plus complets du PF-06939926

Le PF-06939926, un produit de thérapie génique permet la production de dystrophine dans le muscle et améliore la fonction motrice après 12 mois de traitement chez 9 enfants, dans un essai clinique de phase Ib.

Le PF-06939926 produit développé par le laboratoire Pfizer, est un candidat médicament de thérapie génique évalué dans la [dystrophie musculaire de Duchenne](#) (DMD). Il est constitué d'un vecteur viral-associé, AAV9, qui contient un mini-gène de dystrophine et un promoteur spécifique du muscle pour diriger sa fabrication dans les cellules musculaires.

Lors du e-congrès de [l'American society of Gene and Cells Therapy \(ASGCT\)](#) qui a eu lieu du 12 au 15 mai 2020, Pfizer a présenté des résultats étendus de l'essai de phase Ib toujours en cours, qui évalue une faible et une forte dose de PF-06939926 chez 9 enfants âgés de 6 à 12 ans (8 ans en moyenne) ambulants.

De la dystrophine produite dans les muscles et des mesures fonctionnelles encourageantes

Des résultats préliminaires de cet essai sur les 6 premiers enfants traités avec une injection de PF-06939926 à la plus haute dose avaient été [annoncés en juin 2019](#). Ceux annoncés lors du congrès de l'ASGCT portent sur les analyses 12 mois après l'injection de PF-06939926 de ces 6 mêmes enfants et sur les données de 3 autres enfants traités avec la faible dose.

Ils montrent :

- une production de dystrophine chez tous les enfants traités, 12 mois après l'injection ;
- une proportion de fibres musculaires « dystrophine positives » de 21,2 % chez les trois enfants traités à faible dose et de 50,6% chez 3 des 6 enfants traités à forte dose, chez lesquels la mesure a pu être faite ;
- une amélioration des performances motrices de 3,5 points mesurées sur l'échelle *North Star Assesment (NSAA)* chez 6 des patients traités à faible et forte dose, en comparaison de patients atteints de DMD mais non traités de groupe contrôle externe issus d'autres essais cliniques ;
- enfin, l'imagerie IRM des muscles des enfants traités à forte dose permet d'observer la réduction de tissu gras dans le muscle, ce qui n'est pas le cas à faible dose.

Les auteurs voient dans ces résultats le potentiel thérapeutique du PF-06939926 à forte dose. Un essai de phase III est en préparation pour évaluer l'efficacité du PF-06939926 sur le long terme chez davantage de patients.

Source

Communiqué de presse de Pfizer du 15 mai 2020

[Pfizer's New Phase 1b Results of Gene Therapy in Ambulatory Boys with Duchenne Muscular Dystrophy \(DMD\) Support Advancement into Pivotal Phase 3 Study](#)

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2020/08/31/dmd-resultats-encourageants-pour-le-produit-de-therapie-genique-pf-06939926/>

Un essai de phase Ib du PF-06939926 dans la myopathie de Duchenne chez 9 patients montre que ce produit de thérapie génique permet la production de dystrophine dans le muscle et améliore la fonction motrice, 12 mois après l'injection du traitement.

Le PF-06939926 développé par le laboratoire Pfizer, est un candidat médicament de thérapie génique évalué dans la [dystrophie musculaire de Duchenne](#) (DMD), constitué d'un vecteur AAV9 et d'un mini-gène de dystrophine.

Lors du e-congrès de [l'American society of Gene and Cells Therapy \(ASGCT\)](#) qui a eu lieu du 12 au 15 mai 2020, Pfizer a présenté des résultats étendus de l'essai de phase Ib toujours en cours, qui évalue

une faible et une forte doses de PF-06939926 chez 9 enfants âgés de 6 à 12 ans (8 ans en moyenne) ambulants.

Production de dystrophine et amélioration fonctionnelle

Les résultats annoncés lors du congrès de l'ASGCT portent sur les analyses protéiques et fonctionnelles 12 mois après l'injection de PF-06939926 chez 9 enfants, 6 ayant été traités avec la forte dose de PF-06939926 (3E14 Vg/Kg) et 3 autres avec la faible dose (1E14 Vg/Kg).

- Ils montrent que la dystrophine est produite dans les muscles et bien localisée sous la membrane, avec 21,2 % de fibres musculaires « dystrophine positives » chez les trois enfants traités à faible dose et 50,6% chez 3 des 6 enfants traités à forte dose, chez lesquels la mesure a pu être faite.
- Les performances motrices se sont améliorées de 3,5 points (échelle NSAA) chez 6 des patients traités à faible et forte dose, en comparaison de patients contrôles atteints de DMD et issus d'autres essais cliniques.
- L'imagerie IRM des muscles de patients traités à forte dose montre une réduction de tissu gras dans le muscle, ce qui n'est pas le cas à faible dose.

Un essai de phase III est en préparation pour évaluer l'efficacité du PF-06939926 sur le long terme chez davantage de patients.

Source

CP de Pfizer du 15 mai 2020

[Pfizer's New Phase 1b Results of Gene Therapy in Ambulatory Boys with Duchenne Muscular Dystrophy \(DMD\) Support Advancement into Pivotal Phase 3 Study](#)

Friday, May 15, 2020 - 08:00am