

Maladie de Pompe

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/maladie-pompe-premiers-resultats-encourageants-pour-gaa-140753>

Maladie de Pompe : de premiers résultats encourageants pour l'AT-GAA

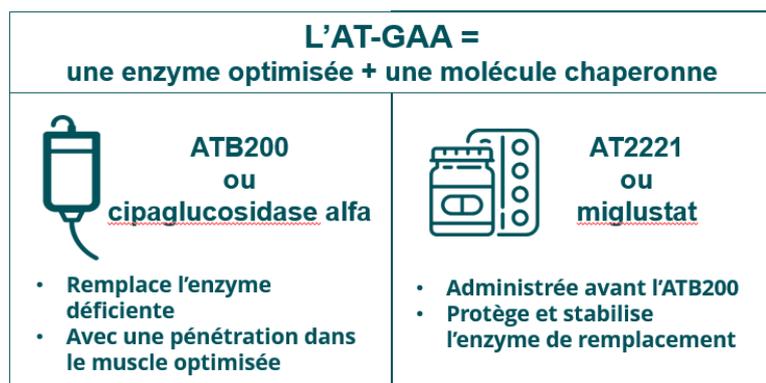
Amicus Therapeutics annonce les résultats de l'essai PROPEL évaluant la *cipaglicosidase alfa* associée au *miglustat* (AT-GAA) dans la forme tardive de la maladie.

Des résultats encourageants pour l'AT-GAA

L'AT-GAA est un traitement en cours de développement dans la [maladie de Pompe](#). Son efficacité et sa sécurité d'utilisation ont été comparées à celles du premier et seul traitement disponible dans la maladie de Pompe, le Myozyme®. Pendant un an, au cours de l'[essai PROPEL](#), 117 personnes adultes atteintes de la forme à début tardif de la maladie de Pompe ont reçu soit le Myozyme® soit l'AT-GAA (qui associe une enzyme recombinante *cipaglicosidase alfa* à une molécule chaperonne).

L'analyse des paramètres musculaires et respiratoires montre que l'AT-GAA a une efficacité comparable au Myozyme® sur l'amélioration de la marche et meilleure sur la stabilisation de la respiration. Les deux traitements sont généralement bien tolérés.

Ces résultats, annoncés par *Amicus Therapeutics* par communiqué de presse le 11 février 2021, permettent à la société de continuer le développement du candidat-médicament : les participants de l'essai PROPEL continuent de recevoir l'AT-GAA dans une extension de l'essai qui durera jusqu'en 2023 ; un autre essai est en cours pour évaluer le candidat-médicament chez des enfants et adolescents (atteints de la forme à début tardif). L'entreprise annonce pouvoir déposer une demande d'autorisation de mise sur le marché aux États-Unis et en Europe au cours de l'année 2021.



Plusieurs candidats-médicaments à l'essai

La « Journée française *Maladie de Pompe* » réunit chaque année des médecins, chercheurs, professionnels de l'industrie pharmaceutique et représentants de malades. Sa dixième édition s'est déroulée le 28 janvier 2021 et a rassemblé en visioconférence plus de 80 personnes. Elle a notamment été l'occasion de faire le tour des essais en cours ou en préparation en France dans la maladie de Pompe. En plus de l'essai PROPEL se déroulent actuellement les essais COMET et mini COMET qui évaluent l'avalglucosidase alfa (néoGAA). Les [résultats préliminaires de l'essai COMET](#) ont été annoncés à l'été 2020.

De plus, un essai de thérapie génique en France, rendu possible grâce aux recherches de Généthon, [vient de démarrer aux États-Unis](#).

Ces nouvelles approches thérapeutiques permettront à terme de proposer de nouvelles solutions lorsque le traitement par Myozyme® perd en efficacité.

Source

[Amicus' AT-GAA Shows Clinically Meaningful & Significant Improvements in Both Musculoskeletal and Respiratory Measures in Late-Onset Pompe Disease Compared to Standard of Care in Pivotal Phase 3 PROPEL Study | Amicus Therapeutics \(amicusrx.com\)](https://www.institut-myologie.org/2021/02/24/du-nouveau-dans-les-essais-cliniques-sur-la-maladie-de-pompe/)

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2021/02/24/du-nouveau-dans-les-essais-cliniques-sur-la-maladie-de-pompe/>

Du nouveau dans les essais cliniques sur la maladie de Pompe

La dixième journée française de la maladie de Pompe s'est déroulée le 28 janvier 2021 en visioconférence. Réunissant plus de 80 experts, elle a permis non seulement de faire le point sur les conséquences de la crise sanitaire dans la prise en charge des patients, mais aussi un tour d'horizon sur les différents essais en cours et en préparation en France. Si la pandémie et les confinements ont eu des conséquences néfastes sur le suivi des personnes atteintes de maladie de Pompe (arrêt temporaire du traitement par enzymothérapie et de la kinésithérapie, réduction des activités physiques), la recherche reste toujours très active.

Les résultats de l'essai PROPEL annoncés

L'essai PROPEL évalue l'efficacité et la tolérance de l'AT-GAA, une enzyme de nouvelle génération (la cipaglucosidase alfa ou ATB200) associée à une molécule chaperonne (le miglustat ou AT2221) dans la forme tardive de la maladie de Pompe. Pendant un an, 117 adultes ont reçu soit le Myozyme[®], soit l'AT-GAA. Ils participent désormais à une phase d'extension de l'essai prévue jusqu'en 2023.

Amicus Therapeutics qui développe l'AT-GAA a annoncé les résultats préliminaires de l'essai PROPEL le 11 février 2021.

- Le critère principal de l'essai, le test de marche pendant 6 minutes, n'a pas permis de mettre en évidence de supériorité du candidat-médicament sur le Myozyme[®]
- Par contre, sur le plan respiratoire, la capacité vitale est restée plutôt stable sur un an dans le groupe traité par l'AT-GAA (-0,9%), alors qu'elle a diminué (-4%) dans le groupe sous Myozyme[®].
- Les deux traitements sont bien tolérés.

Amicus Therapeutics prévoit de déposer des dossiers de demandes d'autorisation de mise sur le marché aux États-Unis et en Europe au cours de l'année 2021.

Les essais du néoGAA continuent

L'avalglucosidase alfa (neoGAA) est une autre enzyme de nouvelle génération développée par Sanofi Genzyme, la société qui commercialise déjà le Myozyme[®]. Elle est évaluée dans les formes à début tardif de la maladie par l'essai COMET et dans les formes néonatales par l'essai miniCOMET. Les [résultats préliminaires de l'essai COMET](#) sont en faveur du néoGAA sur le Myozyme[®] : il semble être mieux toléré et légèrement plus efficace.

Démarrage de l'essai de thérapie génique de Spark Therapeutics

Plusieurs approches de thérapie génique sont à l'étude dans la maladie de Pompe. [Spark Therapeutics vient de démarrer un essai international](#) évaluant la sécurité d'utilisation, la tolérance et l'efficacité du SPK-3006 dans la forme à début tardif de la maladie. Des centres français devraient prendre part à cet essai.

Le SPK-3006 repose sur une technique mise au point à Généthon qui apporte le gène GAA manquant aux cellules du foie. Elle permet une production en continu d'une forme de GAA bien tolérée par l'organisme.

Source

[Amicus' AT-GAA Shows Clinically Meaningful & Significant Improvements in Both Musculoskeletal and Respiratory Measures in Late-Onset Pompe Disease Compared to Standard of Care in Pivotal Phase 3 PROPEL Study | Amicus Therapeutics \(amicusrx.com\)](https://www.institut-myologie.org/2021/02/24/du-nouveau-dans-les-essais-cliniques-sur-la-maladie-de-pompe/)

[Spark Therapeutics Announces First Participant Dosed in Phase 1/2 Study of Investigational Gene Therapy for Late-Onset Pompe Disease – Spark Therapeutics \(sparktx.com\)](#)