

Fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP)

Actualité AFM

[FOP : le garetosmab empêche la survenue de nouvelles ossifications | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

FOP : le garetosmab empêche la survenue de nouvelles ossifications

Selon les résultats de l'essai LUMINA-1, le garetosmab a entraîné et maintenu une forte réduction des poussées inflammatoires et de la formation d'ossification hétérotopique dans la fibrodysplasie ossifiante progressive.

Un essai de phase II, nommé LUMINA-1, chez 44 adultes atteints de fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP) a montré que le garetosmab diminue significativement le nombre et le volume des ossifications anormales liée à la maladie.

Vingt-deux nouvelles lésions ont été détectées au scanner chez les participants sous placebo, alors qu'ils n'ont présenté aucune nouvelle lésion dans la deuxième partie de l'essai où ils étaient sous garetosmab.

Le saviez-vous ?

Dans la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP), l'anomalie génétique entraîne une activation anormale de l'activine A provoquant une formation d'os inappropriée. Le garetosmab est une molécule qui se fixe sur l'activine A empêchant son activation par l'anomalie génétique en cause dans la FOP. Il empêche l'apparition de nouvelles ossifications et arrête l'augmentation ou diminue le volume d'ossification anormale dans un modèle de souris de FOP.

Le traitement a entraîné des effets secondaires comme des saignements de nez, la chute des cils et/ou des sourcils ainsi que de l'acné.

Au cours de l'essai, il y a eu cinq décès mais aucun ne peut être relié formellement au garetosmab. C'est pourquoi, afin de mieux préciser le bénéfice-risque du garetosmab dans la FOP, un essai de phase III, l'essai OPTIMA, est en cours, y compris en France, à Montpellier et à Paris.

Sources

[Garetosmab in Fibrodysplasia Ossificans Progressiva: Clinical Pharmacology Results from the Phase 2 LUMINA-1 Trial.](#)

Wang Y, Nguyen JH, de Ruiter RD et al.
J Clin Pharmacol. 2023 Sep 11.

[Garetosmab in fibrodysplasia ossificans progressiva: a randomized, double-blind, placebo-controlled phase 2 trial.](#)

Di Rocco M, Forleo-Neto E, Pignolo RJ et al.
Nat Med. 2023 Oct;29(10):2615-2624.

Actualité AIM

<https://www.institut-myologie.org/2023/11/27/le-garetosmab-est-efficace-dans-la-fibrodysplasie-ossifiante-progressive/>

Le garetosmab est efficace dans la fibrodysplasie ossifiante progressive

L'essai de phase II LUMINA 1 a évalué la tolérance et l'efficacité du garetosmab, un anticorps monoclonal qui bloque les voies de signalisation des activines A, chez 44 adultes atteints de fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP).

- le nombre et le volume de nouvelles ossifications hétérotopiques, ainsi que celui des poussées inflammatoires des tissus mous ont été significativement réduits sous garetosmab comparé au placebo.
- Durant la période de 76 semaines en ouvert, il n'y a eu aucune nouvelle ossification hétérotopique.
- Trente-quatre participants ont choisi de poursuivre le traitement à la fin de l'extension en ouvert.
- Tous les participants sous garetosmab ont eu au moins un effet secondaire sous traitement, notamment des épistaxis, une chute des cils et/ou des sourcils et des abcès cutanés.

- Cinq participants sur 44 sont décédés durant la phase en ouvert, sans que cela n'ait pu être relié au garetosmab.

Afin de mieux cerner le bénéfice-risque du garestomab dans la FOP, l'essai de phase III [OPTIMA](#) est en cours, y compris en France (Montpellier, Paris).

Sources

[Garetosmab in Fibrodysplasia Ossificans Progressiva: Clinical Pharmacology Results from the Phase 2 LUMINA-1 Trial.](#)

Wang Y, Nguyen JH, de Ruiter RD et al.
J Clin Pharmacol. 2023 Sep 11.

[Garetosmab in fibrodysplasia ossificans progressiva: a randomized, double-blind, placebo-controlled phase 2 trial.](#)

Di Rocco M, Forleo-Neto E, Pignolo RJ et al.
Nat Med. 2023 Oct;29(10):2615-2624.