Annonce essai clinique thérapie génique CLN3

Une nouvelle nous arrive des États-Unis. L'hôpital Nationwide Children's Hospital (Ohio, États-Unis) finance le programme "CLN-301" de l'entreprise de biotechnologie Alcyone Therapeutics. L'argent va servir à développer et mettre en place une thérapie génique en phase clinique pour la maladie de Batten de type CLN3. CLN-301 vise à introduire le gène fonctionnel CLN3 dans le système nerveux central pour corriger le déficit enzymatique à l'origine des symptômes.

Cette phase clinique de thérapie génique se base sur des premiers résultats pré-cliniques prometteurs. Les participants en phase pré-clinique (phase I and II, pour comprendre la bonne dose et les effets secondaires) sont restés stables sur l’échelle d’évaluation de la maladie de Batten. Il y a eu un ralentissement

de la dégradation, les enfants ont maintenu leurs capacités motrices et cognitives sur cinq ans, alors qu'une dégradation significative aurait normalement été attendue sans thérapie génique. Après plus de cinq ans de suivi, les patients montrent un maintien des fonctions motrices et cognitives, suggérant un potentiel effet transformateur de la thérapie.

Techniquement, le but du programme clinique CLN-301 est d'améliorer la distribution et la sécurité des médicaments administrés dans le liquide céphalo-rachidien: la compagnie a créé et développé un ensemble de technologies de pointe. Il faut administrer la version du gène en bonne santé jusqu'au cerveau du malade grâce à un virus non-pathogène de type AAV9. La nouvelle technologie est aussi de précision pour le patient (les doses administrées) et pour la maladie (les cibles moléculaires dans le corps). Les patients reçoivent un traitement unique à leurs conditions et symptômes. C'est beaucoup plus précis et adapté que ce que proposent la majorité des services médicaux.

Ce nouveau partenariat entre l'hôpital et la biotechnologie est très intéressant car elle donne un espoir à toutes les familles et malades de CLN3. C'est aussi un exemple concret des avancées technologiques et scientifiques. Des questions qui restent pour l'instant sans réponse: le montant du budget ? le nombre de patients inclus dans cette nouvelle phase clinique ? les critères de sélection des patients ?

En savoir plus

- Le communiqué de presse en anglais: Alcyone Therapeutics Announces Strategic Financing to Advance an Expanded Pipeline of Pediatric-Focused Precision Therapeutics for Severe Neurological Diseases
- Comprendre la recherche pré-clinique
- Comprendre les essais cliniques

© Jean-Marie Favreau, VML, MetabERN — dernière modification 1 mai 2025. Vous pouvez télécharger cette page au format pdf.

Si vous voulez soutenir la recherche et aider l'association VML qui accompagne les familles touchées par les maladies de Batten, envisagez de faire un don.