

GENZYME annonce des résultats positifs pour son essai clinique "ENGAGE" dans la maladie de Gaucher

jeudi 18 octobre 2012, par [Concept Com](#)

Depuis plusieurs années, GENZYME développe un nouvel inhibiteur de substrat per os (à prise orale) pour la maladie de Gaucher (Eliglistat tartrate). trois essais cliniques de phase III ont été lancés pour évaluer l'efficacité de ce traitement.

Le premier, nommé ENGAGE, correspond à un essai en double aveugle, contre placebo. Une quarantaine de patients Gaucher de type 1, naïfs de tout traitement depuis au moins 6 mois, ont pris 2 fois par jour durant 9 mois soit la molécule active, soit le placebo. Le protocole de l'essai indiquait comme critère premier d'évaluation de l'efficacité du traitement l'obtention d'une diminution significative du volume de la rate. les critères secondaires étaient l'amélioration du taux de plaquettes et de l'hémoglobine, et une diminution du volume du foie. Par un communiqué de presse, GENZYME annonce avoir atteint l'ensemble des objectifs après 9 mois de traitement. L'ensemble des résultats devrait être présenté lors du congrès international WORLD qui se tiendra mi-février 2013 à Orlando (Etats-Unis).

Le second essai clinique, appelé ENCORE, est une étude ouverte (les patients savent sous quel traitement ils se trouvent) qui permet de comparer le traitement par enzymothérapie substitutive (Cerezyme®) avec le traitement par inhibiteur de substrat (Eliglistat tartrate).

Le troisième essai, dénommé EDGE, a pour objectif de comparer la prise unique à celle d'une double prise journalière de l'inhibiteur.

Delphine GENEVAZ