

Maladie de Morquio type A, résultats de l'essai clinique de phase 3

lundi 3 décembre 2012, par [Concept Com](#)



Début novembre, le laboratoire BioMarin publiait, dans un communiqué de presse, les résultats de l'essai clinique MOR-004. D'après le laboratoire, les résultats ont atteint l'objectif principal de l'essai (voir Lysosome.Info n° 104 - octobre 2012) et celui-ci espère pouvoir déposer, auprès des agences du médicament, le dossier d'autorisation de mise sur le marché, au cours du premier trimestre 2013.

Le communiqué indique qu'après 24 semaines de traitement, le groupe de patients perfusés toutes les semaines par l'enzyme recombinante N acetylgalactosamine-6-sulfatase (GALNS) à la dose de 2 mg/kg, améliore la distance qui est parcourue en 6 minutes de marche (+ 22,5 mètres) par rapport au groupe de patients perfusés par le placebo. Ceux perfusés alternativement par GALNS à la dose de 2 mg/kg puis par le placebo ne voient pas d'amélioration en comparaison au groupe de patients recevant uniquement le placebo. Les données préliminaires observées dans l'étude d'extension MOR-005 semblent suggérer que ce gain se poursuit après 36 et 48 semaines de traitement.

Les objectifs secondaires ont également été améliorés par le traitement pour le groupe de patients perfusés toutes les semaines par GALNS : +1,1 marche/min pour le test du nombre de marches montées en 3 minutes par rapport au groupe placebo, réduction de 40% du taux en Kératane Sulfate urinaire, amélioration de la fonction pulmonaire (+ 10% de la Ventilation Volontaire Maxi et + 3% de la Capacité Vitale Forcée).

Le traitement a été en général bien toléré, les réactions liées à la perfusion étaient légères à modérées et étaient gérées par une prémédication ou une modification du temps de la perfusion.

Les résultats complets de cet essai seront présentés lors du congrès international WORLD qui se tiendra à Orlando (USA) en février 2013.

Delphine GENEVAZ