

# Niemann-Pick C : Point sur l'approche thérapeutique par la Cyclodextrine

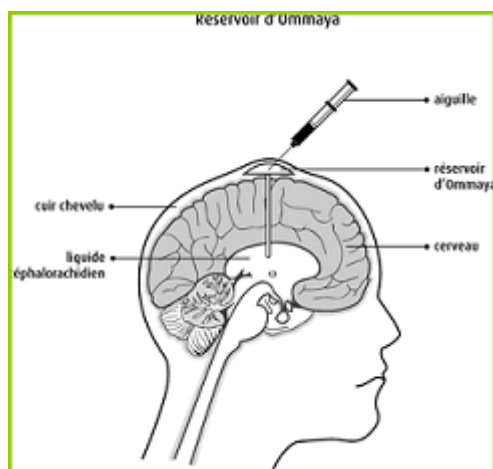
vendredi 24 janvier 2014, par [Concept Com](#)

Les Cyclodextrines sont des molécules dont l'utilisation est très répandue dans de nombreux domaines. Elles sont notamment utilisées dans la composition des médicaments ou des produits de cosmétiques. Elles peuvent, entre autre, encapsuler des substances peu solubles ou former une sorte de tunnel dans les membranes permettant le passage de composés.

La découverte de l'intérêt thérapeutique d'un dérivé de ces cyclodextrines naturelles, l'hydroxypropyl- $\beta$ -cyclodextrine (HP- $\beta$ -CD), pour la maladie de Niemann-pick type C, s'est faite par hasard il y a quelques années.

Des études préalables chez les animaux (essais précliniques) ont permis de démontrer l'efficacité de cette Cyclodextrine chez les chats et d'envisager des essais cliniques chez l'homme.

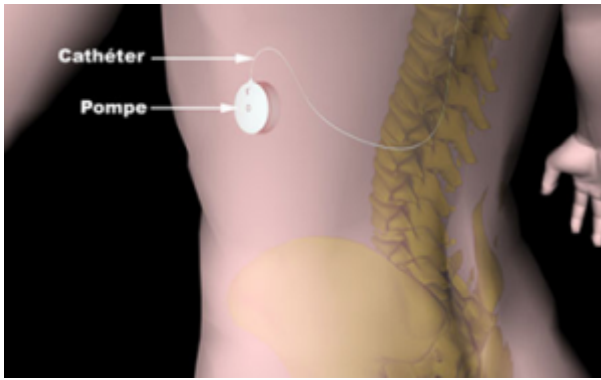
Cependant, initialement administrée par voie intraveineuse, il a été démontré que la cyclodextrine ne pouvait pas passer la barrière hémato-encéphalique qui protège notre cerveau. Or afin de pouvoir espérer obtenir une action de la cyclodextrine sur les cellules du cerveau, il a été nécessaire de trouver une solution afin de contourner ce problème du passage de cette barrière.



**Un premier essai clinique** chez l'homme a débuté il y a un an avec l'utilisation d'un dispositif appelé réservoir Ommaya (voir figure ci-contre), mis en place chirurgicalement sous le cuir chevelu.

De ce réservoir part un cathéter (fin tuyau) qui va jusqu'à un ventricule du cerveau (espace dans le cerveau rempli par du liquide appelé liquide céphalorachidien qui baigne le cerveau et la moelle épinière). Le réservoir est ensuite rempli à l'aide d'une seringue du produit thérapeutique. Ce type de dispositif est notamment utilisé dans le traitement de certains cancers.

Cet essai clinique de phase 1 avait pour objectif d'évaluer la sécurité du traitement et de définir le meilleur dosage (étude en escalade de dose). Cependant des problèmes d'infection bactérienne liés à l'utilisation du dispositif ont contraint à suspendre l'essai.



Après une réévaluation des données, **un nouvel essai a récemment démarré** aux Etats-Unis en administrant la cyclodextrine par voie intrathécale (dispositif qui consiste à injecter le produit au niveau lombaire dans l'espace qui contient le liquide céphalo-rachidien). Cette nouvelle voie est également utilisée dans plusieurs autres essais cliniques (maladies de Sanfilippo et de Hunter) et dans l'administration d'analgésiques pour soulager certaines douleurs.

Ce nouvel essai clinique de phase 1 aura pour objectif d'apporter des informations sur l'innocuité du traitement et le comportement de la cyclodextrine dans le cerveau et le reste du corps. Le protocole prévoit d'inclure entre 12 et 15 malades atteints de NPC1 et âgées entre 2 et 25 ans. L'essai devrait se terminer mi 2014.

Si vous souhaitez obtenir plus d'informations, n'hésitez pas à contacter l'association.  
Delphine GENEVAZ