



# **Leucodystrophie Métachromatique : Essai clinique d'enzymothérapie substitutive par voie intrathécale**

lundi 5 novembre 2012, par [Concept Com](#)



L'inclusion des premiers patients atteints de Leucodystrophie Métachromatique dans un essai clinique par enzyme recombinante (arylsulfatase A) administrée par voie intrathécale, vient de débuter en France et au Danemark.

L'essai, dont le promoteur est le laboratoire SHIRE, est un essai de phase I/II. Il a pour but principal de vérifier l'innocuité de ce type de traitement. Il permettra également de commencer à observer si ce traitement a un effet sur les fonctions motrices.

Dix-huit patients seront inclus dans cet essai et répartis en trois groupes recevant une dose différente du médicament : 10mg/injection pour les 6 premiers enfants, 30 mg pour les 6 suivants et 100 mg pour les 6 derniers. Chaque groupe recevra, tous les 15 jours, une injection d'arylsulfatase A recombinante (enzyme qui fait défaut dans cette maladie) à une dose différente pendant 40 semaines. Les perfusions se font par injection intrathécale, c'est-à-dire au niveau de la colonne vertébrale dans le liquide céphalo-rachidien, liquide dans lequel baignent le cerveau et la moelle épinière, via un dispositif mis en place du type port-à-cath (boîtier implanté sous la peau). Cette approche est déjà utilisée dans d'autres essais en cours (Sanfilippo type A, MPS II...).

Comme tout essai, des critères d'inclusion et d'exclusion sont imposés comme celui de ne pas avoir bénéficié d'une greffe de moelle osseuse, d'être dans une certaine tranche d'âge (moins de 8 ans) avec des premiers symptômes ayant débuté avant 30 mois ou encore d'être en capacité d'effectuer certains gestes (station debout et quelques pas aidés).

Le docteur Caroline SEVIN, neuropédiatre à l'hôpital Bicêtre, est l'investigateur de cet essai en France. Pour obtenir ses coordonnées et la contacter, vous pouvez appeler l'association au 01 69 75 40 30.

Delphine GENEVAZ