



Alpha Mannosidose : un essai clinique de phase III

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



Suite aux résultats encourageants de l'essai clinique de phase I/II, le laboratoire ZYMENEX poursuit l'évaluation de son traitement de l'alpha mannosidose par perfusion intraveineuse d'enzyme recombinante par un essai clinique de phase III, multicentrique, en double aveugle contre placebo.

La phase III permet d'évaluer l'efficacité thérapeutique du traitement et de soumettre, s'ils sont positifs, les résultats auprès des agences du médicament afin d'obtenir une autorisation de commercialisation. Cet essai sera mené dans plusieurs pays (multicentrique), dont la France après accord des agences réglementaires.

Au total 20 patients seront inclus, 12 recevront l'enzyme et 8 le placebo. Ni les patients, ni les médecins ne sauront qui reçoit le traitement à l'étude (c'est ce que l'on appelle le double aveugle). L'essai va durer un an avec comme objectifs premiers d'observer une réduction des oligosaccharides dans le sang et une amélioration significative dans le test de montée d'escalier en 3 minutes. D'autres critères dits secondaires seront également évalués (test de la distance parcourue en 6 minutes, évaluation de la capacité respiratoire...).

En France, deux sites sont sélectionnés pour mener cet essai, l'un à Paris à l'hôpital Trousseau et le second à Lyon à l'hôpital Femme-Mère-Enfant. Si vous souhaitez plus d'informations et contacter le docteur Bénédicte HERON à Paris et le docteur Nathalie GUFFON à Lyon, appelez l'association VML au 01 69 75 40 30.

Delphine GENEVAZ