

Accure Therapeutics inclut le premier patient dans son essai clinique de phase II sur la névrite optique aiguë avec son candidat médicament ACT-01

- **L'essai randomisé, en deux groupes, en double aveugle avec contrôle placebo, porte sur 36 patients atteints de névrite optique aiguë (NOA) qui seront suivis sur une période de 6 et 12 mois**
- **Il évaluera l'innocuité, la tolérance et l'efficacité de ACT-01 contre placebo sur l'épaisseur des fibres rétiniennes et sur des mesures cliniques de la vision**
- **La société organise un webinaire avec des spécialistes du sujet le mardi 2 mars à 19h30 CET : « Acute Optic Neuritis: a powerful clinical development path into MS »**

Barcelone, Espagne, le 1^{er} mars 2021 - Accure Therapeutics, entreprise de R&D translationnelle au stade clinique dans le domaine du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui avoir inclut le premier patient de son essai clinique de phase II (ACUITY), portant sur des personnes atteintes de névrite optique aiguë (NOA). Au total, 36 patients seront recrutés dans deux groupes parallèles randomisés. Ils seront suivis sur une période de six mois pour mesurer et évaluer la sécurité ainsi que les premiers signes d'efficacité. Les résultats sont attendus pour le deuxième semestre 2022.

L'essai ACUITY est mené au sein du réseau de neurologie-ophtalmologie de l'Assistance Publique-Hôpitaux de Paris (AP-HP), piloté par le site de la Pitié-Salpêtrière. L'étude est supervisée par le Dr. Céline Louapre, investigateur principal, de l'Institut du Cerveau et de la Moelle Epinière (ICM), et par le Dr. Sophie Bonnin, conseiller scientifique, du département d'ophtalmologie de la Pitié. L'ICM, installé au sein de la Pitié-Salpêtrière, réunit dans un même lieu malades, médecins et chercheurs avec l'objectif de permettre la mise au point rapide de traitements pour les lésions du système nerveux afin de les appliquer aux patients dans les meilleurs délais.

« Cet essai doit confirmer la sécurité et la tolérance du candidat médicament d'Accure. Il doit également fournir de premières preuves d'efficacité de ACT-01, en clinique et par le biais d'une imagerie TCO (tomographie en cohérence optique), chez des patients atteints de maladies inflammatoires démyélinisantes comme la névrite optique aiguë », indique le Dr. Céline Louapre. « Ces premiers résultats d'efficacité chez le patient nous donneront une idée de l'effet du traitement et nous permettront de définir la taille de l'échantillon idéal pour la prochaine étude clinique. »

Au total, 36 patients éligibles seront randomisés dans les dix jours suivant le début de leur NOA (symptômes de perte de vision) pour recevoir cinq injections de ACT-01 par voie intraveineuse (N=18) ou un placebo (N=18) sur une période de cinq jours. Selon le protocole standard de prise en charge pour une NOA, tous les patients recevront en parallèle des corticostéroïdes par voie intraveineuse, sauf contre-indication. Les patients seront évalués par un neurologue et un ophtalmologue, au niveau clinique et par le biais de tests d'imagerie de routine non-invasifs.

L'efficacité préliminaire de ACT-01 sera évaluée sur six mois après la survenue des symptômes de NOA. Passé ce délai, la plupart des patients sont censés avoir achevé leur guérison naturelle. En conséquence, il sera possible de comparer à ce stade les profils de progression de la maladie, ainsi que les différences de résultats structurels et fonctionnels entre les patients des deux groupes de traitement. Pour la majorité des patients, l'amincissement des fibres rétiniennes dans l'œil touché survient dans les six mois qui suivent le début de la NOA. On mesure cette valeur avec un scanner TCO qui évalue l'épaisseur de la couche des fibres nerveuses rétiniennes (« RNFL - retinal nerve fiber layer ») et la couche plexiforme interne des cellules ganglionnaires (« GCIPL - ganglion cell-inner plexiform layer »).

« Nous sommes ravis de démarrer cet essai de phase II avec notre candidat médicament ACT-01 chez des patients atteints de pathologies démyélinisantes inflammatoires aiguës », ajoute le Dr. Rosella Medori, directrice médicale chez Accure Therapeutics. « Les résultats de cette étude de phase II serviront de fondations pour le futur développement clinique pivot de notre candidat médicament *first-in-class* pouvant agir sur le cours de la maladie. Il nous permettra de relever le défi de l'invalidité résiduelle et accumulée dans d'autres pathologies neurodégénératives chroniques du SNC. »

La société organise mardi 2 mars à 19h30 CET un webinaire en anglais avec des spécialistes de la névrite optique aiguë (NOA), le Pr. Shiv Saidha, de la Johns Hopkins University (Baltimore, Etats-Unis) et le Pr. Fiona Costello, de l'Université de Calgary (Canada).

Les sujets suivants seront abordés :

- Une névrite optique aiguë (NOA) est le plus souvent un prodrome (syndrome clinique isolé) ou une rechute au cours d'une sclérose en plaques (SEP)
- La NOA est une excellente voie de développement clinique dans la SEP pour la neuroprotection
- Discussion autour des récents essais clinique chez des patients atteints de NOA
- Session de questions-réponses à la fin du webinaire

Pour s'inscrire au webinaire: [Zoom registration URL](#)

Pour le recrutement des patients, les critères suivants s'appliquent :

- Inclusion de patients âgés de 18 à 60 ans avec un diagnostic de NOA unilatérale avec une origine démyélinisante (avec ou sans diagnostic de sclérose en plaques), avec un début des symptômes de perte de vision dans les dix jours précédant la randomisation, et un score entre 0 et 5,5 sur l'échelle EDSS (« expanded disability status scale »)
- Critères d'exclusion majeure : neuropathie optique d'origine non-démyélinisante, par exemple maladies infectieuses, traumatismes, tumeurs ou autres, et autres neuromyérites optiques avec des anticorps anti Aquaporine-4 (AQP4-Abs)

[Plus d'information sur l'essai clinique](#)

A propos de ACT-01

- ACT-01 est un traitement peptidomimétique *first-in-class* pouvant influencer sur le cours de la sclérose en plaques (SEP) et de la névrite optique aiguë. Il dispose pour cette dernière pathologie de la désignation de médicament orphelin de la FDA américaine et de l'EMA pour l'UE. Il traverse la barrière hémato-encéphalique par transport actif, pour favoriser la survie des cellules neuronales et la myélinisation
- Au sein de la cellule, ACT-01 active les étapes aval des voies de signalisation des facteurs neurotrophiques BDNF et IGF-1, et se lie sélectivement à un petit groupe de kinases. ACT-01 favorise la translocation hors du noyau du facteur de transcription FOXO-3, un facteur largement exprimé dans le système nerveux central. La translocation de FOXO-3 inhibe l'expression des gènes pro-apoptotiques et induit l'expression de gènes anti-apoptotiques, d'enzymes antioxydantes et de voies de différenciation
- ACT-01 a démontré *in vivo* des propriétés neuroprotectrices en réduisant les atteintes du nerf optique et de la rétine dans des modèles précliniques de NOA et de glaucome à haute pression. ACT-01 a également ralenti la progression de la paralysie dans le modèle préclinique expérimental de référence des encéphalomyélites auto-immunes (EAE) pour la SEP
- Un essai de phase I a montré l'innocuité et la tolérance de doses uniques et multiples de ACT-01 par voie intraveineuse chez des volontaires sains. Les données collectives de ces études montrent le potentiel thérapeutique de ACT-01 dans le traitement des maladies neurodégénératives, telles que la NOA et la SEP

A propos de la névrite optique aiguë (NOA)

La NOA est une pathologie inflammatoire démyélinisante aiguë du nerf optique. Les patients présentent une perte visuelle unilatérale, subaiguë et douloureuse. La NOA est considérée comme une maladie rare, avec une incidence de [un à cinq cas pour 100 000 personnes par an](#).

Pour environ [20% des patients](#), la NOA peut être le premier symptôme d'une sclérose en plaques (SEP). Dans la moitié des cas, la NOA est une indication de rechute de SEP au cours de l'évolution de la maladie. La gravité des symptômes et le degré de récupération varient énormément, sans qu'il n'y ait de facteurs particuliers pour une mauvaise récupération avec un fonctionnement résiduel. [Le niveau de gravité et de récupération](#) après la rechute initiale est associé au niveau de gravité et de récupération des récives suivantes.

La traitement habituel repose sur les corticostéroïdes, mais il n'existe pas actuellement de thérapie autorisée qui préserve la vision ou l'intégrité des fibres nerveuses ganglionnaires ou rétinienne après un épisode de NOA. Il est donc nécessaire de développer un médicament neuroprotecteur, qui pourrait empêcher la perte axonale à long terme et potentiellement mener à un meilleur résultat visuel.

A propos d'Accure Therapeutics

Accure Therapeutics est une société privée de R&D pharmaceutique au stade clinique dans le domaine du SNC. Basée à Barcelone (Espagne), elle a été créée en 2020 avec un financement de série A dirigé par Alta Life Sciences Spain I et soutenu par le Centre de développement technologique et industriel (CDTI). La société européenne avec un positionnement international possède un portefeuille de trois nouvelles entités chimiques qui visent des cibles innovantes – avec la possibilité d'en ajouter dans le futur. Accure vise à développer des médicaments modificateurs de la maladie pour traiter des pathologies graves telles que la névrite optique, la sclérose en plaques, la maladie de Parkinson et l'épilepsie. Avec une équipe commerciale et scientifique expérimentée, Accure Therapeutics est l'une des rares entreprises à opérer de manière agnostique sur la science initiale pour fournir des médicaments innovants dans le SNC.

[accure.health](#)

Contacts médias et analystes
Andrew Lloyd & Associates
Emilie Chouinard / Juliette Schmitt
emilie@ala.com / juliette@ala.com
Tél. : +33 (0)1 56 56 07 00
@ALA_Group
