

SUJET : CONGRES NEURO MALADIES RARES BIOTECH

Phase III positive pour l'amifampridine dans le syndrome myasthénique de Lambert Eaton

WASHINGTON, 24 avril 2015 (APM) - L'amifampridine (Firdapse*, Catalyst Pharmaceuticals) a limité la perte de la force musculaire chez des patients atteints d'un syndrome myasthénique de Lambert Eaton dans un essai de phase III, selon les résultats présentés vendredi en session plénière au congrès de l'American Academy of Neurology (AAN), à Washington.

Le syndrome myasthénique de Lambert Eaton est une maladie auto-immune rare qui entraîne un affaiblissement des muscles et une grande fatigabilité. Les anticorps du patient empêchent la libération d'acétylcholine, ce qui perturbe la transmission des impulsions nerveuses aux muscles, rappellent le Dr Shin Oh de l'université de l'Alabama à Birmingham et ses collègues dans le résumé de leur communication.

Initialement, l'amifampridine (ou 3,4-diaminopyridine base) a été développée par l'Agence générale des équipements et produits de santé (Ageps) de l'Assistance publique-Hôpitaux de Paris (AP-HP) pour des préparations hospitalières dans le traitement du syndrome de Lambert Eaton. La société française BioMarin a repris la molécule qui a été inscrite au remboursement en 2010 (cf APM CMNJC002), rappelle-t-on.

L'avis favorable de la Commission de la transparence s'appuyait sur deux études pivotales menées avec la préparation hospitalière, en 1989 auprès de 12 patients et en 2000 auprès de 26 patients.

La société américaine Catalyst a acquis les droits pour le développement de l'amifampridine aux Etats-Unis, conduisant un essai de phase III pour obtenir l'autorisation de mise sur le marché (AMM) auprès de la Food and Drug Administration (FDA). Elle a déjà obtenu le statut de médicament orphelin.

Les résultats présentés jeudi viennent renforcer les preuves d'efficacité de l'amifampridine.

Dans cette étude, 38 patients adultes ont été randomisés en double aveugle entre l'amifampridine à 10 mg trois à quatre fois par jour et un placebo sur deux semaines.

A l'issue de l'étude, il apparaît que le score de myasthénie aiguë quantitatif QMG (examen de la force musculaire) s'est davantage aggravé chez les patients sous placebo par rapport à ceux recevant l'amifampridine, avec une différence de 2,2 points. L'aggravation était également plus accentuée avec le placebo selon l'impression subjective des patients (-2,6 points) qu'avec l'amifampridine (-0,8 point), selon le résumé de la communication.

Les critères secondaires étaient aussi en faveur de l'amifampridine, avec également une aggravation plus importante avec le placebo qu'avec l'amifampridine, selon l'évaluation globale faite par le médecin (score CGI, +4,7 vs +3,8 points respectivement).

L'amifampridine a été globalement bien tolérée. Les effets indésirables observés étaient bénins, avec des paresthésies orales, des troubles gastro-intestinaux et des infections.

Catalyst évalue par ailleurs l'amifampridine dans d'autres indications, le syndrome myasthénique congénital et le nystagmus vertical inférieur.

Id/ab/APM

redaction@apmnews.com

LD8NNBAUQ 24/04/2015 18:17 SNC

©1989-2015 APM International.