

Exploration de nouvelles pistes pour le traitement de la Sclérose Latérale Amyotrophique SLA -PTC857- Utreloxastat -ETUDE CARDINALS-

Caroline GARRE, Céline CLUZAN, Ibrahima NDAO, Elodie PFENDER

Faculté de Pharmacie de Limoges, DFASP2 filière industrie (promotion « Helychrise ») ; CIC-1435 - Centre d'Investigation Clinique Plurithématique -

INTRODUCTION

La Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA) maladie neurodégénérative la plus fréquente :

- Incidence annuelle en France : **2,7 nouveaux cas pour 100 000 habitants**
- Légère **prédominance masculine**
- Pic d'incidence de la maladie entre **50 et 75 ans**
- Survie moyenne de **3 à 4 ans**
- Formes : **10 % SLA "familiale", 90 % SLA "sporadique"**
- Génétique : Plus de 25 gènes impliqués, dont **C9ORF72, SOD1, TARBP, FUS** (>50% des cas)
- Prédiction : **Augmentation prévue de 20 %** du nombre de malades d'ici 2040

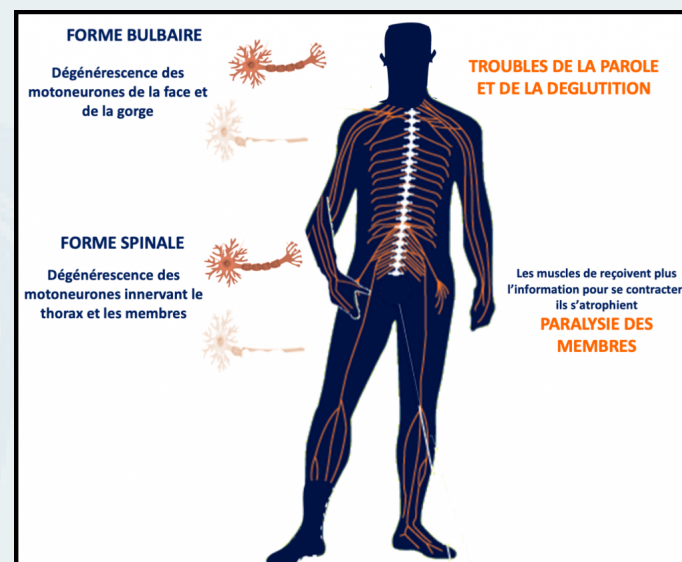
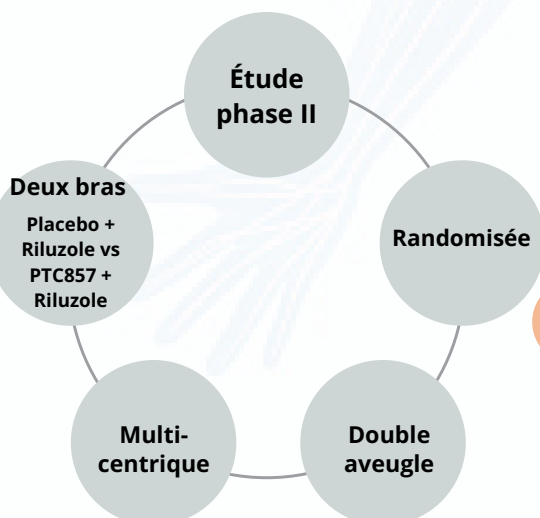
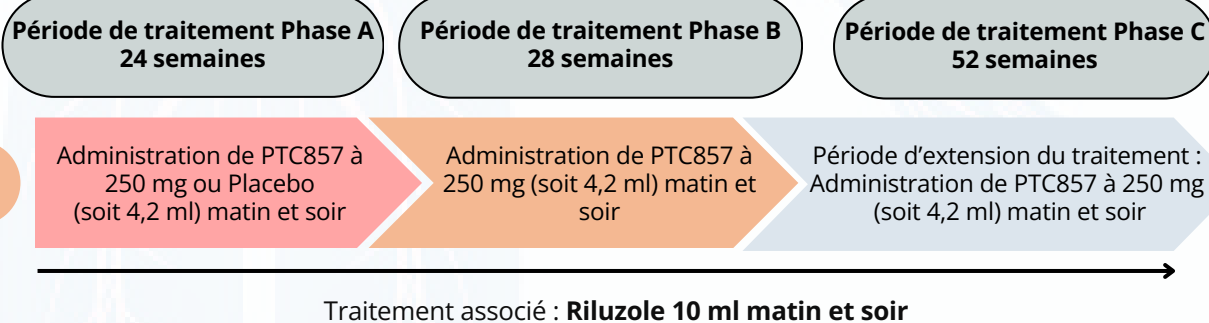


Figure 1- Symptômes de la SLA

DESIGN DE L'ETUDE CARDINALS



Objectif: Evaluer l'efficacité l'innocuité, la tolérabilité, la pharmacocinétique et les effets sur les biomarqueurs du PTC857 chez des patients atteintes de la SLA



MECANISME D'ACTION DE LA PTC857

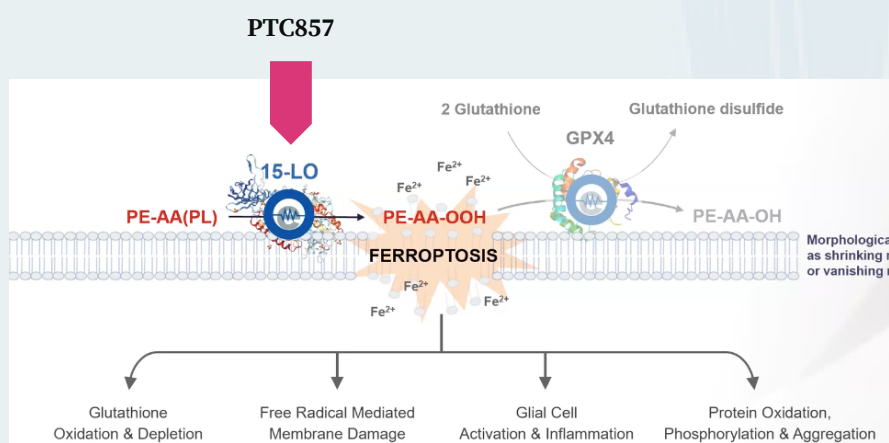
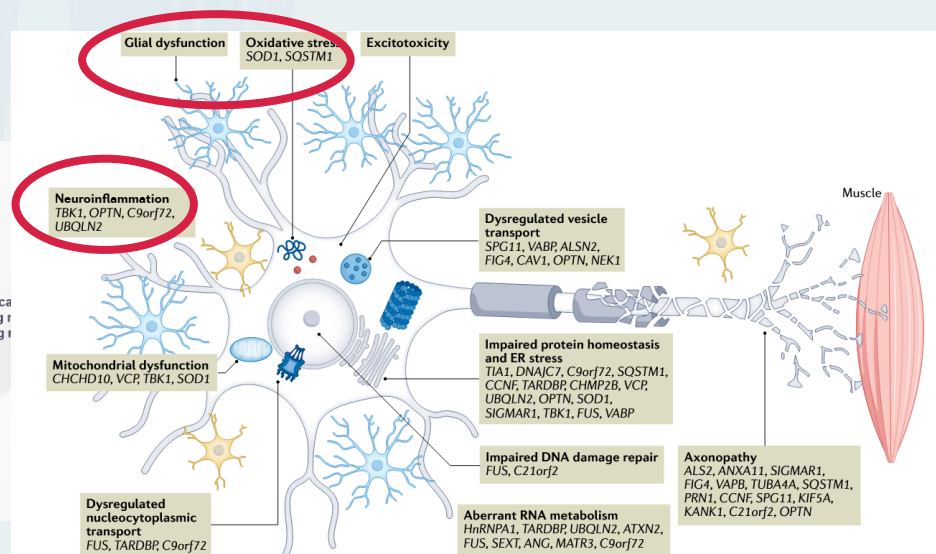


Figure 2 : Mécanisme d'action PTC857 Protocole CARDINALS



CONCLUSION

Actuellement, **seul le riluzole (RILUTEK®) détient une AMM**. L'étude **CARDINALS** cherche à montrer l'efficacité et la sécurité du PTC857 par rapport au placebo chez les patients atteints d'une SLA. Dans cette étude, une période d'extension a été ajoutée afin de surveiller les effets à long terme de la molécule. **Aucun effet indésirable significatif n'a été signalé à ce jour.**

1. Lan Gao, et al. Clinical Pharmacology in drug development. (2023)12 (2): 141-151.
 2. PTC Therapeutics. ICH GCP. (2022)
 3. Protocole CARDINALS