

L'essai CHELATE a confirmé la non-infériorité de la Trientine Tétrachlorhydrate (TETA 4HCl) à la D-pénicillamine en atteignant le critère principal d'efficacité basé sur le taux de Cuivre N lié à la Céruloplasmine (NCC) , à 6 mois. Cette étude a montré que TETA 4HCL peut être une alternative du traitement d'entretien pour les patients atteints de la maladie de Wilson.

Un plus grand nombre de patients a atteint le critère composite prédéfini par l'atteinte des valeurs seuils du NCC et du taux de cuivre excrété dans les urines sur 24 heures (Cuprurie) par rapport aux patients traités par la D-pénicillamine, 50% contre 24 %. La Trientine tétrachlorhydrate a été bien tolérée.

Écrit par Orphalan

Dimanche, 04 Juillet 2021 16:38 - Mis à jour Dimanche, 04 Juillet 2021 16:57

Les premiers résultats de l'essai ont été communiqués lors d'une présentation orale à l'International Liver Congress (EASL) le 25 juin 2021

Paris, France. 30 juin 2021. Orphalan SA, une société qui identifie, développe et fournit des traitements innovants aux patients atteints de maladies rares

, a annoncé

le 25 juin dernier, lors du Congrès de l

, EASL,

les premiers résultats positifs d

e

l

,

essai phase 3 comparant la

D

-

P

énicillamine

à la

Trientine

Tétrachlorhydrate

(

TETA 4HCl)

dans la maladie de Wilson (WD)

. La maladie de

Wilson

,

une maladie héréditaire rare du transport du cuivre affectant principalement le foie et le cerveau

.

Non traitée, c'est une maladie mortelle.

Cet essai est une étude de phase 3, multicentrique, randomisée, ouverte, contrôlée, de non-infériorité menée dans 9 pays dans 15 centres (Europe, États unis et Brésil) et a été

Écrit par Orphalan

Dimanche, 04 Juillet 2021 16:38 - Mis à jour Dimanche, 04 Juillet 2021 16:57

complété
dans le cadre d'un programme
IND (Investigational New Drug), en vue d
,
une demande
d
,
autorisation auprès
de la FDA.

L'essai CHELATE est le premier essai prospectif randomisé comparant la D-Pénicillamine au TETA 4HCl
sur des critères d

,
efficacité et de tolérance

.
La D-pénicillamine est le seul traitement de première intention approuvé depuis 70 ans. Le TETA 4HCl

,
s'il est approuvé aux
États

-
Unis par la FDA

,
pourrait être utilisé comme
alternative à la
D

-
Pénicillamine
chez les patients atteints
de la Maladie de Wilson
en phase de maintenance
*

.
L'essai CHELATE a atteint son critère d'évaluation principal en démontrant que la TETA 4HCl n'était pas inférieure à la
D

Écrit par Orphalan

Dimanche, 04 Juillet 2021 16:38 - Mis à jour Dimanche, 04 Juillet 2021 16:57

P
énicillamine,
basé sur
l'évaluation d
u NCC-
spéciation

**.

Cette nouvelle méthode analytique a été développée par Orphalan
à la demande de
la FDA.

Le critère d'évaluation composite
défini

par le taux de

cuivre non

lié à la

céruloplasmine (NCC)

et par la cuprurie

sur 24 heures a été atteint par 50

% des patients traités par l

a

TETA 4HCl

contre 24

% des patients traités par la

D

-

P

énicillamine.

Cinq événements indésirables graves (EIG) ont été observés chez les 27 patients traités par la
D

-

P
énicillamine, tandis qu'aucun EIG n'a été observé chez les 26 patients randomisés pour
recevoir l

a

TETA 4HCl

.

Les événements indésirables survenus pendant l

a phase de

traitement étaient

comparables dans les deux groupes et ont été classés comme légers ou modérés et de nature
transitoire.

Écrit par Orphalan

Dimanche, 04 Juillet 2021 16:38 - Mis à jour Dimanche, 04 Juillet 2021 16:57

Les données de cette étude seront soumises pour publication. L'analyse des données sur 48 semaines de l'étude de phase 3 CHELATE est en cours et sera présentée lors d'un prochain congrès scientifique.

« Dans une maladie chronique comme la maladie de Wilson, l'interruption ou l'arrêt du traitement pour quelque s raisons que ce soit peut provoquer une aggravation de la maladie, parfois avec des conséquences irréversibles. Les médecins

et leurs patients doivent déterminer ensemble le médicament qui offrira le meilleur rapport e

ntre efficacité, sécurité et tolérance pour contrôler de manière optimale cette maladie a

déclaré le

Dr

Michael

Schilsky,

investigateur

principa

l,

professeur de médecine et directeur d u

Centre

d'excellence pour

la maladie de

Wilson

à l'Université de

Yale.

"

Ces premiers résultats suggèrent que la TETA 4HCL offre un bon profil de tolérance et

représente une alternative sûre et efficace à la D-pénicillamine comme traitement d'entretien pour les patients atteints de la maladie de Wilson

."

« La D-pénicillamine est aujourd'hui le seul traitement de première intention approuvé dans la maladie de Wilson malgré son faible profil de tolérance. L'étu de CHELATE a démontré que les patients sous D-pénicillamine peuvent passer en toute sécurité au TETA 4HCL, sans compromettre l'efficacité.

Notre engagement dans cette étude est conforme à notre stratégie visant à fournir des données cliniques solides aux médecins pour leur permettre de prendre des décisions thérapeutiques fondées sur des preuves scientifiques

Écrit par Orphalan

Dimanche, 04 Juillet 2021 16:38 - Mis à jour Dimanche, 04 Juillet 2021 16:57

«
»
a
expliqué
le
Dr
Naseem Amin, PDG d'Orphalan.

«
Les preuves cliniques de cet essai et l'utilisation du nouveau test NCC développé par Orphalan
ont le potentiel d
,

apporter une différence significative dans la vie du patient et dans le suivi de sa maladie.

»
poursuit le Dr Naseem Amin.

Le Dr France Woimant, neurologue et ancienne coordinatrice du Centre de Référence de la
Maladie de Wilson et autres maladies rares liées au cuivre en France

résume
ces premiers résultats

:
«
Que de chemin parcouru
depuis les années 2000
où
nous utilisions ce sel de trientine
grâce à
une préparation hospitalière et une approche clinique au cas par cas jusqu
,

à aujourd

,

hui

,

avec les résultats de cette phase 3

,

et les standards méthodologiques actuels comparant cette ancienne formulation devenue un
médicament

,

avec le traitement de référence la D Pénicillamine

,

chez les
patients ayant
une maladie de Wilson
stabilisée

.

Écrit par Orphalan

Dimanche, 04 Juillet 2021 16:38 - Mis à jour Dimanche, 04 Juillet 2021 16:57

Cette étude comparant deux chélateurs du cuivre est importante pour la prise en charge des nombreux patients atteints de maladie de Wilson.

L'efficacité et la bonne tolérance du TETA 4 HCL dans le cadre de l'étude Chelate nous offriraient une alternative thérapeutique particulièrement intéressante pour les patients stabilisés en phase de maintenance.

* La TETA 4 HCL a obtenu l'Autorisation de Mise sur le marché en Europe pour les patients intolérants à la D Pénicillamine depuis septembre 2017.

** Spéciation : séparation chromatographique des différentes espèces du Cuivre dans le but de doser spécifiquement le cuivre lié à la céruloplasmine et ainsi calculer le NCC.

Orphalan annonce des résultats positifs pour le tétrachlorhydrate de trientine comme traitement d'entretien

Écrit par Orphalan

Dimanche, 04 Juillet 2021 16:38 - Mis à jour Dimanche, 04 Juillet 2021 16:57
