

Axoltis Pharma reçoit l'autorisation de lancer SEALS, un essai clinique de phase II pour les patients atteints de SLA avec son candidat médicament NX210c

- **L'essai de phase II vise à évaluer l'efficacité et la tolérance de NX210c chez des patients atteints de Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA – Maladie de Charcot)**
- **80 patients seront inclus et les premiers résultats sont attendus début 2026**
- **Le candidat médicament NX210c permet une approche prometteuse de réparation de la Barrière Hémato-Encéphalique (BHE) qui est altérée dans les maladies neurodégénératives telles que la SLA**

Clermont-Ferrand et Lyon (France), le 10 avril 2024 - Axoltis Pharma, société biopharmaceutique française spécialisée dans le développement de solutions thérapeutiques pour les maladies neurodégénératives, annonce aujourd'hui avoir obtenu l'autorisation de l'ANSM pour lancer l'étude clinique SEALS. Il s'agit d'un essai de phase II du candidat médicament NX210c chez des patients atteints de Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA – Maladie de Charcot). C'est le premier essai clinique évaluant une approche consistant à réparer la Barrière Hémato-Encéphalique (BHE) dans la SLA.

La SLA est une maladie neurodégénérative mortelle [qui touche actuellement 50 000 personnes en Europe et entraîne 10 000 décès chaque année](#). Elle attaque principalement les neurones moteurs du cerveau et de la moelle épinière, ce qui entraîne une faiblesse musculaire et une paralysie. La plupart des patients décèdent d'insuffisance respiratoire dans un délai de deux à cinq ans, en moyenne. Il n'existe actuellement aucun traitement curatif pour la SLA. Le seul médicament autorisé en Europe pour cette pathologie est le Riluzole, qui prolonge la survie de seulement deux mois en médiane. La SLA reste donc une maladie neurologique dégénérative et mortelle dont les besoins sont largement insatisfaits.

Il a été démontré que la BHE, qui protège le cerveau contre l'entrée de substances indésirables du sang, est altérée dans plusieurs maladies neurodégénératives, telles que la SLA, et que cette altération pourrait même être à l'origine de certaines pathologies. NX210c, l'agent thérapeutique innovant d'Axoltis, peut aider la BHE à retrouver son intégrité, tout en offrant une neuroprotection et en améliorant la neurotransmission. Le NX210c est un peptide cyclique de 12 acides aminés synthétisé à partir de la séquence la plus conservée et répétée de la SCO-Spondin.

« L'approche thérapeutique consistant à rétablir l'intégrité de la BHE chez les patients atteints de SLA est très prometteuse ; nous sommes fiers chez Axoltis d'avoir un temps d'avance en clinique avec le NX210c », déclare le Dr Annette Janus, neurologue et

directrice médicale d'Axoltis. « Aussi, l'utilisation de méthodes analytiques avancées nous offrira une approche innovante contre la SLA et contribuera à une meilleure compréhension des maladies neurodégénératives dans leur ensemble. »

SEALS est une étude de phase II en double aveugle, randomisée, contrôlée par placebo et multicentrique qui vise à évaluer l'efficacité, la sécurité, la tolérance et la pharmacocinétique d'un traitement par NX210c chez des patients atteints de SLA. Son objectif principal est d'évaluer l'effet du NX210c à l'aide de deux biomarqueurs : la concentration de Neurofilaments à chaîne légère (NfL) dans le sang, en tant que biomarqueur reflétant la sévérité et/ou la progression de la SLA, ainsi que le rapport de concentration d'albumine entre le Liquide Céphalo-Rachidien (LCR) et le sang, qui est un biomarqueur fiable de l'intégrité de la BHE. L'étude évaluera également l'effet du NX210c sur les résultats fonctionnels et sur certains biomarqueurs secondaires. Les premiers résultats sont attendus pour début 2026.

Axoltis envisage de recruter un total de 80 patients atteints de SLA dans le cadre d'un essai réalisé en France dans au moins 15 sites investigateurs. Les patients recevront le médicament en perfusion intraveineuse pendant 10 minutes à des doses de 5 mg/kg ou 10 mg/kg de NX210c, ou un placebo, et cela trois fois par semaine pendant quatre semaines. Les patients pourront continuer à suivre leur traitement, souvent à base de riluzole, et seront suivis pendant trois mois après la fin du traitement. Axoltis va bénéficier du soutien opérationnel du réseau ACT4ALS/MND.

Le Dr Emilien Bernard, coordinateur du centre SLA de Lyon à l'Hôpital Neurologique et Neurochirurgical Pierre-Wertheimer, Hospices Civils de Lyon, qui sera l'investigateur principal de l'étude, indique : « Cette approche est très intéressante et prometteuse. Elle pourrait certainement jouer un rôle majeur dans la découverte d'une solution thérapeutique pour cette terrible maladie. »

« L'autorisation de cet essai clinique de phase II est une étape importante pour l'entreprise, en particulier dans l'indication SLA, où le besoin médical non satisfait est si important. Par ailleurs, il y a un certain nombre de pathologies du SNC pour lesquelles le rétablissement de l'intégrité de la BHE pourrait impacter la progression de la maladie, notamment dans la sclérose en plaques, la maladie de Parkinson, d'Alzheimer, de Huntington et bien d'autres encore », ajoute le Dr Yann Godfrin, président d'Axoltis.

Autre innovation, le groupe placebo, volontairement restreint, sera étendu grâce à l'ajout de patients virtuels, *in silico*, sur la base de méthodes de calcul des données de contrôle historiques. Cette modélisation, réalisée en collaboration avec la société InSilicoTrials (Italie), permettra de prédire l'évolution de la maladie chez les sujets virtuels à partir des caractéristiques des patients réellement recrutés.

Une partie de l'étude est financée par la Région Auvergne-Rhône-Alpes et l'Etat par le biais de [IDEMO Régionalisé](#), une subvention de France 2030.



A propos de NX210c

Une glycoprotéine (SCO-spondin) produite par l'organe subcommissural (SCO) joue un rôle crucial dans la neurogénèse et le guidage des axones durant la phase embryonnaire. Seuls des traces de l'organe subcommissural subsistent à l'âge adulte, ne permettant plus la production de SCO-Spondin ce qui a pour conséquence une difficulté de régénération d'éléments du système nerveux chez l'homme. Dans ce contexte, Axoltis développe NX210c, un peptide cyclique de 12 acides aminés synthétisé à partir de la séquence la plus conservée et répétée de la SCO-Spondin, en tant que candidat médicament innovant pour les maladies neurodégénératives ou traumatiques. NX210c est protégé par sept brevets entièrement détenus par Axoltis Pharma, y compris la protection de la composition du produit lui-même. La FDA a octroyé en 2022 une désignation de médicament orphelin pour NX210c dans la SLA. En 2023, les données de sécurité recueillies dans le cadre d'une étude de phase Ib, en escalade de doses répétées, ont montré que le NX210c était bien toléré et ne posait pas de problème de sécurité.

Pour plus de détails, <https://www.axoltis.com/our-product/properties/>

A propos d'Axoltis Pharma

Axoltis Pharma est une société biopharmaceutique française qui développe des traitements innovants pour lutter contre les maladies neurodégénératives ou neurotraumatiques ayant des besoins médicaux non satisfaits.

Avec son siège social à Clermont-Ferrand et des bureaux à Lyon, Axoltis a établi plusieurs partenariats avec des laboratoires universitaires ou privés de renommée internationale afin de développer son produit phare, NX210c. L'équipe dispose d'une grande expérience dans le développement de médicaments, en particulier dans des applications neurologiques.

www.axoltis.com

Contact corporate

Axoltis Pharma (siège)
15-17 rue Pré de la Reine
63100 CLERMONT FERRAND
contact@axoltis.com

Axoltis Pharma (bureaux)
60 avenue Rockefeller
69008 LYON

Yann GODFRIN, PhD – Président du Directoire – 04 72 62 17 36
ygodfrin@axoltis.com

Contact presse et analystes

Andrew Lloyd & Associates

Matthew Gower / Juliette Schmitt

matthew@ala.associates - juliette@ala.com

Tél : +33 1 56 54 07 00
