

## **Carthera obtient la désignation de médicament orphelin des autorités américaines et européennes pour le carboplatine dans le traitement du gliome malin**

**La désignation de médicament orphelin témoigne du fort potentiel thérapeutique du carboplatine lorsqu'il est utilisé avec la technologie SonoCloud® de Carthera**

**Grâce à ce statut accordé par l'EMA et la FDA, Carthera bénéficiera d'un soutien renforcé de la part des autorités réglementaires pour son approche innovante du traitement du glioblastome**

**Paris, France, le 14 mai 2024** – Carthera, une spin-off de Sorbonne Université fondée par le Pr. Alexandre Carpentier, et qui développe SonoCloud®, un dispositif médical innovant à base d'ultrasons pour traiter un large éventail de maladies du cerveau, annonce aujourd'hui avoir reçu la désignation de médicament orphelin (ODD – Orphan Drug Designation) de la FDA (Food and Drug Administration) américaine et de l'EMA (Agence européenne des médicaments) pour l'utilisation du carboplatine dans le traitement du gliome malin.

Le [programme de désignation de médicaments orphelins de la FDA](#) accorde ce statut aux médicaments et produits biologiques destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladies ou d'affections rares, qui touchent moins de 200 000 personnes aux États-Unis. Du côté de l'EMA, ce programme cible les pathologies qui touchent moins de cinq personnes sur 10 000 dans l'Union Européenne. Ces deux désignations offrent à Carthera une opportunité unique d'élargir son exclusivité commerciale aux États-Unis et en Europe.

Carthera utilise le carboplatine dans le premier essai pivot de sa technologie SonoCloud, pour le traitement du glioblastome récurrent (rGBM). Il s'agit d'un essai clinique randomisé, multicentrique, à deux bras, avec un ratio 1:1, visant à recruter 560 patients sur 40 sites en Europe et aux États-Unis. Cet essai pivot comparatif ouvert vise à évaluer la survie globale des patients traités par chimiothérapie au carboplatine et par le dispositif SonoCloud-9 utilisé pour ouvrir la Barrière Hémato-Encéphalique (BHE). Cette approche sera comparée au traitement de référence (lomustine et témozolomide) chez des patients souffrant d'une première récurrence de GBM.

« Nous sommes ravis de recevoir la désignation de médicament orphelin de la part des autorités européennes et américaines. Il s'agit d'un signal fort pour l'entreprise, qui nous encourage dans notre essai pivot portant sur l'utilisation du carboplatine dans le traitement du glioblastome récurrent », déclare Sandra Thiollière, directrice des affaires réglementaires chez Carthera.

Le carboplatine a été sélectionné pour son action anti-tumorale avérée. Il a déjà été testé en monothérapie chez des patients atteints de glioblastome. Sa toxicité est limitée ou nulle pour le système nerveux central (SNC) à fortes doses ou en exposition directe. Cependant, il pénètre difficilement la BHE lorsqu'il est administré de façon conventionnelle, en intraveineuse. La concentration de carboplatine dans le cerveau peut être considérablement augmentée lorsqu'il est injecté en association avec le système SonoCloud-9, qui ouvre temporairement la BHE. Des résultats préliminaires d'innocuité et d'efficacité du carboplatine associé au SonoCloud-9 (NCT03744026) ont été publiés récemment dans [Nature Communications](#).

« Il s'agit d'une étape importante pour Carthera, puisque les autorités réglementaires américaines et européennes reconnaissent l'importance d'associer ces traitements à notre dispositif SonoCloud. Notre technologie devrait permettre aux patients de bénéficier de l'efficacité thérapeutique du carboplatine pour améliorer leur traitement », explique Frédéric Sottolini, directeur général de Carthera.

Le glioblastome (GBM) est l'un des cancers les plus complexes à traiter, avec un fort taux de mortalité et peu de traitements disponibles. Chaque année, [plus de 10 000 personnes aux États-Unis](#) et environ [15 000 dans l'Union européenne](#) y succombent.

Carthera a récemment enrôlé les [premiers patients de son étude pivot \(NCT05902169\)](#) en Europe et aux États-Unis, avec un recrutement qui doit durer deux ans. Des analyses intermédiaires seront réalisées tout au long de l'étude. Des essais sponsorisés par des investigateurs ont été lancés en parallèle. Ils portent sur différents agents thérapeutiques et doivent confirmer le potentiel de la plateforme SonoCloud.

### **A propos de SonoCloud-9**

SonoCloud est un dispositif médical innovant développé par Carthera. Il émet des ultrasons pour augmenter temporairement la perméabilité des vaisseaux sanguins du cerveau afin d'améliorer la délivrance de molécules thérapeutiques. Inventé par le Pr. Alexandre Carpentier et développé en collaboration avec le Laboratoire Thérapie et Applications Ultrasonores (LabTAU, INSERM) à Lyon, France, SonoCloud est un implant inséré dans le crâne et activé avant l'injection d'un agent thérapeutique. Quelques minutes d'ultrasons de faible intensité ouvrent la barrière hémato-encéphalique pendant six heures et augmentent la concentration de molécules thérapeutiques dans le cerveau. Cette ouverture de la barrière hémato-encéphalique induite par les ultrasons est une première mondiale ; elle offre une nouvelle option de traitement pour un large éventail d'indications, y compris les tumeurs cérébrales et la maladie d'Alzheimer.

SonoCloud est un dispositif expérimental, il n'a pas encore reçu d'autorisation de l'EMA ou de la FDA.

### **A propos de Carthera**

Carthera est une medtech en phase d'évaluation clinique spécialisée dans le développement de dispositifs médicaux innovants basés sur l'utilisation d'ultrasons destinés à traiter un grand nombre de pathologies cérébrales. Spin-off de l'Assistance Publique - Hôpitaux de Paris (AP-HP) et de Sorbonne Université, la société valorise les inventions du Pr Alexandre Carpentier, chef du département neurochirurgie à l'Hôpital Universitaire de la Pitié-Salpêtrière, reconnu à l'international dans le domaine des nouvelles technologies appliquées au cerveau. Carthera développe le SonoCloud®, un implant intracrânien qui permet d'ouvrir temporairement la Barrière Hémato-Encéphalique (BHE). Le dispositif fait actuellement l'objet d'essais cliniques en Europe et aux États-Unis. Il a obtenu la désignation 'Breakthrough Device' auprès de la FDA en 2022. Fondée en 2010 par le Pr Alexandre Carpentier, dirigée par Frédéric Sottolini et présidée par le Dr Oern Stuge, Carthera possède des bureaux en France (Lyon et Paris) et une filiale aux États-Unis. Depuis sa création, le développement technique et clinique du SonoCloud a reçu le soutien de l'ANR, de Bpifrance, du Conseil européen de l'innovation (EIC) et des National Institutes of Health (NIH) aux États-Unis.

[www.carthera.eu](http://www.carthera.eu)

---

Contact médias et analystes

**Andrew Lloyd & Associates**

Saffiyah Khaliq - Juliette Schmitt

[saffiyah@ala.associates](mailto:saffiyah@ala.associates) - [juliette@ala.associates](mailto:juliette@ala.associates)

Tél : +33 1 56 54 07 00

---