

Neurologie

Vieilles molécules, résultats inédits

Des maladies neurologiques jusque-là incurables devraient pouvoir être traitées dans un avenir très proche grâce à des molécules déjà existantes, mais avec des indications entièrement nouvelles, notamment dans la sclérose en plaques.



InnoBio et Sofinnova Partners viennent d'investir huit millions d'euros dans MedDay, une société cofondée par Frédéric Sedel, neurologue à l'hôpital de la Pitié-Salpêtrière.

La société MedDay, fondée en 2011 par Frédéric Sedel, neurologue à l'hôpital de la Pitié-Salpêtrière à Paris, et Guillaume Brion, médecin spécialiste du développement pharmaceutique, a aujourd'hui le vent en poupe. Son pipeline de médicaments intéresse un marché estimé à plusieurs milliards d'euros qui pourrait s'avérer rentable, à terme, pour l'AP-HP, détentrice des brevets. Autre originalité notoire, les traitements en développement sont des molécules anciennes qui peuvent être utilisées directement chez l'homme, les études précliniques ayant déjà eu lieu. Ceci signifie un développement très rapide, car les autorisations de mise sur le marché pourraient avoir lieu dans les deux prochaines années. Cette réussite ne tient pas du hasard, mais de la curiosité et de la ténacité de ses fondateurs.

Première mondiale

Il y a une dizaine d'années, Frédéric Sedel a développé une spécialité qui n'existait qu'en pédiatrie, à savoir l'étude des maladies héréditaires du métabolisme. Les gènes en cause dans ces maladies métaboliques rares monogéniques entraînent des déficits enzymatiques. « Ces maladies étaient bien décrites chez les enfants, explique Frédéric Sedel, mais on s'est aperçu qu'il existait des formes tardives qui pouvaient débuter sous la forme de troubles neurologiques. Les voies métaboliques en cause étaient bien connues et il était possible depuis long-

temps de les moduler de manière relativement simple. Or, à la Pitié-Salpêtrière, on suit des milliers de patients atteints d'une maladie neurologique dont on ignore l'origine. L'idée de départ a consisté à rechercher chez ces patients des déficits enzymatiques décrits chez l'enfant. » La spécialité de neurométabolisme a ainsi vu le jour. En dix ans, Frédéric Sedel a trouvé les maladies qu'il cherchait chez environ 15 % des patients adressés pour une pathologie neurologique inexpliquée, l'extraordinaire étant que la majorité de ces maladies pouvaient être traitées. Au total, cela représente des milliers de patients potentiels à travers le monde.

Grand espoir pour 50 % des scléroses en plaques

Frédéric Sedel a identifié une première molécule déjà existante pour une maladie neurométabolique très rare. La pharmacie de la Pitié-Salpêtrière a fabriqué le médicament et un brevet a été déposé dans une indication et une posologie précises par l'AP-HP, grâce au dynamisme de Florence Ghrenassia, responsable de l'Office du transfert de technologie et des partenariats industriels (OTT&PI). La molécule testée était efficace chez des patients atteints de maladies métaboliques héréditaires, mais aussi chez ceux présentant une sclérose en plaques (SEP) progressive. Cette forme de SEP, qui touche la moitié des patients, soit 200 000 personnes en Europe, ne dispose actuellement

d'aucun traitement. « Les huit premiers patients traités ont répondu favorablement. L'évolution de la maladie est stoppée et certains symptômes s'améliorent. C'est un résultat clinique jusqu'à présent jamais observé. Tout se passe comme si les neurones démyélinisés recommençaient à fonctionner sans myéline et ne dégénéraient plus, c'est incroyable », précise Frédéric Sedel. De cette découverte est née la société MedDay, qui vient de lever huit millions d'euros à travers le fonds InnoBio, en association avec Sofinnova Partners, pour débiter des essais cliniques rigoureux nécessaires à l'obtention de l'AMM.

La seconde molécule, qui restaure les concentrations cérébrales d'un métabolite, a déjà été testée cliniquement avec succès dans des psychoses résistantes. La troisième intéresse une chaîne métabolique déficitaire dans la maladie d'Alzheimer partagée par une autre maladie rare pour laquelle une molécule est déjà utilisée chez l'homme. Une plate-forme technologique de métabolomique, installée au CEA (équipe du Dr Christophe Junot), étudie actuellement les 1 300 métabolites issus du métabolisme cérébral et présents dans le liquide céphalo-rachidien. Cette méthode de recherche originale et unique permet de « séparer les maladies neurologiques sur le profil métabolique » avec de grandes avancées en perspective. ■

Emmanuel Cuzin