

## Essai clinique de phase 2 pour la molécule Miglustat : Un grand espoir pour les patients atteints de mucoviscidose

Sur la base de travaux de recherche financés par Vaincre la Mucoviscidose, un essai clinique va être lancé chez des patients atteints de mucoviscidose. Cette étude clinique menée par le laboratoire pharmaceutique Actelion<sup>1</sup> vise à tester la capacité du Miglustat à restaurer l'activité de la protéine CFTR chez des patients atteints de mucoviscidose. Pour l'association Vaincre la Mucoviscidose et les patients atteints de mucoviscidose, c'est une étape majeure qui permet de poursuivre l'étude d'une molécule prometteuse et porteuse d'espoir.

Cet essai clinique de phase 2a se déroulera en Espagne et mobilisera 25 patients atteints de mucoviscidose et porteurs de la mutation delta F508<sup>2</sup> présente chez environ 70% des patients atteints de mucoviscidose. Les résultats de l'essai clinique devraient être connus à la fin de l'année 2008. Cette étude représente une étape importante puisqu'elle correspond à la première administration de la molécule chez l'homme après plusieurs années de recherche en laboratoire. En cas de résultats positifs, d'autres étapes devront être franchies avant de valider l'efficacité du miglustat par une étude de phase 3 de plus grande envergure. Le lancement de cette étude clinique représente donc un important premier pas porteur d'espoir pour beaucoup des patients atteints de mucoviscidose.

### La découverte du Miglustat, résultat d'une technologie de pointe et d'un financement important de l'association Vaincre la Mucoviscidose

Le potentiel de cette molécule dans le cadre de la mucoviscidose a été découvert grâce à des travaux financés par Vaincre la Mucoviscidose et réalisés par l'équipe du professeur Frédéric Becq (CNRS, Poitiers). Le Miglustat a été repéré grâce à la technique du criblage à haut débit, une technologie de pointe qui permet de tester en peu de temps un grand nombre de molécules sur un processus biologique. Par chance, cette molécule existe déjà sur le marché pour le traitement d'une autre pathologie. *"Par cette découverte nous avons gagné 5 ans sur le processus habituel de développement d'un médicament (de 5 à 10 ans habituellement)"*, explique le professeur Frédéric Becq.

L'association Vaincre la Mucoviscidose se félicite du lancement de cet essai clinique, qui confirme la pertinence de sa stratégie de soutien à la recherche. De 2000 à 2006, ce sont plus de 15 millions d'euros qui ont été investis par l'association dans l'ensemble des pistes de recherche concernant la mucoviscidose. A titre d'exemple, près de 500 000 euros de subventions de recherche ont été attribués par Vaincre la Mucoviscidose à l'équipe de Frédéric Becq.

### Pour en savoir + sur la recherche en mucoviscidose

→ rendez-vous sur [www.vaincrelamuco.org](http://www.vaincrelamuco.org), rubrique Recherche.

- Toute l'information sur la recherche
- Le détail des projets subventionnés par Vaincre la Mucoviscidose

<sup>1</sup> Actelion est une des sociétés les plus impliquées sur les maladies rares au niveau européen

<sup>2</sup> Protéine anormale responsable de la mucoviscidose

#### Contacts Presse :



Laurence Jacquillat

Delphine Eriau – Sylvie du Cray-Patouillet  
16, rue de l'Arcade, 75008 Paris  
Tel : 01 45 03 89 93  
Fax : 01 45 03 89 90  
E-mail : d.eriau@l.com.net



Valérie Desplas  
181, rue de Tolbiac - 75013 Paris  
Tel : 01 40 78 91 75  
Fax : 01 45 80 86 44  
E-mail : vdesplas@vaincrelamuco.org