

Résumé du protocole

d'étude clinique

Le protocole d'une étude clinique est un document expliquant pourquoi et comment une étude sera réalisée.

Première étude chez l'homme portant sur le S233107 chez des participants atteints d'ataxie spinocérébelleuse de type 3

Titre scientifique complet : Première étude chez l'homme de phase Ib/Ila, multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo, avec administration de doses multiples croissantes (partie 1) suivie d'une extension en ouvert (partie 2), visant à évaluer la sécurité, la tolérance et la pharmacocinétique du S233107 administré par voie intrathécale chez des participants atteints d'ataxie spinocérébelleuse de type 3 (numéro de l'étude dans l'UE : 2025-525111-17-00)

1 Pourquoi cette étude est-elle nécessaire ?

Cette étude est nécessaire pour trouver un traitement spécifique pour un type de maladie dégénérative appelée ataxie spinocérébelleuse de type 3 (ASC 3). Les symptômes d'ataxie sont une instabilité de la démarche, des difficultés à garder l'équilibre et des troubles de la parole.

L'ASC 3 est causée par des altérations au niveau d'un gène appelé ATXN3. Du fait de ces altérations, une protéine appelée ataxine-3 est défectueuse, ce qui perturbe le fonctionnement des cellules du cerveau.

Le médicament à l'étude, S233107, est conçu pour réduire le nombre de versions défectueuses de la protéine ataxine-3 produite par l'organisme. Les chercheurs pensent que le S233107 pourrait aider à traiter les patients atteints d'ASC 3. Cette étude est importante car elle pourrait conduire à un traitement qui empêche la maladie de progresser chez les patients atteints d'ASC 3.

2 Que recherchons-nous principalement ?

Quel est l'objectif principal de l'étude ?

L'objectif principal de l'étude est de déterminer la sécurité d'emploi du S233107 et la tolérance des participants atteints d'ASC 3 à de multiples doses croissantes.

Quels sont les principaux critères d'évaluation de l'étude ?

Un critère d'évaluation de l'étude est le critère utilisé pour décider si un objectif de l'étude est atteint ou non. Les principaux critères d'évaluation de cette étude sont les suivants :

- le nombre d'événements médicaux indésirables survenant pendant l'étude et leur gravité ;
- le nombre de résultats anormaux observés dans les examens cardiaques (ECG), les analyses de sang et de liquide céphalorachidien, les signes vitaux (comme la pression artérielle et la fréquence cardiaque), le poids corporel et les évaluations du risque suicidaire.

3 Qu'en est-il des autres objectifs de l'étude ?

Quels sont les autres objectifs de cette étude ?

L'autre objectif de cette étude est de comprendre comment l'organisme assimile le S233107. Les scientifiques appellent cela la pharmacocinétique (PK).

Quels sont les autres critères d'évaluation de l'étude ?

Les autres critères d'évaluation de l'étude sont des mesures de la PK, notamment le taux de S233107 dans le liquide céphalorachidien et le sang à différents moments.

4 Qui participe à l'étude ?

Il est prévu qu'environ 62 participants rejoignent l'étude.

Pour participer, les participants doivent :

- avoir un diagnostic d'ASC 3 confirmé par un test génétique ;
- être un adulte âgé de 18 à 65 ans ;
- être en mesure de marcher seul sans aucune aide.

Les patients ne peuvent pas participer à l'étude s'ils présentent d'autres types de troubles cérébraux, une altération importante de la fonction rénale, ou s'ils présentent ou ont présenté un risque suicidaire significatif.

5 Comment l'étude est-elle menée ?

L'étude comporte deux parties : la partie 1 et la partie 2.

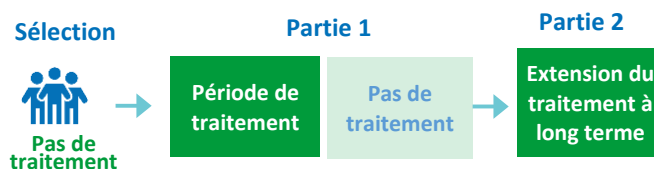
La partie 1 est « en double aveugle », ce qui signifie que ni les participants ni les médecins investigateurs ne savent quel traitement est administré. Cela permet d'éviter toute influence sur les résultats. La partie 2 est « en ouvert », ce qui signifie que les participants et les médecins investigateurs savent quel traitement est administré.

Une période de sélection aura lieu avant la partie 1. Pendant cette période, les médecins vérifieront si les participants répondent à toutes les exigences pour participer à l'étude.

Partie 1 : Des petits groupes de participants recevront différentes doses de S233107 ou de placebo. Un placebo a la même apparence que le S233107, mais ne contient aucun vrai médicament. Le premier groupe recevra la dose la plus faible, puis chaque nouveau groupe recevra une dose plus élevée. Cette partie est dite « randomisée », ce qui signifie que les participants sont affectés à un groupe qui reçoit au hasard soit le S233107, soit un placebo.

Partie 2 : Les participants qui terminent la partie 1 recevront le S233107 jusqu'à la fin de l'étude. Il n'y a pas de placebo dans cette partie. Les participants continueront de passer des bilans de santé réguliers afin de détecter tout événement médical indésirable.

Le schéma de l'étude est présenté dans l'image ci-dessous :



6 Quels sont les traitements et tests utilisés dans le cadre de l'étude ?

Les participants recevront le S233107 ou le placebo. Le S233107 ou le placebo sera administré sous forme d'injection dans le liquide céphalorachidien à l'aide d'une aiguille insérée dans le bas du dos (ponction lombaire).

Les participants rendront régulièrement visite au médecin investigateur. Lors des visites, le médecin recueillera des informations sur la santé des participants. Les participants donneront des échantillons de sang, d'urine et de liquide céphalorachidien et passeront des examens pour vérifier le fonctionnement du cerveau, de la colonne vertébrale, des nerfs et du corps (examens neurologiques et physiques). Ils passeront des examens pour enregistrer l'activité électrique du cœur et des examens d'imagerie du cerveau. Les participants devront également porter un dispositif au poignet et à la cheville pour mesurer différents aspects de leur démarche et de leur équilibre.

7 Quels sont les bénéfices et risques possibles ?

La maladie du participant pourra ou non s'améliorer avec le médicament à l'étude. Les participants feront l'objet d'un suivi médical étroit. Les résultats de cette étude aideront les chercheurs à en apprendre davantage sur le produit à l'étude. Des études comme celle-ci pourraient permettre de développer à l'avenir un traitement qui empêche la maladie de s'aggraver chez les personnes atteintes d'affections médicales similaires.

L'étude est conçue pour être sûre, avec des règles de sécurité strictes et des contrôles réguliers. Une certaine gêne peut être ressentie pendant la ponction lombaire et les tests prévus (prélèvement de sang, imagerie et enregistrement de l'activité électrique du cœur). Comme tous les médicaments, le S233107 peut provoquer des effets indésirables. Toutes les précautions seront prises pour éviter et traiter les effets indésirables, le cas échéant.

C'est la première fois que le S233107 est administré à des êtres humains. Il peut y avoir des risques que nous ne connaissons pas encore. Les médecins investigateurs indiqueront aux participants les risques et effets secondaires connus et possibles du S233107.

Avant l'inclusion dans l'étude, les participants recevront un document de consentement éclairé. Ils auront l'occasion de poser des questions à leur prestataire de soins de santé et d'aborder avec lui tout point susceptible de les préoccuper. Le document de consentement éclairé expliquera tous les bénéfices, risques et effets indésirables connus. Il s'agit d'un document qui fournit aux personnes les informations dont elles ont besoin pour décider si elles souhaitent participer à l'étude.