



PLL Therapeutics reçoit l'autorisation de lancer un essai clinique de phase 1/2 en Australie sur la sclérose latérale amyotrophique (SLA)

- **Les comités d'éthique en recherche chez l'humain d'Australie (HREC - Human Research Ethics Committees) ont donné le feu vert pour la première étude chez l'Homme du candidat-médicament PLL001**
- **Le PLL001 vise à restaurer le microbiome et la perméabilité intestinale pour traiter la cause profonde de la SLA et pas uniquement les symptômes**
- **L'approche de PLL Therapeutics combine une plateforme d'administration de médicaments via des polypeptides, un outil de diagnostic précoce et de multiples cibles thérapeutiques pour stabiliser les maladies auto-immunes et neurodégénératives le plus tôt possible**

Villeneuve-d'Ornon (près de Bordeaux), France, le 19 novembre 2024 – PLL Therapeutics, une entreprise biopharmaceutique qui développe une plateforme révolutionnaire d'administration de médicaments via des polypeptides pour traiter la cause profonde des maladies auto-immunes et neurodégénératives en se concentrant sur la restauration de la perméabilité intestinale, annonce aujourd'hui le lancement d'un essai clinique de phase 1/2 en Australie dans la sclérose latérale amyotrophique (SLA). Cela fait suite à l'autorisation délivrée par le ministère australien de la santé, via ses comités d'éthique (HREC) en vue d'évaluer la sécurité, la tolérance, l'efficacité et la pharmacodynamique de PLL001. Il s'agit du principal candidat-médicament de PLL Therapeutics (PLL Th) pour traiter cette maladie grave chronique liée aux intestins et à la barrière hémato-encéphalique et améliorer la qualité de vie des patients.

Cet essai de phase 1/2 est une étude multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo. Elle inclut une possible prolongation ouverte sans placebo, durant laquelle les participants éligibles pourront tous prendre la forme active du médicament.

Le principal site clinique pour le recrutement des 12 patients de la phase 1 et des 140 patients de la phase 2 sera Monash Health, le plus grand hôpital public de Melbourne. Les résultats de l'essai seront disponibles d'ici 18 mois avec un bilan d'étape après six mois.

« Nous sommes ravis d'avoir obtenu l'autorisation du HREC australien pour mener notre étude de phase 1/2 sur des patients atteints de SLA, une maladie grave pour laquelle il existe peu d'options thérapeutiques. Nous tenons à remercier le HREC qui a facilité le processus d'obtention de l'autorisation et permis l'accès à des ressources en lien avec des options de financement », déclare Jean-Pascal Zambaux, PDG de PLL Therapeutics. « Notre candidat-médicament principal, PLL001, dérivé de notre plateforme d'administration de polypeptides, agit en remplaçant dans le microbiome un composé indispensable pour restaurer la perméabilité de l'intestin et de la barrière hémato-encéphalique. Cela empêche les contaminants présents lors de l'apparition des maladies neurodégénératives de s'infiltrer dans le cerveau. Notre approche est différente des autres car elle s'attaque aux sources sous-jacentes des problèmes de perméabilité de l'intestin et de la barrière hémato-encéphalique, et pas uniquement aux symptômes de la maladie. »

Développement d'un diagnostic précoce – une première dans la SLA

En parallèle, PLL Th va évaluer son outil de diagnostic compagnon précoce. Il s'agit d'un moyen simple et rapide de détecter une pathologie neurodégénérative telle que la SLA. Ce kit de diagnostic basé sur des anticorps sériques est le premier à utiliser des biomarqueurs sanguins pour mesurer l'apparition de la SLA et d'autres maladies neurodégénératives.

Actuellement, ce diagnostic repose sur le [score ALSFRS-R](#), une échelle basée sur un questionnaire qui mesure et suit les changements de motricité d'un patient au fil du temps mais qui présente des limites.

Durant l'essai clinique SLA, PLL Th entend démontrer les avantages de son approche unique qui combine diagnostic précoce et traitement, permettant pour la première fois de détecter puis de traiter dès le début de la maladie, avant que des dommages irréversibles n'affectent le patient.

La SLA, également connue sous le nom de maladie de Charcot, maladie de Lou Gehrig ou encore de maladie du motoneurone, est une maladie neurodégénérative à progression rapide qui affecte les neurones moteurs supérieurs et inférieurs. Le décès survient principalement en raison d'une insuffisance respiratoire [trois à cinq ans après l'apparition des symptômes](#). Bien qu'elle soit classée parmi les [maladies rares](#) en raison de sa prévalence, elle est en fait assez courante. Environ [140 000 nouveaux cas](#) sont diagnostiqués chaque année dans le monde, soit 384 nouveaux cas par jour.

Pour cette étude de phase 1/2, PLL Th collabore avec Alithia Lifesciences, un CRO basé en Australie, et avec la société de conseil suisse Copexis. PLL Th prévoit de finaliser le recrutement des patients avant la fin de l'année 2024.

A propos de PLL001

PLL001, le principal candidat-médicament de PLL Therapeutics, est constitué de plusieurs API (ingrédients pharmaceutiques actifs) qui, une fois combinés, permettent de restaurer le microbiome et la perméabilité de l'intestin. PLL001 est issu de la technologie brevetée poly-L-lysine de la société. Il s'agit d'un vecteur thérapeutique efficace qui peut transporter quatre acides gras à chaîne courte (AGCC) vers les cellules épithéliales de l'intestin ainsi que vers la barrière hémato-encéphalique (BHE). Il libère le médicament au « point d'utilisation ».

A propos de PLL Therapeutics

PLL Therapeutics, une entreprise biopharmaceutique, développe une plateforme révolutionnaire d'administration de médicaments via des polypeptides. Son approche unique combine diagnostic précoce et visée thérapeutique pour traiter la cause profonde de maladies auto-immunes et neurodégénératives. PLL Therapeutics se focalise sur la restauration de la perméabilité intestinale. Elle vise en premier la sclérose latérale amyotrophique (SLA), une maladie grave qui touche les motoneurones. PLL001, le candidat-médicament de PLL Therapeutics, se compose de plusieurs API (ingrédients pharmaceutiques actifs) qui, une fois combinés, peuvent guérir un intestin altéré. Ce médicament à cibles multiples vise à restaurer la fonction intestinale en combattant les nombreux facteurs externes et internes qui déclenchent l'apparition de la SLA, tout en rétablissant la fonction de la barrière intestinale. Cette approche de restauration du microbiome découle de la technologie poly-L-lysine, brevetée par PLL Therapeutics. Il s'agit d'un vecteur thérapeutique efficace qui peut transporter plusieurs molécules et libérer le médicament au « site d'utilisation » sans effets secondaires. Par le biais de biomarqueurs spécifiques, cette plateforme devrait jouer un rôle important dans le diagnostic précoce des maladies auto-immunes et neurodégénératives (SLA) ainsi que des maladies prolifératives (comme le cancer du côlon).

Fondée en 2019, PLL Therapeutics est dirigée par une équipe de direction très expérimentée. Un essai clinique de phase 1/2 est en cours, avec une phase 2b prévue pour 2025. Son siège social est situé près de Bordeaux, en France.

www.pll-therapeutics.com