



# PLL Therapeutics

## **PLL Therapeutics recrute le premier patient de son essai clinique de phase 1/2 du candidat-médicament PLL001 dans la sclérose latérale amyotrophique (SLA)**

- **L'essai mené en Australie va évaluer dans un premier temps la sécurité de PLL001 chez 12 patients touchés par la SLA, à trois différentes doses et contre placebo**
- **140 patients atteints de SLA participeront à la seconde étape de l'essai pour évaluer l'efficacité de PLL001**
- **L'étude évaluera également le tout premier diagnostic précoce au monde, associé à une approche thérapeutique à cibles multiples, afin de proposer un nouveau standard pour combattre la SLA dès les premiers symptômes**

**Villenave-d'Ornon (près de Bordeaux), France, le 15 avril 2025** – PLL Therapeutics, une entreprise biopharmaceutique qui développe une plateforme révolutionnaire d'administration de polypeptides pour traiter la cause profonde des maladies auto-immunes et neurodégénératives, annonce aujourd'hui le recrutement du premier patient dans son essai clinique de phase 1/2 destiné à traiter la sclérose latérale amyotrophique (SLA). Le recrutement a débuté en Australie au sein de Monash Health, l'un des plus grands hôpitaux de Melbourne.

Cet essai de phase 1/2 comporte plusieurs étapes. La première consiste à recruter 12 patients et tester trois doses différentes de PLL001, administrées en sous-cutané, contre placebo. L'essai doit durer cinq mois et les résultats sont attendus pour la mi-2025.

Un essai de phase 2 de six à douze mois portant sur 140 patients atteints de SLA sera réalisé dans un second temps. L'étude englobe divers sous-types de SLA : sporadique, familiale, bulbaire ou spinale et les participants répondent tous à des critères d'inclusion rigoureux, y compris le score ALSFRS-R (ALS Functional Rating Scale) et [TRICALS](#).

« Cet essai clinique de phase 1/2 est une étape cruciale pour traiter la SLA dès le début, avant que les dommages ne soient irréversibles », déclare Jean-Pascal Zambaux, cofondateur et PDG de PLL Therapeutics. « Cette étude portant sur notre principal candidat PLL001 marque une étape importante dans notre recherche de solutions innovantes pour les patients SLA, en particulier grâce à une approche unique qui associe diagnostic précoce et thérapie de rupture, nous faisant espérer des résultats significatifs. Avoir recruté ce premier patient nous conforte dans notre mission : faire progresser le traitement de la SLA grâce à une prise en charge précoce. »

### **Un traitement innovant qui s'attaque à la cause première de la SLA**

Le candidat-médicament de cette étude, PLL001, est conçu pour traiter la SLA dès son apparition et ralentir ou stopper la progression de la maladie. Dérivée de sa plateforme de libération de polypeptides, l'approche de PLL Therapeutics se distingue sur le marché car, au lieu de s'attaquer uniquement aux symptômes, elle s'intéresse aux éléments déclencheurs de la maladie, aux problèmes de perméabilité de l'intestin et de la barrière hémato-encéphalique.

## **Egalement à l'étude, le premier biomarqueur de diagnostic précoce de la SLA**

En parallèle, cet essai va permettre de réaliser des prélèvements sanguins à grande échelle pour évaluer l'efficacité du kit de diagnostic de PLL Therapeutics, basé sur les anticorps sériques, le premier du genre à utiliser des biomarqueurs sanguins pour mesurer l'apparition de la SLA, ainsi que pour suivre les patients pendant le traitement.

Pour cet essai, PLL Therapeutics collabore avec Alithia Lifesciences, un CRO basé en Australie, et avec la société de conseil suisse Copexis.

Les résultats préliminaires de la phase 1 seront disponibles à la fin de la première étape de l'essai, mi-2025. Le recrutement pour la phase 2 débutera en juillet, l'objectif étant d'obtenir les premières évaluations six mois après le début de l'étude.

## **A propos de la SLA**

La SLA est une maladie neurodégénérative à progression rapide. Le décès survient principalement en raison d'une insuffisance respiratoire [trois à cinq ans après l'apparition des symptômes](#). Il n'existe pas à ce jour de médicaments efficaces contre cette maladie. Il n'existe pas non plus de méthode pour diagnostiquer avec certitude la SLA.

## **A propos de PLL001**

Le candidat-médicament PLL001 est une thérapie à cibles multiples, constituée de plusieurs API (ingrédients pharmaceutiques actifs) qui, une fois combinés, permettent de restaurer le microbiome et d'empêcher l'intestin de laisser passer des toxines dans la circulation sanguine. L'idée sous-jacente est que la SLA et d'autres maladies auto-immunes ou neurodégénératives trouvent leur origine dans l'intestin. Il est donc nécessaire de protéger l'intestin et de réparer son intégrité pour éviter la progression de la maladie.

PLL001 est issu de la technologie poly-L-lysine brevetée par la société. Il s'agit d'un vecteur thérapeutique efficace qui transporte quatre acides gras à chaîne courte (AGCC) – reconnus pour leur efficacité contre les voies neuro-inflammatoires et neurodégénératives de la SLA – 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 l'intégrité de l'intestin. Elle vise en premier la sclérose latérale amyotrophique (SLA), une maladie grave qui touche les motoneurones. PLL001, le candidat-médicament à cibles multiples de PLL Therapeutics, vise à éviter le déclenchement de la maladie. 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 managériale très expérimentée. Un essai clinique de phase 1/2 est en cours. Son siège social est situé près de Bordeaux, en France.

[www.pll-therapeutics.com](http://www.pll-therapeutics.com)

---

Contact presse & analystes  
**Andrew Lloyd & Associates**  
Carol Leslie / Juliette Schmitt  
[carol@ala.associates](mailto:carol@ala.associates) - [juliette@ala.associates](mailto:juliette@ala.associates)  
FR : +33 1 56 54 07 00

---