

## L'essai clinique de la compagnie Pfizer, 'Amaryllis', s'achève sur une déception : aucune amélioration des symptômes de la maladie de Huntington.

L'essai 'Amaryllis' portant sur un médicament inhibiteur de PDE-10 n'a pas réussi à améliorer les symptômes MH



Par Dr Ed Wild

26 décembre 2016

Edité par Dr Jeff Carroll

Traduit par Michelle Delabye & Dominique Czaplinski

Initialement publié le 16 décembre 2016

---

**L**a compagnie Pfizer a annoncé que la première analyse de son essai 'Amaryllis', testant un médicament inhibiteur de l'enzyme PDE-10, montre que le médicament n'a pas atteint son objectif d'amélioration des symptômes de la maladie de Huntington. En conséquence, l'extension en ouvert de l'étude sera arrêtée. Ce ne sont pas les nouvelles que nous avions espérées mais nous en avons davantage appris sur la MH au cours de cette étude.

### Pas d'amélioration des symptômes

Lors d'une conversation téléphonique avec les investigateurs, la société pharmaceutique Pfizer a annoncé, hier, les résultats négatifs de la première analyse de son essai clinique **Amarillys**. Malheureusement, celui-ci n'a pas montré d'amélioration significative du principal symptôme visé, à savoir la fonction motrice, ou de l'un des autres symptômes pour lequel il aurait pu être utile, à savoir la capacité de réflexion, les problèmes comportementaux et les activités de la vie quotidienne.



*L'amaryllis est l'emblème de la communauté MH. Malgré ce résultat négatif, nous restons déterminés à nous battre.*

En conséquence, la compagnie a décidé de mettre fin à l'extension en ouvert de l'étude actuellement en cours, dans laquelle de nombreux participants de l'essai Amaryllis avaient été engagés.

L'essai Amaryllis testait un médicament expérimental, appelé **PF-02545920**, lequel agit sur des substances chimiques de signalisation à l'intérieur des cellules du cerveau. On espérait qu'il puisse améliorer la communication entre les neurones, laquelle est l'une des choses qui ne fonctionne pas bien dans les cerveaux MH. PF-02545920 réduit l'activité d'un processus de recyclage moléculaire appelé phosphodiesterase 10, de sorte qu'il est connu en tant qu'**inhibiteur de PDE-10**.

L'essai comprenait 271 personnes atteintes de la maladie de Huntington, issues de cinq pays. A la fin de l'essai, les participants ont été invités à participer à une **extension en ouvert de l'étude**, dans laquelle chacun recevait le médicament actif de l'étude à la dose la plus élevée qu'il pouvait tolérer. Les participants à cette extension en ouvert de l'étude seront contactés afin d'être informés du résultat négatif de l'essai et afin de leur donner les instructions sur la façon de réduire et de stopper la prise du médicament. **Les participants doivent attendre d'être contactés, ou entrer en contact avec le site de l'étude, mais ne doivent pas arrêter immédiatement la prise du médicament.**

## **Pourquoi n'agit-il pas ?**

Tester des médicaments expérimentaux chez des personnes est vraiment difficile, en particulier pour une maladie difficile à traiter, telle que la maladie de Huntington. Parfois, un médicament à l'essai se révèle dangereux, causant des préjudices aux patients qui le

prennent. Il est très important de noter, autant que nous le savons maintenant, que ce n'était **pas** le cas avec l'essai Amaryllis : il n'y avait aucun problème majeur de sécurité avec l'essai.

L'autre risque est qu'un médicament expérimental ne puisse pas agir aussi bien qu'on l'espérait. Malgré nos meilleurs efforts pour tester uniquement des médicaments MH qui semblent prometteurs, le cerveau est une chose compliquée. Un cerveau atteint de la MH est extrêmement compliqué car il change constamment. Quelle que soit la bonne preuve scientifique qui précède un essai, nous ne pouvons jamais prédire parfaitement si un médicament expérimental agira réellement comme nous l'espérons, lorsqu'il est donné aux patients.

«Malgré un résultat négatif, nous en avons davantage appris sur la maladie de Huntington et sur PDE-10 »

## Un essai négatif, pas un essai raté

C'est sans aucun doute une triste nouvelle. Nous avons été enthousiastes au sujet du médicament et de l'essai, et la compagnie Pfizer a réalisé un excellent travail en travaillant avec la communauté MH scientifique et familiale pour étudier complètement l'aspect scientifique de PDE-10 ; en laboratoire, à l'aide de scanners cérébraux et enfin avec un essai bien planifié et exécuté.

Marielle Delnomdedieu, qui a mené l'étude 'Amaryllis' pour la compagnie Pfizer, nous a indiqué : « Nous sommes tous très déçus que le médicament de l'étude n'ait pas atteint son principal critère d'évaluation s'agissant de l'amélioration des mouvements dans le cadre de la MH, ou l'un des critères secondaires s'agissant de l'examen d'autres caractéristiques de la maladie. Mais, malgré un résultat négatif, nous en avons davantage appris sur la maladie de Huntington et sur PDE-10. Les données de l'essai seront une riche ressource pour la recherche MH. Nous sommes satisfaits de la manière dont l'essai a été planifié et exécuté, et immensément reconnaissants vis-à-vis des patients et de leurs proches impliqués dans l'essai ».

Nous ne pouvons pas plus être d'accord. Tout ce travail réalisé par les chercheurs et les familles MH n'a pas été gaspillé. Grâce à Pfizer et à ses collaborateurs, nous avons maintenant une meilleure compréhension de la progression de la MH et du rôle de l'enzyme PDE-10 dans la maladie. Les scientifiques continueront à passer au peigne fin les données générées par l'essai pour tenter de comprendre les raisons pour lesquelles le médicament n'a pas amélioré les symptômes, comme espéré. D'autres continueront à étudier PDE-10 et à essayer de trouver de nouvelles manières d'améliorer la communication dans le cerveau MH.

---

*Dr Wild, qui a publié cet article, était un investigateur au sein de l'essai Amaryllis à l'UCL mais il ne possède aucune participation financière dans la compagnie Pfizer, ni ne tire*

*aucun intérêt financier du résultat de l'essai. [Pour plus d'informations sur notre politique d'information voir notre FAQ ...](#)*

---

## GLOSSAIRE

**critères secondaires** Des questions additionnelles qui aident les scientifiques à savoir comment le traitement affecte le patient de manière à déterminer son effet

**Phosphodiesterase** Une protéine qui dégrade l'AMP cyclique et le GMP cyclique

**Essai clinique** Expériences très soigneusement planifiées, conçues pour répondre à des questions spécifiques sur la façon dont un médicament affecte les êtres humains.

**PDE-10** une protéine du cerveau qui peut être à la fois une bonne cible thérapeutique et un biomarqueur dans la MH. On trouve PDE10 presque exclusivement dans les parties du cerveau où les cellules cérébrales meurent dans la MH.

---

© HDBuzz 2011-2020. Le contenu de HDBuzz est libre d'être partagé, sous la licence Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz n'est pas une source de conseils médicaux. Pour plus d'informations, visitez le site web [site\\_address hdbuzz.net](http://hdbuzz.net)

Cré le 23 octobre 2020 — Téléchargé à partir de <https://fr.hdbuzz.net/229>

Certains textes sur cette page n'ont pas encore été traduits. Ils sont affichés ci-dessous dans leurs langues originales. Nous travaillons pour traduire tout le contenu dès que possible.