

## Syndrome de l'X fragile : une molécule développée par le CNRS reçoit la désignation orpheline – 14 novembre 2014

Comme l'explique le communiqué de presse joint en annexe de ce bulletin, l'Agence européenne des médicaments (EMA) vient d'accorder la « désignation orpheline » à la molécule BMS 204352 développée par le CNRS (Dr Sylvain BRIAULT – Orléans) pour le traitement du syndrome de l'X fragile. Que signifie cette désignation ?

Un médicament orphelin est un médicament développé pour le traitement d'une maladie rare (dite "orpheline"). Il faut savoir que pour les entreprises pharmaceutiques, le coût de mise sur le marché d'un produit préconisé dans une maladie rare ne serait pas couvert par les ventes attendues sur ce marché "restreint" du fait du peu de personnes concernées.

C'est pourquoi, sous la pression des associations de maladies rares, une politique incitative a été mise en place pour encourager les entreprises pharmaceutiques à développer et à commercialiser des médicaments orphelins à destination des patients atteints de ces maladies qui, sinon, seraient laissées pour compte.

**En un mot : cette désignation obtenue de l'Agence européenne du médicament (l'EMA) va avantager le développement de cette nouvelle molécule par assistance réglementaire et exclusivité commerciale.**

**Le fait que le dossier de cette molécule ait été accepté par l'EMA est une bonne chose : c'est une reconnaissance officielle des bons résultats obtenus par ce laboratoire.**

Cette molécule BMS 204352 serait capable d'agir sur le canal potassique BKCa, dont le fonctionnement anormal serait associé aux cas de déficience mentale et de troubles autistiques que l'on retrouve dans l'X fragile. Le fait que le test de cette molécule ait été efficace sur des souris, atteintes d'une forme artificielle de la maladie, confirme que ce canal BKCa est réellement impliqué dans l'X fragile, et que c'est une bonne cible thérapeutique (c'est à dire qu'il est pertinent de tester des molécules capables de cibler spécifiquement ce canal BKCa, pour corriger les signes de l'X fragile). Cette molécule a déjà été testée dans d'autres indications (l'accident vasculaire cérébral en particulier), donc on en sait un peu plus sur elle en termes de tolérance, d'efficacité. Le fait de savoir qu'elle pouvait être pertinente aussi pour l'X-fragile est déjà une bonne nouvelle. Mais beaucoup reste à faire....

Il va falloir faire encore énormément d'études avant de pouvoir la tester sans risque chez des patients, et de découvrir les conditions d'administration efficace (doses etc )

Malgré ces conditions relativement privilégiées, compte tenu des délais normaux pour l'industrie pharmaceutique, il va falloir encore attendre plusieurs années avant de pouvoir espérer un traitement pour l'homme.

*Article réalisé grâce à la contribution de C. M. Docteur en Génétique*

Cette étude est donc à suivre avec attention.