

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

La plateforme d'essai clinique de phase 2 sur la paralysie supranucléaire progressive annonce la sélection d'AADvac1 et de AZP2006 pour ses deux premiers schémas thérapeutiques

Londres, Royaume-Uni – le 25 avril 2025 –

La plateforme d'essai (PTP) sur la paralysie supranucléaire progressive (PSP), dirigée par les Drs Adam Boxer (Université de Californie à San Francisco [UCSF]), Irene Litvan (Université de Californie à San Diego), Julio Rojas (UCSF) et Anne-Marie Wills (Massachusetts General Hospital), a sélectionné deux candidats-médicaments prometteurs – AADvac1 d'Axon Neuroscience et AZP2006 d'Alzprotect – pour les inclure dans l'essai de plateforme en tant que deux premiers composés à être évalués. L'essai vise à accélérer le développement de traitements efficaces contre la PSP, une maladie neurodégénérative rare et mortelle. D'autres composés qui seront évalués dans le cadre de l'essai devraient être annoncés plus tard cette année.

Financé par le National Institute on Aging (NIA), qui fait partie des National Institutes of Health (NIH) des États-Unis, l'essai de plateforme est soutenu par une subvention de cinq ans. Sa conception permet de tester plusieurs thérapies simultanément, établissant ainsi un parcours perpétuel, efficace et flexible pour évaluer les candidats médicaments prometteurs.

« *Ce partenariat public-privé représente une opportunité sans précédent d'accélérer le développement de traitements pour la PSP* », a déclaré **le professeur Adam Boxer**, professeur doté en mémoire et vieillissement au département de neurologie de l'UCSF, ainsi que chercheur principal de l'essai. *En réunissant des approches thérapeutiques innovantes comme AADvac1 et AZP2006 dans une conception d'essai clinique efficace, nous visons à répondre aux besoins urgents des patients et de leurs familles en moins de temps, à moindre coût et avec moins de patients sous placebo que les essais cliniques traditionnels.* »

Innovations scientifiques : AADvac1 et AZP2006

AADvac1, développé par **Axon Neuroscience** (Bratislava, Slovaquie), est une immunothérapie active ciblant les protéines tau pathologiques, qui induisent et pilotent la PSP et la pathologie de la maladie d'Alzheimer (MA). L'immunothérapie active provoque la production d'anticorps qui se lient à la protéine tau pathologique anormale, empêchant son agrégation et sa propagation, et facilitant son élimination par la microglie. Dans une étude de phase 2 de 24 mois dans la maladie d'Alzheimer, AADvac1 a démontré un profil d'innocuité favorable, avec des effets thérapeutiques sur les biomarqueurs plasmatiques et céphalorachidiens et des signaux cliniques de soutien montrant le ralentissement potentiel de la progression de la maladie.

« *Nous sommes fiers et reconnaissants qu'AADvac1 ait été sélectionné par le comité d'experts pour cet essai de plateforme innovant* », a déclaré **Michal Fresser**, PDG d'Axon Neuroscience. « *Nous pensons que l'approche d'immunothérapie active ciblant la protéine tau d'AADvac1 présente un fort potentiel dans le traitement des tauopathies humaines, et nous sommes* »

impatients de nous associer à la plateforme d'essais PSP et à la communauté de recherche PSP pour proposer de nouvelles options de traitement aux patients confrontés à un besoin médical non satisfait important. »

AZP2006, développée par **Alzprotect** (Lille, France), est une petite molécule synthétique conçue pour restaurer l'homéostasie lysosomale et moduler la progranuline (PGRN), tout en réduisant l'agrégation de tau et la neuroinflammation. Des études précliniques ont démontré sa capacité à corriger le dysfonctionnement lysosomal dans des modèles de neurodégénérescence. Dans une étude de phase 2a de 3 mois chez des patients atteints de PSP, AZP2006 a démontré des signaux cliniques et de biomarqueurs d'efficacité encourageants. Ces résultats positifs ont été soutenus par les résultats d'une étude d'extension ouverte de 6 mois, renforçant son potentiel thérapeutique. Le composé a reçu la désignation de médicament orphelin de la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis et de l'Agence européenne des médicaments (EMA).

*« Nous sommes honorés qu'AZP2006 ait été sélectionnée pour être incluse dans cet essai historique de la plateforme PSP », a déclaré **Philippe Verwaerde**, PDG d'Alzprotect. « Nous sommes ravis de collaborer avec la plateforme d'essais PSP et la communauté PSP au sens large pour faire progresser des thérapies innovantes pour les patients grâce à notre approche scientifique ciblant la dysfonction lysosomale. »*

À propos de la plateforme d'essai PSP – Effort de collaboration

Le comité directeur de l'essai est composé de chercheurs : le Dr Adam Boxer (UCSF), le Dr Julio Rojas-Martinez (UCSF), la Dre Anne-Marie Wills (Massachusetts General Hospital) et la Dre Irene Litvan (Université de Californie, San Diego). **CurePSP**, la principale organisation à but non lucratif qui fait progresser la recherche, les services aux patients et la défense de la PSP et d'autres maladies neurodégénératives mal desservies, collabore avec l'UCSF et environ 50 sites d'essai pour recruter des participants et s'assurer que les points de vue des patients sont intégrés tout au long de l'essai. *« Je suis ravi de voir AADvac1 et AZP2006 participer à cet essai de plateforme historique – une collaboration puissante et multipartite qui unit le monde universitaire, l'industrie et notre communauté, que nous sommes fiers de soutenir », a déclaré **Kristophe Diaz, PhD**, directeur exécutif et directeur scientifique de CurePSP. « Cette conception de plateforme collaborative peut transformer des années de développement de médicaments en un espoir réel à court terme pour les personnes atteintes de PSP. »*

Le recrutement pour l'essai devrait commencer à la fin de 2025, en se concentrant sur les patients atteints du syndrome de Richardson, la forme la plus courante de PSP. L'essai vise à recruter une population pleinement représentative de la population américaine en fournissant un soutien linguistique et en couvrant les frais de transport et d'hébergement.

Cet essai de plateforme est le fruit d'un effort de collaboration entre le milieu universitaire, l'industrie et les groupes de défense des patients afin d'accélérer la découverte de traitements efficaces contre la PSP et d'améliorer la vie des personnes touchées par cette maladie dévastatrice. Pour en savoir plus sur l'essai, rendez-vous sur <https://www.psp.org/ptp>.

À propos de la conférence mondiale Tau



La Tau Global Conference 2025 rassemble trois grandes conférences axées sur Tau (Global Tau, EuroTau et CurePSP Neuro), et est organisée par l'Alzheimer's Association, CurePSP et la Rainwater Charitable Foundation. Cette conférence joue un rôle essentiel en rassemblant des chercheurs et des perspectives interdisciplinaires pour faire avancer la recherche sur la protéine tau.

À propos d'Axon Neuroscience

Axon Neuroscience a été fondée en 1999 par le professeur immunologiste Michal Novak. En 1988, le professeur Novak a découvert que la protéine tau était le composant majeur de la pathologie neurofibrillaire de la maladie d'Alzheimer alors qu'il travaillait au Laboratoire de biologie moléculaire du MRC à Cambridge, au Royaume-Uni. Axon a développé une immunothérapie active, des anticorps monoclonaux et de petites molécules pour le traitement des maladies neurodégénératives et des tauopathies.

À propos d'Alzprotect

Fondée en 2007, Alzprotect est une société française basée à Lille qui s'engage dans le développement de solutions thérapeutiques innovantes dans le domaine des maladies neurodégénératives. En incluant les tauopathies, les amyloïdopathies et les synucléinopathies, Alzprotect progresse dans le développement de la AZP2006 (EZEPROGIND), une molécule synthétique innovante administrée par voie orale, conçue pour optimiser l'homéostasie des lysosomes en régulant à la fois la progranuline et sa protéine chaperonne, la prosaposine.

Personnes-ressources pour les médias :

- **Relations avec les médias de l'UCSF** Email : news@ucsf.edu
Téléphone : +1 (415) 476-2557
- **CurePSP** **Communications**
Email : diaz@curepsp.org
Téléphone : +1 (646) 725-1453
- **Axon** **Neuroscience**
Courriel : media@axon-neuroscience.eu
- **Alzprotect**
Courriel : p.verwaerde@alzprotect.com