

PREMIERS PATIENTS TRAITÉS DANS L'ÉTUDE DE PHASE III (LIBELULA) DE DEBIOPHARM ÉVALUANT DEBIO 4326, UNE FORMULATION DE TRIPTORÉLINE À LIBÉRATION PROLONGÉE SUR 12 MOIS POUR LES ENFANTS SOUFFRANT DE PUBERTÉ PRÉCOCE CENTRALE

L'expertise de Debiopharm dans les formulations à libération prolongée pourrait alléger le fardeau du traitement pour les enfants atteints de puberté précoce centrale (PPC) et leurs familles en réduisant la fréquence des injections à une fois par an

Lausanne, Suisse – 9 septembre 2024 – Debiopharm (www.debiopharm.com), société biopharmaceutique indépendante basée en Suisse dont la vocation est de développer des traitements innovants et d'améliorer la qualité de vie des patients, a annoncé aujourd'hui le traitement des premiers patients sentinelles dans le cadre de son étude de phase III ouverte, simple bras, multicentrique **NCT06129539 'A Study to Assess the Efficacy, Safety and Pharmacokinetics of Debio 4326 in Pediatric Participants Receiving Gonadotropin-Releasing Hormone Agonist Therapy for Central Precocious Puberty (LIBELULA)'**. La triptoréline en formulation à libération prolongée sur 1, 3 et 6 mois est un traitement établi pour la PPC. Cette nouvelle étude de phase III évaluant la formulation innovante de triptoréline à libération prolongée sur 12 mois est menée en Amérique du Nord et du Sud.

Désireuse de développer des options thérapeutiques sûres, efficaces et pratiques pour les patients, Debiopharm met à profit son expertise en matière de formulations à libération prolongée pour mettre au point le premier agoniste de la gonadolibérine (GnRHa) à injection annuelle. Réduire le fardeau du traitement tout en préservant l'efficacité et la sécurité éprouvées de la triptoréline sont des aspects clés que Debiopharm a hâte d'évaluer dans le cadre de cette étude.

« Il est toujours déchirant de voir de si jeunes enfants accablés par les effets de la puberté précoce centrale et les complications à vie qu'elle peut entraîner. Nous sommes heureux que des traitements comme la triptoréline soient déjà commercialisés et que des entreprises comme Debiopharm continuent de s'investir pour alléger le fardeau des patients grâce à des formulations qui réduisent la fréquence des injections. », a déclaré le Prof. Fernando Cassorla, investigateur principal, du service de pédiatrie de l'hôpital San Borja Arriarán de Santiago, Chili.

« Les patients étant au centre de toutes nos actions, il nous semble évident que la commodité est un facteur essentiel. La réduction de la fréquence des injections à une fois par an peut alléger le fardeau des patients atteints de PPC et de leurs aidants en réduisant le stress des enfants et en améliorant l'observance globale. Nous sommes enthousiastes à l'idée de voir les premiers patients recrutés dans cette étude de phase III, qui est susceptible d'apporter des avancées à la fois médicales et pratiques. », a confié Bertrand Ducrey, CEO de Debiopharm.

À propos de la puberté précoce centrale

La PPC survient à un âge anormalement jeune, avant 8 ans chez les filles et avant 9 ans chez les garçons ^[1-2]. Elle se caractérise par un développement prématuré des caractères sexuels secondaires (par ex. seins chez les filles et augmentation du volume des testicules chez les garçons), une croissance accélérée et une maturation osseuse entraînant une diminution de la taille à l'âge adulte. La PPC est déclenchée par la libération précoce de gonadolibérine dans le cerveau et par l'activation prématurée de l'axe hypothalamo-hypophyso-gonadique. Cette activation précoce peut être due à des altérations génétiques spécifiques, à des lésions du système nerveux central et à des facteurs de stress social, mais n'a souvent pas d'étiologie identifiée ^[3]. La prévalence approximative de la PPC est de 1 pour 5 000–10 000 chez les individus caucasiens, les filles étant plus fréquemment touchées que les garçons à l'échelle mondiale ^[4]. La puberté précoce peut s'accompagner de difficultés psychosociales et avoir des conséquences

négatives sur la santé à long terme, avec notamment un risque accru de complications métaboliques, telles que le diabète de type 2, la prise de poids, l'obésité et les maladies cardiovasculaires, ainsi que la dépression, voire la mort prématurée [5-10]. La puberté précoce a également été associée à un risque accru de cancer du sein chez les femmes. Chez les hommes, elle peut augmenter le risque de cancer de la prostate [11-13]. Depuis le début des années 1980, les GnRHa, tels que la triptoréline, constituent le traitement de référence de la PPC [14-16]. Le traitement vise à préserver la taille adulte et à prévenir les difficultés sociales et psychologiques, ainsi que les diverses conséquences potentielles sur la santé à long terme. Il existe actuellement plusieurs formulations différentes de GnRHa à libération prolongée, allant des injections mensuelles aux implants sous-cutanés pour une utilisation annuelle [17]. Bien que ces derniers aient une durée d'action plus longue, ils nécessitent un placement chirurgical annuel.

À propos de Debio 4326

Debio 4326 est une formulation unique de triptoréline injectable, biodégradable et à libération prolongée sur 12 mois, conçue pour réduire la fréquence des injections et le fardeau des administrations, en particulier au vu de son utilisation prévue dans une population pédiatrique. Sur la base des données d'efficacité et de sécurité favorables obtenues avec les différentes formulations de triptoréline à libération prolongée sur 1, 3 et 6 mois, Debio 4326 vise à préserver l'efficacité tout en offrant une plus grande commodité, à garantir l'observance à long terme et à réduire le stress pour les enfants et leurs parents.

L'engagement de Debiopharm envers les patients

Debiopharm a pour objectif de développer des traitements innovants ciblant de grands besoins médicaux non satisfaits principalement dans les domaines de l'oncologie et des infections bactériennes. Dans l'optique de combler le fossé entre les produits issus de découvertes révolutionnaires et leur accès aux patients dans la vie réelle, nous identifions des molécules et technologies à fort potentiel en vue d'une acquisition de licence, nous démontrons cliniquement leur sécurité et leur efficacité, puis nous passons le relais à de grands partenaires de commercialisation pharmaceutique afin qu'un maximum de patients puissent y avoir accès à l'échelle mondiale.

Pour de plus amples informations, veuillez consulter www.debiopharm.com

Nous sommes sur X. Suivez-nous @DebiopharmNews à l'adresse <http://twitter.com/DebiopharmNews>

Contact Debiopharm

Dawn Bonine

Responsable de la communication

dawn.bonine@debiopharm.com

Tél. : +41 (0)21 321 01 11

Références

[1] Latronico AC, et al. *Lancet Diabetes Endocrinol.* 2016;4(3):265–274. [PubMed: 26852255]

[2] Sanctis V, et al. *Acta biomedica: Atenei Parmensis.* 2019 90 (3): 345-359.

[3] Maione L, et al. *Clin Endocrinol (Oxf).* 2021 Oct;95(4):542-555. doi: 10.1111/cen.14475. Epub 2021 Apr 20. PMID: 33797780; PMCID: PMC8586890

[4] National Organization for Rare Disorders (NORD) 2022

[5] Day FR, et al. 2015. *Sci Rep*, 5: 11208.

[6] Elks CE, et al. 2013. *Diabetes Care*, 36 (11): 3526-34.

[7] Prentice P, and Viner RM. 2013. *Int J Obes (Lond)*, 37 (8): 1036-43

[8] Ong KK, et al. 2012. *J Clin Endocrinol Metab*, 97 (8): 2844-52.

[9] Hamlat EJ, et al. 2014. *J Abnorm Child Psychol*, 42 (4): 527-38.

[10] Charalampopoulos D, et al. 2014. *Am J Epidemiol*, 180 (1): 29-40.

[11] Day FR, et al. 2017. *Nat Genet*, 49 (6): 834-41.

[12] Bonilla C, et al. 2016. *BMC Med*, 14: 66.

- [13] Bräuner EV, et al. 2020. *JAMA Netw Open*, 3 (10): e2015665
- [14] Carel JC, et al. 2009. *Pediatrics*, 123 (4): e752-62.
- [15] Bertelloni S, et al. 2015. *Horm Res Paediatr*, 84 (6): 396-400.
- [16] Bangalore Krishna K, et al. 2019. *Horm Res Paediatr*, 91 (6): 357-72.
- [17] Aguirre RS, Eugster EA. *Best Pract Res Clin Endocrinol Metab*. 2018;32(4):343–354.