

NEUROCHLORE ET SERVIER S'ALLIENT CONTRE L'AUTISME

C'est signé ! Neurochlore a fait valoir tout récemment son accord de licence exclusive avec Servier, qui poursuivra le développement et commercialisera la bumétanide en Europe. Cet accord prévoit 8 % de redevances au bénéfice de la biotech, basée sur le parc scientifique de Luminy à Marseille. Le marché potentiel serait de l'ordre de 80 à 100 M€ et la commercialisation pourrait être effective d'ici fin 2021. Le produit phare de la jeune biotech dans l'indication de l'autisme « *pourrait bien être le tout premier traitement pharmaceutique du genre, fait complètement différenciant des prises en charge jusque-là uniquement symptomatiques* », nous a confié le chercheur Yehezkel Ben-Ari, également président-directeur général et cofondateur de Neurochlore. Le chemin parcouru par la société depuis sa création il y a cinq ans est exemplaire. Après un premier essai pilote de cinq patients et un deuxième monocentrique de 54 patients, elle vient d'obtenir les résultats prometteurs de sa phase IIb, essai clinique multicentrique mené en France sur 87 patients âgés de 2 à 18 ans. « *Les données obtenues étaient bénéfiques pour les enfants traités versus placebo* », souligne le chercheur. Cette étape a été rendue possible grâce aux fonds levés il y a quatre ans, au début de la phase IIb, à hauteur de 4,1 M€, via un investissement de 3,6 M€ de Symmetry Capital, et de 500 k€ issus de Bpifrance.

Neurochlore met l'accent sur la recherche fondamentale

En 2017, les grandes étapes consisteront, selon Yehezkel Ben-Ari, à obtenir l'agrément définitif des autorités européennes pour la phase III, qui sera prise en charge par Servier, et à commencer le recrutement des patients à la fin de l'année, soit environ 400 enfants européens. Le PDG de Neurochlore compte poursuivre en parallèle « *des expérimentations en recherche fondamentale afin de mieux comprendre les mécanismes cérébraux impliqués dans l'autisme, ce qui représente le socle de toute future application en clinique* ». En effet, le choix de la bumétanide ne s'est



Yehezkel Ben-Ari

« Nous voulons créer un institut pour étudier les mécanismes des maladies neurologiques et psychiatriques. »

pas fait par hasard et repose sur des décennies de recherche, nous a expliqué Yehezkel Ben-Ari. En plus d'avoir une utilisation déjà documentée, ce diurétique développé il y a une quinzaine d'années a pour propriété de bloquer une protéine cotransporteuse de chlore, qui est présent dans les cellules nerveuses. « *Nous savons que dans l'autisme, le*

chlore est beaucoup trop élevé dans les cellules nerveuses. La bumétanide va permettre de bloquer son entrée ». Si le déploiement prévu se passe pour le mieux, les premiers fonds engrangés par la commercialisation de la bumétanide serviront à la construction d'un institut financé par Neurochlore. Son objectif sera d'étudier les mécanismes fondamentaux des maladies neurologiques et psychiatriques, et l'entreprise ne masque pas son souhait de faire appel à des investisseurs pour soutenir cette initiative. ●

Yasmine Ziat

87

enfants (2-18 ans) ont été inclus dans l'essai de phase IIb multicentrique mené par la société Neurochlore dans 6 centres en France.

650 000

personnes sont atteintes d'autisme en France, selon les prévalences reconnues au niveau international (source Vaincre l'autisme).

80 %

des enfants atteints d'autisme en France ne sont pas scolarisés et 37 % des Français pensent, à tort, que l'autisme est un trouble psychologique (Opinion Way, 2012 – Source Vaincre l'autisme).

Opinion d'Éric Lemonnier, médecin spécialiste de l'autisme, directeur du Centre expert régional autisme - CHU de Limoges.



“ Dans l'autisme, les neurones Gaba qui devraient être vides de chlore en contiennent, et perdent de ce fait leur fonction de synchronisation des autres neurones. La bumétanide est aujourd'hui le produit le plus apte à bloquer l'entrée du chlore dans ces cellules. Il s'agit d'une thérapeutique prometteuse. C'est le premier traitement qui a une action sur le nœud de l'autisme, contrairement aux traitements symptomatiques existants. J'ai eu l'occasion d'observer les effets de cette molécule sur une durée de traitement de trois mois, dans le cadre d'essais cliniques. Ces derniers ont montré un bénéfice de la bumétanide contre placebo. Les comités d'éthique et de protection des personnes ayant permis la réalisation de ces études cliniques ont demandé à ce que la prescription du traitement soit poursuivie si les parents des patients le souhaitaient. J'ai donc pu observer les effets de ce produit chez des patients traités depuis plusieurs années et pour lesquels le traitement a amélioré leur qualité de vie. ”