

## Essai clinique OTC-HOPE

L'essai clinique OTC-HOPE est destiné aux petits garçons chez qui un déficit en ornithine transcarbamylase (OTC) néonatal a été diagnostiqué, une maladie génétique rare caractérisée par l'absence d'enzyme fonctionnelle OTC, ce qui entraîne l'accumulation d'ammoniaque toxique dans la circulation sanguine.



### À propos de l'étude OTC-HOPE

OTC-HOPE est une étude clinique visant à évaluer la sécurité d'emploi et l'effet potentiel d'un traitement expérimental chez des garçons âgés de moins de neuf mois présentant un diagnostic génétiquement confirmé de déficit en OTC néonatal. C'est la première fois que ce traitement expérimental a été testé chez l'être humain, et il n'a été approuvé pour une utilisation commerciale dans aucun pays pour une aucune indication.

### Présentation de l'étude

L'étude clinique OTC-HOPE évalue l'ECUR-506, une thérapie génique expérimentale conçue pour traiter directement la cause génétique sous-jacente du déficit en OTC. En évaluant la sécurité d'emploi et le bénéfice potentiel de l'ECUR-506, cette étude vise à faire progresser la compréhension et la prise en charge du déficit en OTC et à en apprendre davantage sur un autre traitement potentiel pour les bébés touchés.

- La norme de soins actuelle pour le déficit en OTC se concentre sur la prise en charge des symptômes et la réduction du taux d'ammoniac par le biais de modifications alimentaires et médicamenteuses connues sous le nom de traitement d'élimination. Cependant, ces approches ne ciblent pas la cause génétique sous-jacente de cette maladie chronique.
- Dans certains cas graves, une transplantation hépatique, seul traitement curatif connu, peut être nécessaire pour la prévention des épisodes récurrents de taux d'ammoniac élevé. Alors qu'un foie nouvellement transplanté peut fournir une source d'enzyme fonctionnelle OTC, cette approche thérapeutique comporte des risques et peut nécessiter une immunosuppression à vie pour prévenir le rejet d'organe.
- ECUR-506 vise à surmonter ces limites. L'étude OTC-HOPE est une étude menée pour la première fois chez l'être visant à évaluer la sécurité d'emploi et le bénéfice potentiel de l'ECUR-506, un traitement conçu pour cibler spécifiquement la cause profonde du déficit en OTC – le gène endommagé ou manquant qui entraîne une enzyme OTC non fonctionnelle. Cependant, on ne sait pas encore si le bénéfice potentiel de l'ECUR-506 l'emportera sur les risques potentiels et si l'ECUR-506 surmontera les limites inhérentes à l'approche thérapeutique actuelle.

### Qui est admissible?



Bébé de sexe masculin âgé de 24 heures à sept mois au moment de la sélection.



Les tests génétiques ont confirmé que le bébé de sexe masculin présente un déficit en OTC.



Le bébé de sexe masculin, ou un membre de sa famille présentant le même variant de l'OTC, a présenté des symptômes sévères en lien avec l'OTC au cours de la première semaine de vie.



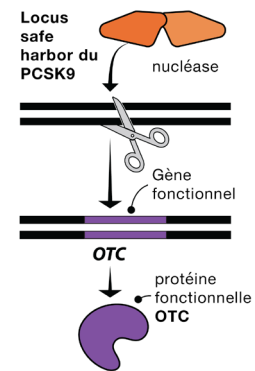
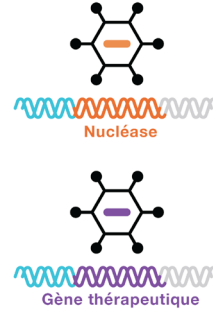
D'autres critères d'admissibilité seront abordés pendant le processus de sélection. Le médecin de l'étude et le personnel de l'étude évalueront soigneusement l'admissibilité d'un bébé et fourniront des recommandations supplémentaires sur la possibilité de participer à l'étude OTC-HOPE.



## Comprendre l'insertion génique ciblée

L'insertion génique, une technique de modification du génome, est une approche de traitement médical qui cible la cause sous-jacente de certaines maladies au niveau génétique. Cette approche a le potentiel de remplacer et de restaurer la fonction d'un gène endommagé ou manquant en insérant une copie fonctionnelle de ce gène. Cela pourrait offrir un gène fonctionnel durable avec un bénéfice thérapeutique à long terme et éventuellement curatif. Cela peut être significatif pour les personnes atteintes de maladies génétiques rares et potentiellement éliminer le besoin de traitements continus ou le fardeau de la prise en charge quotidienne de la maladie.

Chaque vecteur est constitué d'une capsid AAVrh79



## À propos de l'ECUR-506

Le médicament à l'étude, l'ECUR-506, est une thérapie génique expérimentale conçue pour restaurer de manière permanente un gène OTC endommagé ou manquant avec une copie fonctionnelle, restaurant potentiellement la fonction et s'attaquant à la cause sous-jacente de la maladie. Par le biais d'une perfusion intraveineuse (IV) unique, l'ECUR-506 est conçu pour délivrer deux composants actifs dans les cellules hépatiques d'un bébé atteint d'un déficit en OTC : une copie fonctionnelle du gène OTC et une enzyme nucléase, la partie du médicament à l'étude qui fait une coupe dans l'ADN d'un patient pour permettre l'introduction de la copie fonctionnelle du gène OTC dans l'ADN d'un patient.



## Lieux des essais cliniques

L'étude OTC-HOPE est menée dans des hôpitaux participants au Royaume-Uni, aux États-Unis, en Espagne et en Australie. Les participants n'ont pas besoin de vivre à proximité d'un centre d'essai clinique pour participer à l'étude OTC-HOPE. Si un nourrisson est admissible à l'essai, iECURE collaborera avec la famille pour l'aider à se déplacer pour participer à l'essai.

## En savoir plus sur l'étude

Davantage d'informations, ainsi que la liste des lieux participant à l'essai clinique OTC-HOPE sont disponibles sur:

- Informations sur les essais cliniques dans l'Union européenne - [Système d'information sur les essais cliniques \(Clinical Trials Information System, CTIS\)](#) (n° EUCT 2023-506180-34-01)
- Informations sur les essais cliniques au Royaume-Uni - [Registre ISRCTN](#) (ISRCTN10957794)
- Informations sur les essais cliniques aux États-Unis - [Clinicaltrials.gov](#) (NCT06255782)

Les prestataires de soins de santé peuvent contacter les Affaires médicales iECURE auor **+1 877 694 3558** ou par courrier électronique à l'adresse [medinfo@iecure.com](mailto:medinfo@iecure.com).