



ORPHELIA Pharma annonce l'inclusion d'un premier patient dans une étude clinique évaluant Kimozo, sa formulation pédiatrique de témozolomide

Paris et Lyon, le 5 octobre 2020 – ORPHELIA Pharma, société biopharmaceutique Française dédiée au développement et à la commercialisation de médicaments pédiatriques et orphelins, est heureuse d'annoncer l'inclusion du premier patient dans l'étude clinique visant à démontrer la bioéquivalence entre Kimozo, la première formulation pédiatrique de témozolomide en développement clinique, et Temodal® en gélules.

Le témozolomide est un médicament anticancéreux essentiel recommandé, bien que non approuvé, dans les protocoles de traitement du neuroblastome récidivant ou réfractaire, une condition qui affecte les jeunes enfants. Les seules formulations orales qui sont disponibles dans le commerce sont des gélules qui ne sont pas adaptées aux jeunes enfants. Les soignants sont donc obligés d'ouvrir des gélules et de disperser leur contenu dans un aliment avant l'administration à l'enfant, ce qui induit une incertitude en ce qui concerne la dose délivrée, une exposition de l'aidant au médicament cytotoxique et une instabilité du médicament dans un milieu aqueux. Pour surmonter les risques que cette situation implique, Kimozo, une formulation orale, stable et prête à l'emploi, a été spécifiquement conçue pour répondre aux besoins de la population pédiatrique.

Kimozo a été développé en collaboration avec Gustave Roussy, un des premiers centres de cancérologie en Europe. L'essai clinique mené par ORPHELIA Pharma vise à démontrer, à des fins réglementaires, la bioéquivalence entre Kimozo et les gélules de Temodal® chez les patients adultes atteints de cancers du système nerveux central.

« Nous avons franchi une étape importante pour Kimozo avec l'approbation de l'essai clinique par les autorités compétentes et le recrutement d'un premier patient », a déclaré Caroline Lemarchand, Responsable du Développement Pharmaceutique d'ORPHELIA Pharma, « Nous prévoyons de recruter 30 patients d'ici la mi-2021 grâce au soutien des trois équipes de neuro-oncologie impliquées dans l'essai : le professeur Ducray des Hospices Civils de Lyon (chercheur coordinateur), le professeur Chinot de l'hôpital De la Timone à Marseille et le Dr Bronnimann de l'hôpital Saint-André de Bordeaux. »

« Nous sommes heureux de contribuer au développement de cette nouvelle formulation pédiatrique de témozolomide. Une forme liquide est sans ambiguïté d'intérêt pour le traitement des enfants », souligne le Pr François Ducray. Hugues Bienaymé, Directeur Général d'ORPHELIA Pharma, ajoute : « Cette première administration est une étape importante dans le développement de Kimozo. Nous préparons, d'ici la fin de l'année, l'ouverture de notre deuxième essai clinique, qui évaluera Kimozo chez les patients pédiatriques », conclut-il.

À propos d'ORPHELIA Pharma

ORPHELIA Pharma est une société biopharmaceutique basée à Paris et Lyon qui développe et commercialise des médicaments pour le traitement de maladies pédiatriques et des maladies rares.

Notre mission est de fournir aux patients des produits hospitaliers essentiels dans les domaines de l'épilepsie et de l'oncologie avec des formulations adaptées à la population pédiatrique. Notre premier produit, Kigabeq®, a obtenu une autorisation de mise sur le marché européenne en septembre 2018 et est lancé dans plusieurs pays. Notre deuxième produit, Ivozall®, a obtenu une autorisation de mise sur le marché européenne en novembre 2019 pour le traitement de la leucémie lymphoblastique aiguë. ORPHELIA Pharma mène également des projets de recherche par le biais de collaborations académiques et industrielles.

Pour plus d'informations, veuillez visiter www.orphelia-pharma.eu



À propos de l'étude bioéquivalence (NCT04467346)

L'essai clinique intitulé « Bioequivalence Study between temozolomide oral suspension (Ped-TMZ) and Temodal® capsules » (NCT04467346) est une étude de phase I, ouverte, randomisée, croisée, de 2 périodes chez 30 patients masculins ou féminins atteints de cancers du système nerveux central. Les patients recevront, à jeun, 200 mg/m² de suspension orale de témozolomide (Kimozo) ou de Temodal®, lors d'une administration orale unique pendant les 2 périodes de l'étude, en fonction de la randomisation. L'objectif principal est d'évaluer la bioéquivalence entre Kimozo et Temodal® en gélules. Les objectifs secondaires sont de définir les paramètres pharmacocinétiques de Kimozo et d'évaluer son innocuité buccale.

Les centres cliniques impliqués sont les Hospices Civils de Lyon à Bron; le CHU de Bordeaux et l'Hôpital de la Timone à Marseille. Le sponsor de l'étude est ORPHELIA Pharma.

À propos de Kimozo

Kimozo (également connu sous le nom ORP-005 ou Ped-TMZ) est une suspension orale prête à l'emploi et au goût masqué de témozolomide qui est actuellement en cours de développement pour répondre aux besoins pédiatriques. Kimozo est un médicament d'investigation, qui n'est pas encore approuvé pour la commercialisation.