

Étude ZEPHYR - Information du pôle scientifique de PWF après échange avec le Pr Maithé Tauber, coordonnatrice du Centre de Référence du syndrome de Prader-Willi

Les laboratoires américains Millendo Therapeutics ont décidé d'arrêter de manière inattendue, à l'étape intermédiaire des 3 mois, l'étude internationale ZEPHYR de phase IIb.

Les premiers résultats obtenus sur le critère principal d'efficacité ne sont pas statistiquement significatifs. On a retrouvé un important effet placebo comme dans les autres études. Le simple fait de s'intéresser à la personne peut en effet modifier son comportement.

Pour rappel, un essai clinique est toujours indispensable pour toute mise sur le marché d'un nouveau médicament ou d'une nouvelle indication thérapeutique.

Il se déroule en quatre phases successives qui s'enchainent et permettent de contribuer à mettre au point un traitement efficace et sûr.

La phase I permet de tester la tolérance et l'absence d'effets indésirables du médicament, le plus souvent chez des volontaires sains.

La phase II permet d'évaluer l'efficacité thérapeutique optimale en fonction de la dose du médicament. Cette phase peut être divisée en **Phase IIa et Phase IIb**, qui servent à démontrer l'efficacité du médicament et sa sûreté d'utilisation ainsi qu'à trouver la juste dose pour un effet thérapeutique optimal.

La phase III (étude pivot) est indispensable pour démontrer l'efficacité du médicament par comparaison avec un placebo ou à un médicament de référence et permet d'obtenir l'autorisation de la mise sur le marché du médicament par les agences ou AMM.

La phase IV assure le suivi à long terme du médicament après sa commercialisation. Elle permet de dépister des effets secondaires rares ou des complications tardives en situation d'utilisation.

La recherche autour de la ghreline ne s'arrête pas pour autant ! Elle continue avec d'autres molécules qui pourront être utilisées dans des essais cliniques.

Au vu des données statistiques à 3 mois, Millendo Therapeutics a arrêté l'étude Zephyr mais les centres investigateurs souhaitent que soient analysés plus finement les résultats pour permettre d'identifier et caractériser les personnes répondeuses et d'éventuels effets métaboliques.