



PAR LE DOCTEUR JEAN-PIERRE LAGACÉ  
OPTOMÉTRISTE, M.Sc.



## La luminothérapie rouge de faible intensité est supérieure à l'ortho-K pour le contrôle de la myopie à 1 an

### Principaux renseignements :

- La croissance de la longueur axiale était significativement plus faible dans le groupe traité par la lumière rouge au cours de la première année.
- Il n'y a pas eu de différence significative dans la croissance de la longueur axiale entre les groupes au cours de la deuxième année.

La luminothérapie rouge de faible intensité était supérieure aux lentilles d'orthokératologie pour ralentir la progression de la myopie chez les enfants au cours de la première année de traitement, bien que la différence n'ait pas été significative au cours de la deuxième année, selon les résultats de l'étude.

«L'efficacité comparative à long terme de la thérapie répétée par lumière rouge de faible intensité basée sur la photobiomodulation par rapport aux lentilles d'orthokératologie basées sur les principes de défocalisation myopique périphérique reste incertaine», ont écrit Jing-Ru Sun, MM, et ses collègues du département d'optométrie de l'hôpital ophtalmologique de Jinhua dans la revue *Optometry and Vision Science*. «Cette étude visait à analyser rétrospectivement l'efficacité de la luminothérapie rouge de faible intensité répétée et des lentilles d'orthokératologie dans le contrôle de la myopie chez les enfants sur une période de deux ans.»

Les chercheurs ont inclus 138 enfants âgés de 6 à 14 ans, dont 67 dans le groupe de luminothérapie rouge et 71 dans le groupe de lentilles orthokératologiques.

Après 2 ans, le changement de la longueur axiale par rapport à la ligne de base dans le groupe ortho-K était de  $0,5 \pm 0,27$  mm contre  $0,17 \pm 0,4$  mm dans le groupe de thérapie à la lumière rouge ( $P < 0,001$ ). Au cours de la première année, le groupe ortho-K a connu une augmentation significativement plus importante de la longueur axiale, soit  $0,28 \pm 0,18$  mm, contre  $0,03 \pm 0,22$  mm dans le groupe de luminothérapie rouge ( $P < 0,001$ ).

Alors que le groupe de luminothérapie rouge présentait une réduction de 55% de la longueur axiale à un mois, le groupe ortho-K présentait une réduction de 4%. Au bout d'un an, le groupe de luminothérapie rouge a enregistré une réduction de 42%, contre 3% pour le groupe d'ortho-K.

Au cours de la deuxième année, il n'y a pas eu de différence significative dans la croissance de la longueur axiale entre les deux groupes.

Tout au long de la période d'étude, les chercheurs n'ont détecté aucune lésion rétinienne dans le groupe traité par la lumière rouge ni aucune complication dans le groupe traité par les lentilles de contact.

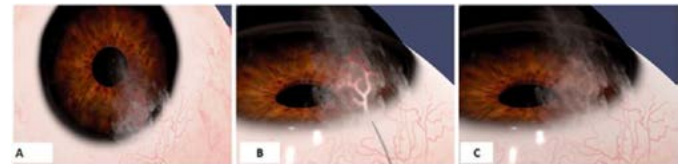
«La différence était significative la première année, mais les effets de contrôle des deux groupes étaient similaires la deuxième année», écrivent les chercheurs. «Par conséquent, cette méthode d'application clinique peut être envisagée pour contrôler efficacement la progression de la myopie.»

Source : Sun J, et coll., *Optom Vis Sci*. 2024; doi:10.1097/OPX.0000000000002197.



## Un nouveau traitement prometteur pour la néovascularisation de la cornée La nature avasculaire de la cornée est nécessaire à la clarté optique et à une vision optimale

La néovascularisation cornéenne (NV) est une réaction pathologique qui peut être fatale pour la vue et qui est causée par de nombreuses étiologies virales, traumatiques, ischémiques et associées à des corps étrangers. La perte de vision permanente est liée à l'accumulation de lipides, à la cicatrisation, à l'astigmatisme irrégulier et à la perte de clarté de la cornée.



**Figure 1:** Image d'illustration montrant une NV cornéenne avec de nombreuses ramifications (a). Injection d'un minuscule volume (0,01 ml à 0,05 ml) de MMC dans le vaisseau cornéen le plus large, immédiatement à l'intérieur du limbe (b). Régression de la NV après chimioembolisation (c).

Source : Arnav Saroya, MS, FAICO, Soosan Jacob, MS, FRCS, DNB, Dhivya Ashok Kumar, MD, FRCS, FICO, FAICO et Amar Agarwal, MS, FRCS, FRCOphth

### Prise en charge de la néovascularisation cornéenne

Les NV cornéennes inflammatoires et traumatiques actives sont souvent traitées avec des corticostéroïdes topiques. Les corticostéroïdes topiques, en raison de leurs caractéristiques anti-inflammatoires étendues, sont plus efficaces lorsqu'ils sont appliqués à un stade précoce des lésions tissulaires et des NV cornéennes, mais ils peuvent également provoquer des glaucomes et des cataractes, entre autres effets indésirables sur la vision. Il n'est pas suffisamment prouvé que les stéroïdes topiques peuvent inverser les NV cornéennes chroniques ou le tissu cicatriciel. De nombreuses techniques de vasodestruction, y compris le traitement photodynamique, la cautérisation, la diathermie par microaiguilles, la ligature de suture et la photocoagulation au laser argon, ont eu des résultats à long terme assez insatisfaisants.

Plus récemment, l'utilisation de traitements anti-VEGF topiques et sous-conjonctivales a été rapportée, selon Mimouni et ses collègues. La diathermie et les traitements anti-VEGF n'ont pas donné les mêmes résultats à long terme. Les options de transplantation de la cornée, y compris la kératoplastie pénétrante, sont associées à un risque élevé de rejet et d'échec de la greffe dans les yeux atteints de NV cornéenne.

### Chimioembolisation intravasculaire à MMC

L'efficacité de la chimioembolisation intravasculaire avec différents agents, dont la mitomycine C (MMC), a été rapportée pour le carcinome hépatocellulaire. La MMC limite probablement la capacité des cellules endothéliales vasculaires à proliférer, ce qui limite la capacité de cicatrisation de la couche endothéliale du vaisseau sanguin. Cela a conduit à l'hypothèse nouvelle que la chimioembolisation intravasculaire de la MMC (CEIM) pourrait être un traitement bénéfique pour les NV de la cornée, comme l'ont rapporté Mimouni et ses collègues. En cas d'embolisation réussie, aucun cas de récurrence de NV cornéenne n'a été rapporté, bien que le suivi à long terme soit limité. Si des vaisseaux sanguins résiduels subsistent, la CEIM peut être répétée.

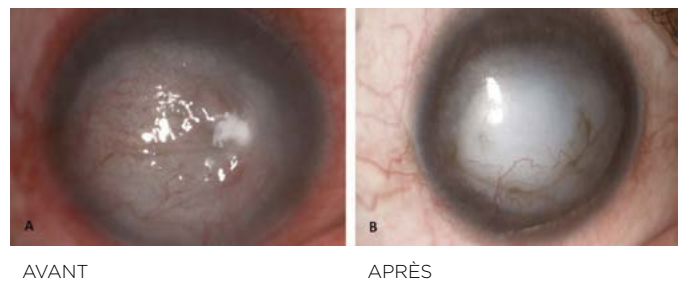
### Indications et bilan préinjection

Dans notre série, l'indication la plus courante pour le traitement par CEIM était la kératopathie lipidique secondaire à des NV cornéennes empiétant sur l'axe visuel. Nous avons inclus des patients ayant déjà essayé des stéroïdes topiques pendant au moins un mois et présentant des NV persistantes, sans traitement vasodestructeur ou antiprolifératif de la cornée. Tous les patients ont subi un examen ophtalmologique, une imagerie à la lampe à fente, une topographie cornéenne et une imagerie TCO du segment antérieur.

### Technique de chimioembolisation intravasculaire

La procédure a été réalisée avec des précautions aseptiques dans la salle d'opération à l'aide d'un microscope opératoire. Après l'application d'une anesthésie topique (proparacaine ou lidocaïne sans conservateur), la zone oculaire a été irriguée avec une solution topique de povidone iodée à 5%. Une seringue de 1 cc a été partiellement remplie de MMC (0,4 mg/mL), puis munie d'une aiguille de calibre 30. Le vaisseau cornéen de plus grand diamètre a été repéré immédiatement à l'intérieur du limbe et un volume minime de MMC (0,01 ml à 0,05 ml) a été injecté. Le biseau de l'aiguille doit être complètement intrastromal pour éviter que la MMC ne s'échappe sur la surface oculaire (figures 1a à 1c).

Le chirurgien doit également veiller à éviter une pénétration complète de la cornée sur toute son épaisseur et l'injection intraoculaire subséquente de MMC dans la chambre antérieure. Une solution saline équilibrée a été utilisée pour l'irrigation méticuleuse de la surface oculaire (afin d'éliminer tout reste de MMC à la surface oculaire), et une goutte de moxifloxacine 0,5% et d'acétate de prednisolone 1% a été appliquée à la fin de l'intervention. Une régression des NV cornéennes a été observée après l'injection (figures 2a et 2b).



**Figure 2 :** Image clinique préopératoire (a) et postopératoire (b) d'un cas de CEIM pour NV cornéenne.

### Résumé

La CEIM est un nouveau traitement de la kératopathie lipidique et des NV cornéennes visiblement sévères. Les résultats à long terme et les conséquences négatives sont inconnus, car la chirurgie est encore relativement jeune. Elle doit être évitée dans les yeux présentant des défauts épithéliaux afin d'éviter une toxicité supplémentaire de la MMC, telle que des défauts épithéliaux persistants et une fonte du stroma cornéen. Cependant, la CEIM peut être une méthode supplémentaire et une option de traitement prometteuse pour les NV actives et aiguës de la cornée.

### RÉFÉRENCES

- Abdelfattah N. S. et al., *Int J Ophthalmol.* 2015; doi:10.3980/j.issn.2222-3959.2015.01.32.
- Cursiefen C. et al. *Graefes Arch Clin Exp Ophthalmol.* 2001; doi:10.1007/s004170100313.
- Marelli L. et al. *Cardiovasc Intervent Radiol.* 2007; doi:10.1007/s00270-006-0062-3.
- Mimouni M. et al. *Int Ophthalmol.* 2022; doi:10.1007/s10792-022-02240-6.
- Shakiba Y. et coll. *Recent Pat Inflamm Allergy Drug Discov.* 2009; doi:10.2174/187221309789257450.



### La thérapie génique reçoit la désignation de maladie pédiatrique rare pour une dystrophie rétinienne héréditaire

La FDA a accordé la désignation de maladie pédiatrique rare à HORA-PDE6b, une thérapie génique pour les patients atteints de dystrophie rétinienne héréditaire causée par des mutations du gène PDE6B, selon un communiqué de presse d'eyeDNA Therapeutics.

La thérapie génique à base d'AAV5 est conçue pour retarder ou arrêter la dégénérescence rétinienne chez les patients déficients en PDE6B par l'administration d'une copie non mutée du gène PDE6B dans l'espace sous-rétinien. La désignation permettra à eyeDNA Therapeutics de recevoir un bon d'examen prioritaire si HORA-PDE6b est approuvé, qui pourra être utilisé pour faire avancer un programme supplémentaire ou être vendu à une autre société.

La thérapie génique est soutenue par des données positives de sécurité et d'efficacité à 24 mois, présentées lors de la réunion de l'Association for Research in Vision and Ophthalmology 2024.

« Cette désignation de maladie pédiatrique rare pour HORA-PDE6b par la FDA reconnaît le besoin urgent de traitements efficaces pour cette maladie dévastatrice où un traitement précoce pourrait ralentir ou arrêter la progression de la maladie et avoir un impact profond sur la qualité de vie des patients », a déclaré Rodolphe Clerval, PDG de Coave Therapeutics, société mère d'eyeDNA Therapeutics, dans le communiqué de presse. « Nous sommes impatients de fournir d'autres données actualisées de notre essai de phase 1/2 en cours avec HORA-PDE6b, et nous sommes particulièrement enthousiastes à l'idée de voir les premiers résultats chez les jeunes patients, chez qui HORA-PDE6b pourrait produire le plus grand bénéfice clinique. »



## Alcon rappelle un lot de gouttes oculaires Systane à usage unique en raison d'une contamination fongique

Alcon Laboratories a annoncé le rappel volontaire d'un lot de Systane Lubricant Eye Drops Ultra PF, Single Vials On-the-Go, suite à une plainte de consommateur qui a conduit à la découverte d'une contamination fongique dans les gouttes.

« L'enquête sur cet événement est toujours en cours; cependant, la présence de matériel étranger semble se limiter à l'unité unique retournée par un client, » selon Alcon dans une déclaration fournie à Healio. « À ce jour, Alcon n'a reçu aucun rapport d'effets indésirables liés à ce rappel. Cependant, par excès de prudence, Alcon a procédé à un rappel volontaire et en a informé la FDA américaine. »

Les gouttes oculaires lubrifiantes Systane Ultra PF sont commercialisées pour soulager les symptômes de la sécheresse oculaire et sont conditionnées dans un carton contenant 25 flacons stériles à usage unique d'une solution sans conservateur.

Un client a signalé avoir observé un corps étranger à l'intérieur d'un flacon scellé et Alcon a déterminé qu'il était de nature fongique, selon un communiqué de la FDA.

Les consommateurs sont invités à cesser immédiatement d'utiliser le Systane Lubricant Eye Drops Ultra PF et à contacter leur ophtalmologiste s'ils présentent des symptômes indésirables, tandis que les distributeurs et les détaillants sont invités à jeter les stocks restants.

« Notre priorité est d'assurer la sécurité de nos produits tout en maintenant la conformité avec tous les organismes de réglementation », a déclaré Alcon.



## InfantSEE a réalisé 172 000 évaluations de la vision à l'approche de son 20<sup>e</sup> anniversaire

InfantSEE, un programme géré par la Fondation de l'American Optometric Association (AOA) qui fournit gratuitement des soins oculaires et visuels complets aux nourrissons, a annoncé qu'il avait réalisé 172 000 évaluations depuis sa création en 2005.

« En tant que premier programme de santé publique de l'AOA pour les nourrissons, InfantSEE a vraiment beaucoup à célébrer », a déclaré Dr Jennifer Zolman, optométriste, présidente du comité de l'AOA sur InfantSEE et la vision des enfants, dans un communiqué de presse de l'AOA. « De la préservation des examens complets dans le cadre des prestations essentielles de la loi sur les soins abordables à la création de lignes directrices pour les examens des nourrissons, InfantSEE a joué un rôle déterminant dans l'amélioration de nos communautés, de notre pays et de l'avenir des soins ophtalmologiques. »

Selon le communiqué, InfantSEE compte actuellement plus de 4 000 prestataires, dont plus de 10 % sont des diplômés récents et près de 15 000 enfants ont été diagnostiqués au cours des 20 dernières années après avoir consulté un prestataire d'InfantSEE. En outre, le programme a sensibilisé le public grâce à son initiative de base, qui associe un représentant des optométristes à son affilié dans chacun des 50 États.

« Les premières années de la vie d'une personne sont précieuses et méritent notre attention, non seulement en tant que parents, mais aussi en tant que leaders communautaires et humains, et c'est pourquoi les prestataires d'InfantSEE sont si essentiels », a déclaré M. Zolman dans le communiqué. « Leurs soins et leur engagement démontrent le rôle précieux que nous jouons dans le système de santé de ce pays. »



## L'atrophie géographique en 2024 : les hauts et les bas des essais de traitement

En 2024, Healio a publié plusieurs articles sur des essais portant sur les biomarqueurs de l'atrophie géographique et les options de traitement.

Alors qu'un essai a montré que le pegcetacoplan intravitréen était prometteur pour ralentir le taux de croissance des biomarqueurs, un autre a montré que la minocycline orale pouvait ne pas réduire l'élargissement de l'atrophie géographique.

## Premier patient traité dans la deuxième partie de l'essai sur l'AVD-104 pour le traitement de l'atrophie géographique

Aviceda Therapeutics a annoncé le dosage du premier patient de la deuxième partie de son essai SIGLEC de phase 2/3 portant sur l'AVD-104 pour le traitement de l'atrophie géographique secondaire à la dégénérescence maculaire liée à l'âge.

«Sur la base de l'efficacité et de l'innocuité observées dans la première partie, nous avons rapidement entamé la deuxième partie en activant les sites et le recrutement pour ce traitement potentiellement modificateur de la maladie», a déclaré David Callanan, MD, directeur médical et vice-président senior d'Aviceda, dans un communiqué de presse de la société.

## Le supplément AREDS2 ralentit l'expansion de l'atrophie géographique, même à un stade avancé de la DMLA

Selon des chercheurs des NIH, la prise quotidienne d'un supplément de vitamines et de minéraux antioxydants pourrait ralentir la progression de la DMLA sèche au stade avancé et contribuer à maintenir la vision centrale chez les patients atteints.

La première étude AREDS (Age-Related Eye Diseases Study), publiée en 2001, a montré qu'un supplément formulé avec des antioxydants, notamment les vitamines C, E et le bêta-carotène, ainsi qu'avec du zinc et du cuivre pouvait ralentir la progression de la DMLA à un stade intermédiaire ou avancé. Plus de dix ans plus tard, l'étude AREDS2 publiée en 2013 a montré que le remplacement du bêta-carotène par les antioxydants lutéine et zéaxanthine pouvait non seulement améliorer l'efficacité du traitement, mais aussi prévenir certains risques. Aucune des deux études n'a examiné d'autres avantages lorsque les patients évoluent vers un stade avancé de la maladie.

## Le pegcetacoplan associé à des taux de croissance réduits des biomarqueurs de l'atrophie géographique

Le pegcetacoplan intravitréen a été associé à un retard de l'atrophie de l'épithélium pigmentaire rétinien et des photorécepteurs chez les patients atteints d'atrophie géographique secondaire à la DMLA, selon une étude.

«Cette étude démontre l'importance potentielle de l'imagerie SD-OCT pour évaluer la croissance et la réponse au traitement de l'AG», ont écrit Dun Jack Fu, Ph. D., maître de conférences à l'University College London et chercheur au Moorfields Eye Hospital, et ses collègues dans le JAMA Ophthalmology.

## Ocugen dose la deuxième cohorte de l'essai sur OCU410 pour l'atrophie géographique

Ocugen a annoncé que le dosage est terminé dans la deuxième cohorte de son essai clinique de phase 1/2 ArMaDa visant à évaluer l'innocuité d'OCU410, un candidat à la thérapie génique modificatrice pour l'atrophie géographique.

«Nous sommes très enthousiastes quant au potentiel d'OCU410 en tant qu'option unique de diagnostic génétique pour le traitement de l'atrophie géographique», a déclaré Huma Qamar, MD, MPH, directeur médical d'Ocugen, dans un communiqué de presse de la société.

«OCU410 régule plusieurs voies impliquées dans la maladie, notamment le métabolisme des lipides, l'inflammation, le stress oxydatif et le complexe d'attaque membranaire (complément) en une seule injection sous-rétinienne.»

## La minocycline orale ne parvient pas à ralentir l'augmentation de l'atrophie géographique dans la DMLA

La minocycline orale n'a pas été associée à une réduction de l'élargissement de l'atrophie géographique sur 24 mois par rapport à une période d'essai de 9 mois chez les patients atteints de DMLA, selon une étude publiée dans le JAMA Ophthalmology.

«Nous continuons à chercher ces traitements insaisissables pour essayer de ralentir l'atrophie géographique», a déclaré à Healio Tiarnán D. L. Keenan, MD, Ph. D., chercheur Stadtman Tenure-Track à la division de l'épidémiologie et des applications cliniques à l'Institut national de l'œil des NIH.



## Brimochol PF atteint les critères d'évaluation dans la deuxième étude de phase 3 sur la presbytie

### Principales conclusions :

- Brimochol PF a été bien toléré, sans effets indésirables graves liés au traitement.
- Tenpoint prévoit de déposer une demande d'autorisation de mise sur le marché auprès de la FDA au cours du premier semestre 2025.

Selon un communiqué de presse de Tenpoint Therapeutics, les patients atteints de presbytie ont vu leur vision de près s'améliorer après un traitement au Brimochol PF dans le cadre d'un deuxième essai pivot de phase 3.

L'essai BRIO-II a satisfait aux critères d'évaluation primaires préséparés approuvés par la FDA, l'Agence européenne des médicaments et l'Agence britannique de réglementation des médicaments et des produits de santé. Brimochol PF (association carbachol/tartrate de brimonidine à dose fixe) a démontré une amélioration de la vision de près par rapport au véhicule à tous les moments de l'étude jusqu'à 8 heures ( $P < 0,008$ ). En outre, il a permis de réduire la taille de la pupille à tous les moments de l'étude.

Des patients atteints de presbytie ont vu leur vision de près s'améliorer après un traitement par Brimochol PF dans le cadre d'un deuxième essai pivot de phase 3.

Le collyre a été bien toléré pendant 12 mois d'administration quotidienne et aucun événement indésirable grave lié au traitement n'a été observé.

L'étude BRIO-II était un essai randomisé à trois bras qui comparait l'innocuité et l'efficacité de Brimochol PF avec une solution ophtalmique topique de carbachol en monothérapie et une solution ophtalmique topique à base de véhicule. L'étude a porté sur 629 patients répartis sur 47 sites aux États-Unis.

Tenpoint prévoit de déposer une demande de nouveau médicament auprès de la FDA au cours du premier semestre 2025 et anticipe un lancement potentiel en 2026, selon le communiqué.

«Tenpoint Therapeutics est la seule société dans la catégorie de la presbytie à démontrer l'apport d'éléments avec Brimochol PF, ouvrant la voie à une approbation de médicament combiné qui offre les avantages supplémentaires de la brimonidine», a déclaré Rhett Schiffman, MD, MS, MHSA, médecin en chef et responsable de la recherche et du développement chez Tenpoint, dans le communiqué. «Dans nos études, la brimonidine a augmenté l'ampleur et la durée de l'action du carbachol et a réduit l'incidence de l'hyperémie par rapport au carbachol seul. Brimochol PF est le seul collyre correcteur de presbytie à avoir fait l'objet d'une étude de sécurité sur 12 mois. Il a été très bien toléré pendant 12 mois d'administration continue, et les sujets de l'étude ont fait état d'une très grande observance pendant l'étude et d'une forte volonté d'utiliser le médicament».



## PROSE bien toléré comme dispositif d'administration de la cyclosporine sans conservateur dans la sécheresse oculaire

### Principaux renseignements :

- Les chercheurs ont rapporté des améliorations à un mois des scores OSDI, de la coloration de la cornée à la fluorescéine, ainsi que de la coloration et de la rougeur de la conjonctive.
- Les scores de tolérance étaient similaires avant et après le traitement.

Selon les résultats d'une étude pilote, la prothèse de remplacement de l'écosystème de la surface oculaire a été bien tolérée et semble efficace comme système d'administration de la cyclosporine 0,05% sans conservateur dans le traitement de la sécheresse oculaire.

«La communauté ophtalmologique et optométrique n'en est qu'à ses débuts dans l'étude de l'utilisation potentielle de PROSE ou de lentilles sclérales comme système d'administration de médicaments topiques oculaires sans conservateur», ont écrit Monica Nabil Nakhla, de la faculté de médecine de l'université Tufts, et ses collègues dans *Clinical Ophthalmology*.

Pour évaluer la tolérance de la prothèse de remplacement de l'écosystème de la surface oculaire (PROSE, BostonSight) en tant que moyen d'administration de la cyclosporine 0,05% sans conservateur, Nakhla et ses collègues ont mené une étude pilote prospective et observationnelle auprès de 14 patients adultes atteints de sécheresse oculaire, qui portaient tous la prothèse PROSE.

Les participants ont instillé une goutte de Restasis (émulsion ophtalmique de cyclosporine 0,05%, AbbVie) dans le réservoir de PROSE, remplissant le reste avec PuriLens (solution saline normale sans conservateur, The Lifestyle Co.) et ont porté le dispositif pendant 6 heures. Ils ont ensuite retiré le PROSE et répété le protocole pendant au moins 4 heures supplémentaires.

Pour les neuf patients (18 yeux; âge moyen, 54,33 ans) qui ont terminé l'étude, les scores de l'indice de maladie de la surface oculaire à un mois ont diminué en moyenne de 3,83 par rapport à la ligne de base, avec une amélioration maximale de 16,67. Les participants ont également montré une amélioration significative de la coloration de la cornée à la fluorescéine, de la coloration de la conjonctive et de la rougeur de la conjonctive après une semaine et un mois.

Les chercheurs n'ont pas constaté d'amélioration ou d'aggravation significatives de la meilleure acuité visuelle corrigée.

Les scores de tolérance étaient statistiquement équivalents avant et après le traitement à 1 semaine et à 1 mois, les participants déclarant en moyenne que le protocole était facile à réaliser.

«Dans l'ensemble, les données analysées dans ce rapport soutiennent la poursuite des recherches sur l'innocuité et l'efficacité de l'utilisation du réservoir PROSE comme système d'administration de la cyclosporine à 0,05% pour le traitement de la sécheresse oculaire», ont écrit les chercheurs. «En outre, ce rapport souligne l'importance d'une approche scientifique standardisée par étapes pour l'utilisation de PROSE ou de lentilles sclérales en tant que système d'administration de médicaments.»

Source : Nakhla MN, et al. Clin Ophthalmol. 2024; doi:10.2147/OPHTH.S487369.



## Le linsitinib pour les maladies oculaires thyroïdiennes (MOT) montre une réduction de la proptose et une sécurité dans un essai de phase 2 b/3

- L'essai a atteint son critère d'évaluation principal, à savoir la réduction de la proptose avec le linsitinib 150 mg.
- Il n'y a pas eu de troubles auditifs liés au médicament, d'hyperglycémie significative ou de changements menstruels.

Selon un communiqué de presse de Sling Therapeutics, le linsitinib, une petite molécule orale en cours de développement pour le traitement de la maladie oculaire thyroïdienne, a démontré une réduction de la proptose et une sécurité dans l'essai de phase 2 b/3 LIDS.

« Dans cet essai, les patients ont montré une amélioration significative de la maladie sans déficience auditive liée au médicament, sans hyperglycémie significative ou changements menstruels, un point qui mérite d'être souligné, car la majorité des personnes atteintes de MOT sont des femmes », a déclaré à Healio Raymond Douglas, MD, Ph. D., directeur scientifique de Sling Therapeutics et professeur au Cedars-Sinai Medical Center. « Il est logique de commencer le traitement d'un nouveau patient avec une thérapie orale qui montre une réponse rapide qui augmente avec le temps. »

Sling Therapeutics annonce des résultats préliminaires positifs de l'essai clinique de phase 2 b/3 LIDS portant sur une petite molécule orale, le linsitinib, chez des patients atteints d'une maladie thyroïdienne de l'œil.

Source : <https://www.slingtx.com/2025/01/14/sling-therapeutics-announces-positive-topline-results-from-phase-2b-3-lids-clinical-trial-of-oral-small-molecule-linsitinib-in-patients-with-thyroid-eye-disease/>.  
Publié le 14 janvier 2025. Consulté le 14 janvier 2025.

L'étude randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo, a évalué la sécurité, la pharmacocinétique et l'efficacité du linsitinib chez 90 patients souffrant d'une maladie oculaire thyroïdienne active, modérée à sévère, qui ont été randomisés 1:1:1 pour recevoir 150 mg de linsitinib deux fois par jour, 75 mg de linsitinib deux fois par jour ou un placebo pendant 24 semaines. Le linsitinib, qui est conçu pour inhiber la cible du récepteur du facteur de croissance 1 analogue à l'insuline (IGF-1R), a un profil de sécurité établi dans 15 essais cliniques menés dans plusieurs domaines pathologiques sur plus de 900 patients, selon le communiqué.

L'essai a atteint son critère d'évaluation principal, à savoir la réduction de la proptose à la semaine 24, avec un taux de répondants à la proptose statistiquement significatif de 52% chez les patients du groupe recevant la dose de 150 mg. En outre, le linsitinib a montré un profil d'innocuité positif dans l'ensemble et a été bien toléré dans les domaines d'intérêt pour la cible IGF-1R, y compris l'absence de troubles auditifs liés au médicament ou de modifications du cycle menstruel et un taux d'hyperglycémie de 3%.

Sling Therapeutics est en passe de lancer un essai de confirmation de phase 3 dans le courant de l'année.

« Je pense que ce traitement permettra à un plus grand nombre de médecins, y compris les ophtalmologues, de traiter directement les patients atteints de MOT au lieu de les envoyer chez un chirurgien oculoplastique », a déclaré M. Douglas à Healio.

## La FDA approuve la demande d'autorisation de mise sur le marché d'un nouveau médicament expérimental pour le traitement des maladies des photorécepteurs


- BlueRock Therapeutics se prépare à lancer une étude clinique de phase 1/2 a sur OpCT-001.
- OpCT-001 sera évalué pour le traitement des maladies primaires des photorécepteurs.

Selon un communiqué de presse de BlueRock Therapeutics, la FDA a approuvé une demande de nouveau médicament expérimental pour OpCT-001, un traitement cellulaire expérimental pour le traitement des maladies primaires des photorécepteurs.

« Nous pensons que, s'il est approuvé, l'OpCT-001 a un potentiel en tant que traitement pour les personnes vivant avec des maladies primaires des photorécepteurs, qui sont un sous-groupe de troubles rétiniens héréditaires comprenant la rétinite pigmentaire et la dystrophie conique », a déclaré à Healio Amit Rakhit, MD, MBA, directeur du développement et du service médical de BlueRock Therapeutics. « Actuellement, il n'existe aucune option de traitement pour ces maladies qui affectent la fonction et la structure des cellules photoréceptrices de la rétine, entraînant une perte de vision irréversible chez les enfants et les adultes. »

La FDA a autorisé une demande de nouveau médicament expérimental pour OpCT-001, un traitement cellulaire expérimental pour le traitement des maladies primaires des photorécepteurs.

Cette thérapie cellulaire dérivée de cellules souches pluripotentes induites est la première à faire l'objet d'une évaluation clinique pour les maladies primaires des photorécepteurs, y compris des troubles tels que la rétinite pigmentaire et la dystrophie de la tige conique. La thérapie a fait l'objet d'une licence exclusive en janvier 2024 dans le cadre d'une collaboration entre BlueRock Therapeutics, Fujifilm Cellular Dynamics et Opsi Therapeutics.

BlueRock prévoit d'évaluer la sécurité et la tolérabilité de l'administration sous-rétinienne de plusieurs niveaux de dose d'OpCT-001 dans le cadre d'une étude clinique de phase 1/2 a. L'essai recrutera des participants à travers les États-Unis et évaluera l'effet de la thérapie sur la structure rétiniennne, la fonction visuelle et la vision fonctionnelle, selon le communiqué. 

• • • • •