



## Mise à jour no 18 sur le programme clinique AIDNPC

*(arimoclomol dans le traitement de la maladie de Niemann-Pick de type C  
[arimoclomol in treatment of Niemann-Pick disease type C])*

**Bulletin d'information intermédiaire (suite à la conférence téléphonique du  
28 décembre)**

### RÉSUMÉ

- z Étude 001 : Statut
- z Étude 002 : Statut et échéances
- z Score NPC-CSS simplifié à 5 domaines
- z Orphazyme interviendra au symposium WORLD à San Diego



***Le programme d'essais cliniques AIDNPC est constitué de deux études :***

- l'étude « 001 », observationnelle, qui est terminée ;***
- l'étude « 002 », interventionnelle, dont le recrutement est terminé.***



## Étude 001 : Statut

L'étude a récemment été achevée en mai 2017. Un total de 36 patients ont été recrutés sur 12 sites dans 8 pays différents.

L'objectif principal de l'étude « 001 » était de caractériser le profil individuel de progression de la maladie chez chaque patient à l'aide de mesures cliniques, biologiques et de qualité de vie obtenues de manière prospective ainsi qu'à l'aide des informations rétrospectives sur la maladie recueillies à partir du dossier médical des patients.

La base de données de l'étude 001 a été clôturée et une analyse des données est en cours. Les observations de cette étude portant sur l'histoire naturelle de la maladie chez des patients atteints de la maladie de NPC, qui présente l'avantage unique d'être une étude prospective dont la conception est cohérente avec celle de l'étude 002, seront présentées lors de différentes réunions au cours du semestre prochain et elles serviront de base pour les observations attendues pour l'étude 002. P. ex. les résultats de l'étude constitueront un point de référence pour l'analyse ultérieure de l'étude 002.

## Étude 002 : Statut et échéances

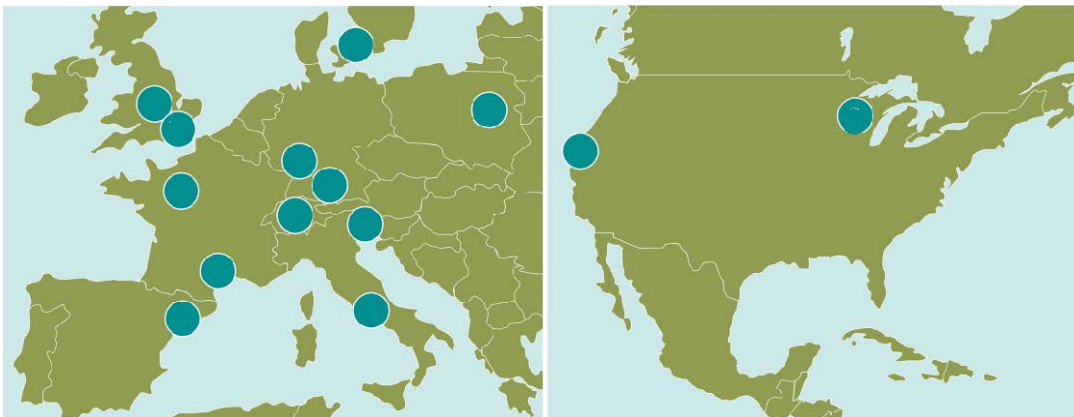
Le dernier patient de l'étude 002 (essai de phase 2/3) a été recruté en mai 2017, on a ainsi un total de 50 patients recrutés et randomisés, dont 27 patients au total proviennent par transition (roll-over) de l'étude 001. Nous espérons obtenir les résultats issus de cette étude au cours de l'automne 2018. Lorsque chaque patient a terminé la partie en aveugle de l'étude, on lui propose d'entrer dans l'extension en ouvert de l'étude (arimoclomol uniquement).

Les centres ci-dessous participent à l'étude « 002 » :

Copenhague,  
Danemark  
Birmingham,  
Royaume-Uni  
Great Ormond St,  
Royaume-Uni

Mayence, Allemagne  
Munich, Allemagne  
Paris, France  
Montpellier, France  
Barcelone, Espagne  
Varsovie, Pologne

Udine, Italie  
Rome, Italie  
Rochester, MN, États-  
Unis  
Oakland, CA, États-Unis



## Score NPC-CSS simplifié à 5 domaines

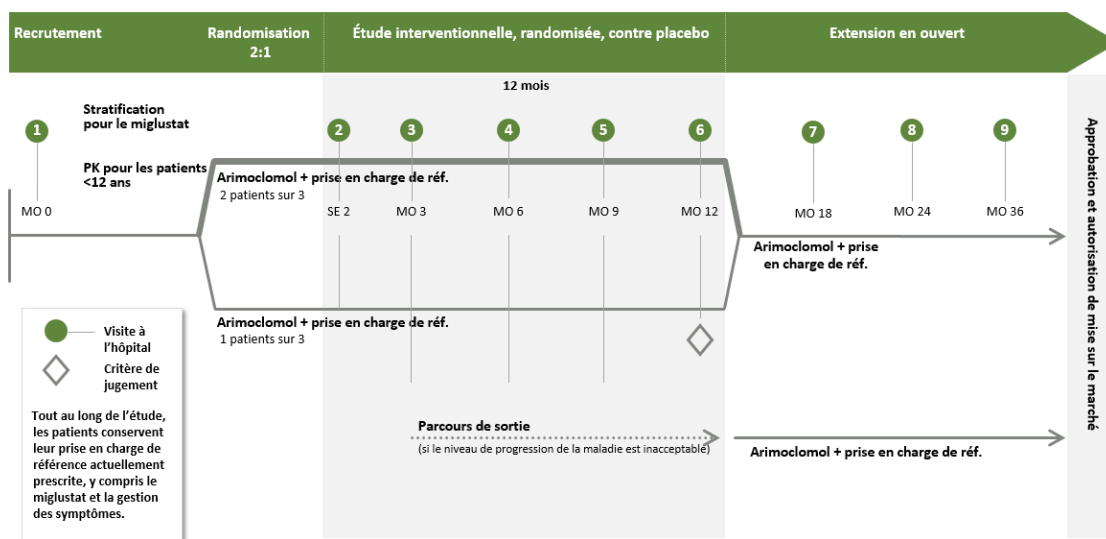
Orphazyme a parachevé la validation d'un score NPC-CSS simplifié à 5 domaines dans le but d'améliorer à l'avenir le suivi et l'évaluation des patients atteints de la maladie de NPC. Les domaines de ce score NPC-CSS qui en comporte 5 sont la déambulation, la motricité fine, la déglutition, l'élocution et la cognition. Ce score est utilisé dans l'évaluation clinique des patients dans l'étude 002.

Orphazyme interviendra au symposium WORLD à San Diego  
Orphazyme sera présent et interviendra lors du 14e symposium WORLD™ 2018 à San Diego (du 5 au 9 février 2018).

## Vue d'ensemble de la conception de l'étude

Le schéma ci-dessous illustre la conception de l'étude « 002 » et précise notamment le nombre et le calendrier des visites des patients dans les centres. Un parcours de sortie est effectué pour les patients dont le niveau de progression de la maladie est inacceptable.

## Conception de l'étude CT-ORZY-NPC-002



***Nous encourageons la diffusion des informations ci-dessus au sein de la communauté des patients.***

Prochaine conférence téléphonique :

La prochaine conférence téléphonique AIDNPC est prévue le 29 mars 2018 à 15 h HNA (UTC -4)