BrainTale, medtech qui décrypte la substance blanche pour améliorer la santé du cerveau, spin-off de l'Assistance-Publique Hôpitaux de Paris, annonce aujourd'hui l'inclusion du premier patient dans l'étude clinique CALDIFF, une étude promue par l'Assistance Publique – Hôpitaux de Paris (AP-HP) sous la responsabilité du Professeur Fanny Mochel (APHP220801, NCT05911919). L'objectif de cette étude est de valider la capacité de l'un des biomarqueurs développés par BrainTale à prédire de manière précoce la progression de l'adrénoleucodystrophie cérébrale liée à l'X (X-ALD).

Sponsorisée par l'Assistance-Publique Hôpitaux de Paris, l'étude vise à démontrer la valeur prédictive de l'un des biomarqueurs développés par BrainTale pour les maladies de la substance blanche

Ce biomarqueur vise à permettre un diagnostic précoce de la forme cérébrale de l'adrénoleucodystrophie liée à l'X

Avec le développement et la validation de ce biomarqueur, BrainTale permet d'accélérer la recherche et le développement de nouveaux traitements pour les patients atteints maladies de la matière blanche, et de soutenir une meilleure prise en charge des patients

"Il existe un besoin urgent de nouvelles méthodes de diagnostic précoce pour l'X-ALD afin de permettre des interventions thérapeutiques plus rapides et plus efficaces," déclare la Professeure Fanny Mochel, responsable du centre de référence Maladies Neurométaboliques et Leucodystrophies de l'Hôpital de la Pitié-Salpêtrière (AP-HP) investigatrice principale de l'étude CALDIFF. "Ce biomarqueur présente un potentiel important pour améliorer le suivi des patients et détecter les signes de la maladie pour permettre une prise en charge adaptée."

CALDIFF est une étude prospective multicentrique menée dans 12 centres qui s'appuie sur l'utilisation de la plateforme développée par BrainTale pour l'analyse et l'exploitation des données d'imagerie par résonance magnétique (IRM) de diffusion. Elle a pour objectif de démontrer que le biomarqueur développé par BrainTale permet de détecter précocementl'atteinte de la substance blanche cérébrale chez les patients atteints d'X-ALD. Les résultats de cette étude pourraient transformer la prise en charge de ces patients en facilitant la décision

et la mise en œuvre d'une
greffe allogénique de moelle osseuse à un stade précoceÂÂ de la maladie,
seul traitement aujourd'hui à stopper voire faire régresser les lésions
démyélinisantes de la maladie, réduisant ainsi la morbidité et la mortalité associées.

« Le lancement de cette étude est une étape clé pour démontrer l'utilité clinique de ce biomarqueur, qui pourrait optimiser le traitement des patients atteints d'X-ALD", commente le Professeur Damien Galanaud, neuroradiologue (AP-HP), cofondateur de BrainTale et responsable scientifique de l'étude.

Cette validation clinique d'un biomarqueur issu de la plateforme technologique de BrainTale qui permet le suivi et, à la suite des résultats de l'étude, possiblement la prédiction clinique de s lésions de la myéline pour ces patients, ouvre la voie à la neurologie de précision. Les biomarqueurs développés par BrainTale permettent
d'accélérer la recherche et le
développement de nouveaux traitements à travers une optimisation des essais cliniques, notamment
l'homogénéisation des populations de patients
et la démonstration
d'efficacité
des candidats-médicament grâce à un suivi plus sensible et objectif
de l'évolution de la
maladie. En collaborant
avec ceux qui s'investissent
dans la recherche de nouveaux traitements, BrainTale
a pour ambition d'accélérer le développement de nouvelles thérapies pour les patients atteints d'X-ALD ainsi que
d'autres maladies de la substance blanche telles
que les leucodystrophies ou la sclérose en plaques.

Qu'est-ce que l'adrénoleucodystrophie cérébrale liée à l'X ?

L'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (X-ALD) est une maladie génétique rare et grave, affectant principalement les hommes. Avec une incidence de 1 pour 17 000 naissances , c'est la leucodystrophie la plus fréquente. Cette maladie métabolique touche
le cerveau, la moelle épinière, les nerfs périphériques, ainsi que les glandes surrénales et les testicules.

L’X-ALD peut se manifester à différents âges et sous diverses formes cliniques. Elle est présente dans toutes les populations et groupes ethniques avec des fréquences similaires. L’incidence réelle pourrait être sous-estimée, notamment en raison du manque de dépistage néonatal systématique.