

IntraBio Inc. a le plaisir d'annoncer l'essai pivot IB1001-303, « *Les effets de la N-acétyl-L-leucine sur l'ataxie-télangiectasie (A-T) : une étude croisée, randomisée, contrôlée par placebo, en double aveugle, de phase III* ».

L'essai sera mené au sein de 11 centres dans divers pays en Europe, au Royaume-Uni et aux États-Unis. Compte tenu de l'intérêt suscité par l'étude, on anticipe que le recrutement s'effectuera rapidement. **Ce dernier devrait débuter en mars 2025 et se poursuivre jusqu'au 15 juin 2025. Les patients et les familles qui souhaitent en apprendre davantage sur l'essai, notamment en ce qui concerne les critères d'admissibilité et le processus de recrutement, sont donc invités à contacter leur centre d'étude potentiel (voir les coordonnées ci-dessous).**

Un bref résumé des critères d'admissibilité, du plan de l'essai et des centres d'étude figure ci-dessous. Pour accéder aux critères d'admissibilité complets, ainsi qu'aux informations détaillées concernant les évaluations de l'étude, les centres d'étude clinique des différents pays, etc., veuillez consulter la page [ClinicalTrials.Gov \(NCT06673056\)](https://ClinicalTrials.gov/ct2/show/study/NCT06673056)

## VUE D'ENSEMBLE DE L'ESSAI IB1001-303

### Médicament de l'étude

La N-acétyl-L-leucine (IB1001) est un acide aminé modifié administré par voie orale (en sachet). En septembre 2024, la N-acétyl-L-leucine a été approuvée par l'Agence américaine des produits alimentaires et pharmaceutiques (la FDA) pour le traitement de la maladie de Niemann-Pick type C (NPC).

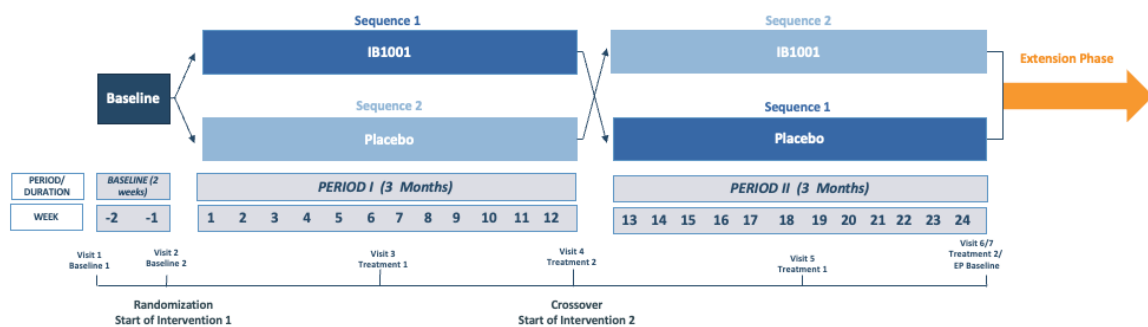
### Critères d'admissibilité

Les patients âgés de 4 ans et plus peuvent être recrutés dans tous les centres d'étude. Ils doivent présenter des symptômes neurologiques et ne peuvent prendre ou recevoir aucun autre agent expérimental (y compris des médicaments expérimentaux dans le cadre de programmes d'accès élargi). L'ensemble des procédures de l'étude et des critères d'admissibilité figurent sur la page [ClinicalTrials.Gov \(NCT06673056\)](https://ClinicalTrials.gov/ct2/show/study/NCT06673056)

### Plan de l'étude IB1001-303

IB1001-303 est une étude croisée, internationale, randomisée, contrôlée par placebo, en double aveugle, de phase III. Les patients recevront un traitement par l'IB1001 ainsi qu'un placebo correspondant tout au long de l'étude.

Les patients seront évalués lors de 6 visites réparties sur trois périodes d'étude : une période de référence (de 14 à 21 jours environ), la première période d'intervention (la « période I », de 84 à 91 jours environ), et la deuxième période d'intervention (la « période II », de 84 à 91 jours environ). Les patients seront évalués deux fois au cours de chaque période d'intervention (**figure 1**).



**Médicaments interdits :** les patients sous Tanganil (ou d'autres formes de N-acétyl-leucine non fournies dans le cadre de l'étude IB1001-301) devront arrêter de prendre ce médicament (période de « washout ») pendant les 6 semaines précédant la sélection (visite 1) et ne pas prendre de Tanganil, ni d'autres formes de N-acétyl-leucine, pendant toute la durée de l'essai.

**Randomisation :** lors de la **visite 2** (visite de référence 2), les patients seront assignés aléatoirement (selon le rapport 1:1) à deux séquences de randomisation :

- **Séquence 1 :** à partir de la **visite 2** (visite de référence 2), les patients recevront l'IB1001 au cours de la période I (pendant environ 84 jours). À la fin de la période I (visite 4), le patient passera d'un traitement à l'autre et recevra immédiatement un placebo au cours de la période II (pendant environ 84 jours).
- **Séquence 2 :** à partir de la **visite 2** (visite de référence 2), les patients recevront un placebo au cours de la période I (pendant environ 84 jours). À la fin de la période I (visite 4), les patients passeront d'un traitement à l'autre et recevront immédiatement l'IB1001 au cours de la période II (pendant environ 84 jours).

**Traitement :** au cours de l'essai, chaque patient recevra l'IB1001 pendant environ 12 semaines et le placebo pendant environ 12 semaines. Ni les patients, ni leur famille, ni l'équipe de l'étude ne sauront s'ils reçoivent l'IB1001 ou le placebo.

**Évaluations de l'étude :** des évaluations fonctionnelles standard (p. ex. au moyen des scores SARA, SCAFI et ICARS) seront réalisées, et on aura également recours à des questionnaires sur la qualité de vie. Il n'y aura pas de procédure invasive (comme des ponctions lombaires). Des prélèvements de sang et des recueils d'urine seront réalisés, ainsi que des examens cliniques et des ECG à 12 dérivations.

### **Phase d'extension**

Les patients qui parviendront au terme de l'étude (visite 6) pourront (si leur investigateur principal [IP] estime que c'est dans leur intérêt) participer à une phase d'extension en ouvert, au cours de laquelle les patients recevront l'IB1001 pendant au moins un an.

### **Frais de déplacement**

IntraBio couvrira les frais de déplacement (p. ex. transport, hôtel, repas, tests COVID-19) de chaque patient, ceci pour le patient lui-même + 1 membre de la famille ou aidant pour chaque visite effectuée dans le cadre de l'étude. Les patients d'autres pays d'Europe (par exemple ceux où il n'existe pas de centre d'étude) auront droit à un remboursement du déplacement entre leur domicile et les centres d'étude situés en Allemagne et en Suisse afin de participer à l'étude. Tous les documents seront traduits dans la langue maternelle du patient, et des traducteurs seront à leur disposition sur place au cours des visites de l'étude.

Tous les centres d'étude et les personnes à contacter dans ces centres sont répertoriés ci-dessous. Si vous avez d'autres questions au sujet de l'étude/du recrutement, veuillez contacter :

Taylor Fields  
Chief Development Officer & President, Product Development IntraBio  
E-mail : [tfields@intrabio.com](mailto:tfields@intrabio.com)

**CENTRES DE L'ESSAI IB1001-303**

*ALLEMAGNE (2 centres)*

**University of Cologne (Université de Cologne)**

IP : Kyriakos Martakis, MD

Adresse : [kyriakos.martakis@uk-koeln.de](mailto:kyriakos.martakis@uk-koeln.de)

**University of Giessen (Université de Giessen)**

IP : Andreas Hahn, MD

Adresse : [Kyriakos.Martakis@paediat.med.uni-giessen.de](mailto:Kyriakos.Martakis@paediat.med.uni-giessen.de)

*ESPAGNE (1 centre)*

**Hospital Universitario La Paz, Madrid (Hôpital universitaire de La Paz, Madrid)**

IP : María del Mar García Romero, MD

Adresse : [yambee@hotmail.com](mailto:yambee@hotmail.com)

*SLOVAQUIE (2 centres)*

**Comenius University in Bratislava (Université Comenius de Bratislava)**

IP : Miriam Koníková, MUDr, PhD

Adresse : Katarína Cichovská

E-mail : [katarina.cichovska@dfnsp.sk](mailto:katarina.cichovska@dfnsp.sk)

**University Hospital L. Pasteur in Kosice (Hôpital universitaire L. Pasteur à Kosice)**

IP : Matej Skorvanek MD, PhD

Adresse : [mskorvanek@gmail.com](mailto:mskorvanek@gmail.com)

*SUISSE (1 centre)*

**University Hospital Bern Inselspital (Hôpital universitaire de Berne)**

IP : Tatiana Bremova-Ertl, MD, PhD

Adresse : [tatiana.bremova-ertl@insel.ch](mailto:tatiana.bremova-ertl@insel.ch)

*ROYAUME-UNI (2 centres)*

**The Royal Papworth Hospital, Cambridge (Hôpital Royal Papworth, Cambridge)**

*Centre d'étude pour les patients âgés de 16 ans et plus*

IP : Clare Bolton, MD

Adresse : [clare.bolton1@nhs.net](mailto:clare.bolton1@nhs.net)

**University of Nottingham (Université de Nottingham)**

*Centre d'étude pour les patients âgés de 4 à 17 ans*

**IP :** Manish Prasad, MD

**Adresse :** Helen Navarra

**E-mail :** [helen.navarra@nhs.net](mailto:helen.navarra@nhs.net)

*ÉTATS-UNIS (3 centres)*

**Massachusetts General Hospital – Boston MA (Hôpital général du Massachusetts – Boston MA)**

**IP :** Franziska Hoche, MD

**E-mail :** [FHOICHE@mgh.harvard.edu](mailto:FHOICHE@mgh.harvard.edu)

**UT Health - Houston Texas (Centre des sciences de la santé de l'université du Texas – Houston Texas)**

**IP :** Nivedita Thakur, MD

**E-mail :** [Nivedita.Thakur@uth.tmc.edu](mailto:Nivedita.Thakur@uth.tmc.edu)

**Autres personnes à contacter :** William Guerra

**E-mail :** [William.H.Guerra@uth.tmc.edu](mailto:William.H.Guerra@uth.tmc.edu)

**University of California Los Angeles (UCLA) – Los Angeles CA (Université de Californie, Los Angeles [UCLA] – Los Angeles CA)**

**IP :** Susan Perlman, MD

**E-mail :** [SPerlman@mednet.ucla.edu](mailto:SPerlman@mednet.ucla.edu)