

Traitement de la maladie rare de Menkès

Menkès – Maladie orpheline – biodisponibilité du cuivre



CONTEXTE

La maladie de Menkès est une pathologie rare d'origine génétique dont l'occurrence est d'une naissance sur 300 000 soit deux à trois naissances chaque année en France.

Elle se caractérise par un déficit en ATPase 7A qui permet le passage du cuivre au niveau intestinal et au niveau de la barrière hémato-encéphalique. Cela entraîne un déficit des cuproprotéines, responsable de l'atteinte cérébrale grave de ces patients. Sans traitement leur durée de vie est inférieure à 3 ans et les traitements actuels ne permettent pas le passage du cuivre vers le cerveau.

DESCRIPTION

Le laboratoire a élaboré de nouveaux transporteurs du cuivre immobilisés sur support afin de les rendre biocompatibles et stables.

Leur stabilité a été éprouvée, elle est supérieure à 10 semaines.

In vivo, l'administration en sous-cutanée de ces transporteurs réversent le phénotype Menkès chez des modèles de souris Menkès. A ce stade, aucune toxicité n'est observée

AVANTAGES COMPÉTITIFS

- **Nouvelle alternative thérapeutique**
⇒ Passage de la barrière hémato-encéphalique et délivrance du cuivre au niveau du cerveau
- **Stabilité**
⇒ Implantation sous-cutanée d'un support spécifique permettant la délivrance sans répéter les injections

Marchés et applications



Pharmaceutique :

- ❖ Maladie de Menkès

Stade de développement



TRL 3 : tests in vivo en cours

Propriété intellectuelle



En cours

CONTACTEZ-NOUS

THOMAS BLUM

Chargé de Développement

+33 (0)6 17 06 68 07



thomas.blum@sayens.fr