

HuntX Pharma exploite une nouvelle voie thérapeutique pour combattre la maladie Huntington sans recours à la thérapie génique

Pour poursuivre le développement préclinique et clinique de sa molécule HX127, HuntX Pharma prépare sa première levée de fonds

Grenoble, le 6 décembre 2023 — A l'occasion du Téléthon qui aura lieu les 8 et 9 décembre prochain, HuntX Pharma, start-up pharmaceutique grenobloise, fait le point sur le développement de sa nouvelle molécule HX127, dans le traitement de la maladie de Huntington, une affection neurodégénérative génétique rare pour laquelle il n'existe pas encore de traitement curatif. La société se distingue par son approche novatrice axée sur la restauration de la fonction du gène altéré sans recourir à la thérapie génique, offrant ainsi un nouvel espoir aux patients touchés par cette maladie neurodégénérative.

HX127, une approche innovante pour prévenir la dégénérescence du striatum

La maladie de Huntington est caractérisée par une mutation génétique dans la protéine huntingtine ce qui perturbe alors un mécanisme crucial pour le bon fonctionnement neuronal : le transport axonal. Celui-ci véhicule la communication et les échanges entre les cellules du cerveau (les neurones) qui sont essentiels à leur fonctionnement et leur survie. Dans la maladie de Huntington c'est le transport d'un facteur de survie appelé Brain-Derived Neurotrophic Factor (BDNF) entre le cortex et le striatum qui est altéré. Lorsque le striatum, qui ne le fabrique pas, ne le reçoit plus du cortex il dégénère et meurt.

HuntX Pharma concentre ses efforts sur le développement de son premier candidat-médicament révolutionnaire, baptisé HX127, pour rétablir ce transport altéré, sans recourir à la thérapie génique. Contrairement aux autres approches axées sur la modulation génique ou la neuroprotection, lesquelles n'ont pas encore abouti à des traitements efficaces, la stratégie innovante de HuntX Pharma cible spécifiquement la restauration du transport axonal altéré dans le cerveau des patients atteints de la maladie de Huntington.

La molécule HX 127, développée par HuntX Pharma, agit en inhibant une réaction enzymatique qui restaure complètement le transport de BDNF entre le cortex et le striatum. Cette molécule prometteuse pourrait prévenir la dégénérescence du striatum et ainsi bloquer la progression des symptômes moteurs, cognitifs et psychiatriques associés à la maladie.

Pour Laure Jamot, Présidente et cofondatrice de HuntX Pharma : *"Nous sommes fiers des avancées réalisées dans le développement de notre candidat-médicament, HX127, qui offre une lueur d'espoir pour les patients atteints de la maladie de Huntington. Notre approche innovante centrée sur la restauration du transport axonal altéré ouvre de nouvelles perspectives thérapeutiques sans recourir à la thérapie génique, marquant ainsi une avancée majeure dans la lutte contre cette maladie dévastatrice. Pour financer nos travaux de recherche, nous préparons actuellement notre première levée de fonds de 750 000 euros qui nous permettra de poursuivre la préclinique et clinique de notre molécule HX127, de breveter une nouvelle molécule pour d'autres maladies génétiques et de confirmer la scalabilité de la stratégie dans d'autres maladies neurologiques ».*

La société a l'ambition d'emmener son candidat médicament en phase 2 afin de le licencier à un laboratoire pharmaceutique pour la phase 3.

La maladie de Huntington, une maladie rare qui touche 300 000 personnes dans le monde

Environ 300 000 personnes sont concernées dans le monde et 18 000 en France¹ dont 1/3 ont déclaré leur maladie et 2/3 sont pour le moment présymptomatiques. Les dépenses de santé annuelles mondiales liées à la prise en charge de la maladie de Huntington sont supérieures à 15 milliards de dollars.

Pour Marc Issandou, Président de l'Association Huntington France, « La maladie de Huntington est une maladie dévastatrice qui a un besoin crucial de médicaments. Il n'existe aujourd'hui aucun traitement curatif. Nous soutenons pleinement HuntX Pharma et sa stratégie originale pour apporter une thérapeutique pour les patients souffrant de cette maladie ».

A propos de HuntX pharma

La société HuntX Pharma, cofondée par Laure Jamot, Présidente et Frédéric Saudou, Directeur du Grenoble-Institut des Neurosciences de 2013 à 2023 (GIN), est une société pharmaceutique créée à Grenoble en décembre 2022 et accompagnée par la SATT Linksium. La société développe une première molécule, HX127, pour des maladies neurologiques liées à des défauts de transport axonal. Le mécanisme d'action de cette molécule a permis de mettre en évidence son action protectrice voire curative dans plusieurs modèles d'une pathologie neurodégénérative liée à un défaut du transport axonal, la maladie de Huntington. Un brevet déposé par l'Université Grenoble Alpes sur cette indication et sur le syndrome de Rett a été sous-licencié par la société HuntX Pharma qui porte son développement clinique avec un premier focus sur l'indication « maladie de Huntington ». <https://www.huntxpharma.com>

A propos de la maladie de Huntington

La maladie de Huntington (MH) est une maladie autosomique dominante, sans traitements, caractérisée par des troubles du mouvement et un déclin cognitif. Elle est caractérisée par une triade de symptômes² incluant des défauts moteurs (chorée et la perte de coordination), des troubles cognitifs (difficulté à effectuer des tâches complexes) et des troubles psychiatriques, tels que la dépression, la psychose et le trouble obsessionnel-compulsif. Elle évolue en 3 stades sur environ 20 ans et entraîne cette triade de symptômes qui s'aggrave avec le temps, allant d'un handicap modéré au moment du diagnostic clinique vers une grabatisation des patients au stade tardif. Elle nécessite une prise en charge spécifique de plus en plus lourde au fur et à mesure que la maladie progresse. Pour plus d'informations sur la maladie de Huntington, l'Association Huntington France : <https://huntington.fr/association/#>

Contact presse :

Florence Portejoie

FP2COM

fportejoie@fp2com.fr

06 07 76 82 83

¹ <https://www.inserm.fr/actualite/maladie-de-huntington-des-defauts-de-croissance-des-neurones-a-lorigine-danomalies-precoces/#:~:text=La%20maladie%20de%20Huntington%20est%20une%20maladie%20héréditaire%20rare%20du,moteurs%20-%20s%27aggravent%20progressivement.>

² Rosenblatt 2007