

Axoltis Pharma annonce les premiers résultats de son essai de phase 2 de NX210c dans la Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA)

- **L'analyse post-hoc montre un ralentissement notable du déclin fonctionnel mesuré par l'échelle ALSFRS-R par rapport au placebo à 6 semaines et maintenu à 4 mois**
- **L'engagement de la cible est confirmé par une baisse significative du taux de claudine-5 plasmatique, indiquant un processus de restauration de la barrière hémato-encéphalique**
- **Un bon profil de sécurité et de tolérance est observé chez les patients atteints de SLA**
- **Une présentation détaillée des résultats aura lieu le 15 novembre prochain lors de « Neuroscience 2026 », le congrès annuel de la Society for Neuroscience à Washington (USA)**
- **Ces résultats soutiennent les prochaines étapes du développement clinique de NX210c**

Lyon et Clermont-Ferrand, France, le 15 septembre 2026 – Axoltis Pharma, société de biotechnologie spécialisée dans le développement de traitements innovants contre les maladies neurodégénératives, annonce aujourd'hui les premiers résultats de SEALS, son essai clinique de phase 2 qui vise à évaluer l'effet de NX210c sur des patients atteints de Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA) ou maladie de Charcot. Ce candidat-médicament présente trois propriétés pertinentes pour le traitement des maladies neurodégénératives : la restauration de la barrière hémato-encéphalique (BHE), la neuroprotection et l'amélioration de la neurotransmission.

Entre octobre 2024 et octobre 2025, 82 patients atteints de SLA, répartis sur 16 sites hospitaliers français, ont été recrutés dans le cadre de cette étude. Les patients ont été stratifiés en fonction de leur concentration sérique en neurofilaments à chaîne légère (NfL), faible ou élevée, puis répartis en trois groupes (3:3:2) pour recevoir soit 5 mg/kg de NX210c, soit 10 mg/kg, soit un placebo, administré en 10 minutes par voie intraveineuse, trois fois par semaine pendant 4 semaines.

Le critère principal évaluait la variation à 6 semaines du taux de NfL ou du quotient albumine (rapport entre l'albumine présente dans le liquide céphalo-rachidien et celle présente dans le sang, aussi appelé Qalb). Bien que celui-ci ne soit pas atteint, un faisceau de tendances positives a été observé dans les critères d'évaluation secondaires et exploratoires.

Selon les analyses post-hoc, le déclin fonctionnel, évalué par l'échelle harmonisée et révisée d'évaluation fonctionnelle de la SLA (ALSFRS-R), a été notablement ralenti par rapport au groupe placebo (-0,67 point/mois pour le groupe 5 mg/kg, -0,9 pour le groupe 10 mg/kg et -1,14 pour le groupe placebo, soit une réduction moyenne de 41 % pour le groupe 5 mg/kg et de 21 % pour le groupe 10 mg/kg) en semaine 6. Cet effet était systématiquement plus marqué en semaine 10 (-0,77 point/mois pour le groupe 5 mg/kg, -1,06 pour celui à 10 mg/kg et -1,57 pour le groupe placebo, soit une réduction moyenne de 51 % pour la dose 5 mg/kg ($p < 0,05$) et de 32 % pour celle de 10 mg/kg). Cet effet sur le déclin fonctionnel s'est maintenu au 4^e mois (-1,01 point/mois pour le groupe 5 mg/kg, -1,08 pour celui à 10 mg/kg et -1,59 pour le groupe placebo, soit une réduction moyenne de 36 % pour la dose 5 mg/kg et de 32 % pour celle de 10 mg/kg).

Des bénéfices ont été observés en particulier au niveau de la sous-échelle dédiée aux fonctions motrices, avec une réduction moyenne du déclin d'environ 64 % pour la dose 5 mg/kg ($p < 0,05$) et de 33 % pour la dose 10 mg/kg en semaines 6 et 10, bénéfices toujours visibles au 4^e mois avec une réduction moyenne de 42 % pour la dose 5 mg/kg et de 18 % pour la dose 10 mg/kg. Le déclin de la fonction respiratoire était également considérablement freiné en semaine 10, avec une réduction moyenne de 59 % pour la dose 5 mg/kg et de 91 % pour celle de 10 mg/kg ($p = 0,066$), mais aussi au 4^e mois, avec une baisse moyenne de 53 % pour la dose 5 mg/kg et de 84 % pour celle de 10 mg/kg ($p < 0,05$).

En semaine 6, une tendance à un effet-dose a commencé à être observée avec le taux de NfL sérique, qui s'est avérée plus marquée au 4^e mois. Au cours de ce mois, 25,4 % des patients des groupes recevant la dose active ont ainsi présenté une diminution du taux de NfL de plus de 10 % par rapport au début du traitement, contre seulement 11,8 % des patients du groupe placebo.

Par rapport au début du traitement, la variation de claudine-5 plasmatique a été significativement réduite ($p < 0,001$) dans le groupe traité avec 10 mg/kg, par rapport au groupe placebo, avec un effet-dose. Cet effet s'est maintenu au 4^e mois ($p = 0,069$ pour le groupe 10 mg/kg). La claudine-5, une protéine transmembranaire des jonctions serrées, est exprimée principalement dans les cellules endothéliales neurovasculaires ; elle joue un rôle clé dans le maintien de la BHE. Elle est libérée dans la circulation sanguine en cas de dysfonctionnement de cette dernière. Par conséquent, une diminution de la concentration plasmatique de claudine-5 est un bon indicateur du processus de restauration de la BHE.

L'essai SEALS a permis de confirmer le bon profil de sécurité et de tolérance de NX210c chez les patients atteints de SLA. Les paramètres pharmacologiques étaient comparables à ceux observés [lors de la phase 1](#).

« Ces résultats prometteurs contribuent à démontrer que NX210c présente des propriétés bénéfiques pour le traitement des maladies neurodégénératives, en particulier la SLA et soutiennent la poursuite du développement clinique. Nous tenons à remercier tous les patients qui ont participé à l'étude SEALS, leurs aidants, les investigateurs et leur équipe, les prestataires de services ainsi que notre équipe », indique le Dr Annette Janus, neurologue et directrice médicale chez Axoltis Pharma.

« L'effet constaté sur la réduction du taux de claudine-5 ouvre de nouvelles perspectives pour NX210c dans le traitement d'un grand nombre de pathologies associées à un dysfonctionnement de la BHE, parmi lesquelles la maladie d'Alzheimer, de Parkinson ou encore la sclérose en plaques », ajoute Yann Godfrin, président du directoire d'Axoltis.

Axoltis étudie actuellement les prochaines étapes cliniques pour NX210c dans le traitement de la SLA. Des analyses complémentaires sont en cours, notamment un suivi des patients sur 10 mois et l'étude de la relation PKPD, afin de déterminer le schéma thérapeutique optimal en termes de fréquence d'administration pour maintenir les effets cliniques constatés.

Ces résultats seront présentés en détail durant [Neuroscience 2026](#), le congrès annuel de la Society for Neuroscience, qui se tiendra à Washington DC (États-Unis), du 14 au 18 novembre.

« Ces résultats constituent une étape importante pour Axoltis et représentent une base solide pour les prochaines phases du développement clinique », ajoute le Dr Gilles Avenard, président du Conseil de Surveillance d'Axoltis. « Nous allons échanger avec les autorités de santé afin de définir un plan de développement optimisé et déterminer les prochaines étapes les plus appropriées. »

« La mise en œuvre de l'essai SEALS a été un vrai succès grâce aux réseaux FILSLAN (Filière de Santé Maladies Rares SLA et Maladies du Neurone Moteur) et ACT4ALS/MND, au soutien précieux de l'ARSLA, des Invincibles, de la Fondation suisse contre la SLA, de la région Auvergne-Rhône-Alpes et de Bpifrance, ainsi qu'à l'appui de nos investisseurs. Nous leur en sommes profondément reconnaissants », souligne le Dr Godfrin.

A propos de NX210c

Axoltis développe NX210c, un peptide cyclique de 12 acides aminés synthétisé à partir de la séquence la plus conservée et répétée de la SCO-Spondin, une glycoprotéine essentielle au développement du système nerveux central durant l'embryogénèse. NX210c est un candidat-médicament innovant pour les maladies neurodégénératives ou traumatiques, avec des propriétés de restauration de la barrière hémato-encéphalique, de neuroprotection et d'amélioration de la neurotransmission. NX210c est protégé par huit brevets entièrement détenus par Axoltis, y compris la protection de la composition du produit lui-même qui a été délivré dans plusieurs pays. La FDA et l'EMA ont octroyé la désignation de médicament orphelin pour NX210c dans la SLA. En 2023, les données de sécurité recueillies dans le cadre d'une étude de phase 1b, en escalade de doses répétées, ont montré que le NX210c avait un bon profil de tolérance. Les résultats complets de SEALS, un essai de phase 2 chez des patients atteints de sclérose latérale amyotrophique (SLA ou maladie de Charcot) sont attendus fin 2026.

www.axoltis.com/product

A propos d'Axoltis Pharma

Axoltis Pharma est une société biopharmaceutique française qui développe des traitements innovants pour lutter contre les maladies neurodégénératives ou neurotraumatiques ayant des besoins médicaux non satisfaits.

Basée à Clermont-Ferrand avec des bureaux à Lyon, Axoltis a établi plusieurs partenariats avec des laboratoires universitaires ou privés de renommée internationale afin de développer son produit phare, NX210c. L'équipe dispose d'une grande expérience dans le développement de médicaments, en particulier dans des applications neurologiques.

www.axoltis.com

Contact presse

Andrew Lloyd & Associates

[Juliette Schmitt](#) – [Celine Gonzalez](#)

FR : +33 1 56 54 07 00

Emmanuelle Laplace

Communications Manager

Email: Emmanuelle.laplace.pro@gmail.com
