



DÉVELOPPEMENT PRÉ-CLINIQUE DU PEPTIDE P42, MÉDICAMENT ORPHELIN, CONTRE LA MALADIE DE HUNTINGTON

SANTÉ & BIOTECHNOLOGIES

PI Brevet

PARTENARIAT RECHERCHÉ Start-up et/ou licensing

TECHNOLOGIE Peptide thérapeutique

DEVELOPPEMENT PREVU Lead *in vivo* → Candidat prêt à entrer en préclinique réglementaire

INVENTEURS / LABORATOIRES MMDN : Mécanismes moléculaires dans les démences neurodégénératives
Université de Montpellier, Inserm, CNRS, EPHE

CONTEXTE La maladie de Huntington (MH) est une maladie neurodégénérative génétique et héréditaire se traduisant principalement par une altération profonde et sévère des capacités physiques et intellectuelles (mouvements anormaux et troubles du comportement). Lorsque le gène codant pour la protéine huntingtine (Htt) présente une répétition anormalement grande du triplet CAG, la protéine mutée possède une expansion de polyQ (poly-glutamine) au niveau de sa partie N-terminale. Quand ce domaine excède 35Q, la protéine mutée polyQ-Htt (mHtt) forme des agrégats et une dégénérescence des neurones du striatum est observée.

BÉNÉFICES La MH est une maladie orpheline, rare, qui ne bénéficie aujourd'hui d'aucun traitement efficace acceptable pour les malades.
Ce projet va potentiellement faire émerger un nouveau médicament *First-in-class* efficace contre la MH: le peptide P42. P42 a prouvé son efficacité *in vitro* et *in vivo* dans des modèles animaux, présente un mécanisme d'action original et unique et a obtenu le statut de « Médicament Orphelin ». Un des avantages supplémentaires de ce projet est de pouvoir proposer un nouveau biomarqueur d'efficacité (pour la préclinique et la clinique), un besoin également clairement identifié par les médecins notamment lors des phases cliniques.

APPLICATIONS Primaire : Maladie de Huntington
Secondaire: autres maladies neurodégénératives et dépression (de part l'activité neuroprotectrice de P42)