



Communiqué de Presse

Nîmes, le 12 mai 2025

Nouvelles perspectives pour le traitement de la Sclérose Latérale Amyotrophique (Maladie de Charcot) *Publication des résultats de l'essai clinique Européen Amyotrophique MIROCALS dans le journal The Lancet*

Les résultats de l'essai clinique MIROCALS (Modifying Immune Responses and Outcomes in ALS) sont publiés aujourd'hui dans le journal *The Lancet* [ici](#). Cette étude pionnière évalue l'efficacité et la sécurité de faibles doses d'interleukine-2 (IL2_{LD}) pour le traitement de la Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA), également connue sous le nom de Maladie de Charcot.

L'essai a démontré que l'IL2_{LD} est bien tolérée comparativement au placebo. L'analyse principale de la survie montre une différence non significative ; néanmoins, une analyse pré-planifiée tenant compte de la complexité de la SLA révèle un bénéfice de survie statistiquement significatif chez environ 80 % des participants qui présentaient dans le liquide céphalo-rachidien (LCR) des niveaux plus faibles d'un biomarqueur lié au degré d'atteinte des neurones moteurs (neurofilaments phosphorylés à chaînes lourdes - pNFH). Chez ces personnes, le risque de décès à la fin de l'étude a été réduit de plus de 40 %.

Ces résultats fournissent des preuves encourageantes que la modification du système immunitaire pourrait être une stratégie efficace pour limiter la progression de la SLA. Bien que l'IL2_{LD} ne soit actuellement pas autorisée dans le traitement de la SLA, les résultats de MIROCALS justifient la poursuite du développement et la réalisation d'essais de plus grande ampleur (phase 3) pour confirmer son efficacité.

L'essai MIROCALS

Entre 2017 et 2019, l'essai MIROCALS a recruté 220 participants nouvellement diagnostiqués avec la SLA, d'abord traités par riluzole (traitement standard de la SLA), avant d'être randomisés pour recevoir soit de l'IL2_{LD}, soit un placebo pendant 18 mois en plus du riluzole. L'essai était en double aveugle afin que ni les participants, ni les investigateurs ne sachent quel traitement était administré. Pendant l'essai, la tolérance et le retentissement fonctionnel au quotidien ont été évalués. Étant donné l'évolution fatale de la SLA, le critère principal d'évaluation de l'effet de l'IL2_{LD} à la fin de l'essai était la survie.

Le projet MIROCALS, promu par le Centre Hospitalier Universitaire de Nîmes (France), a été coordonné par le Dr Gilbert Bensimon (Centre Hospitalier Universitaire de Nîmes, Sorbonne Université, et Assistance Publique-Hôpitaux de Paris), et le Professeur Peter Nigel Leigh (Universités de Brighton et du Sussex). Le Consortium Européen regroupait des institutions de recherche universitaires prestigieuses, des établissements publics de santé et des entreprises privées, en France, au Royaume-Uni, en Italie, Suède et Irlande. Le partenariat incluait des chercheurs du Centre Hospitalier

Contacts presse

Michaël VIDEMENT – Directeur de la communication et des affaires culturelles
06 61 43 28 12 / michael.videment@chu-nimes.fr

Direction de la communication et des affaires culturelles
04 66 68 33 04 / direction.communication@chu-nimes.fr

Universitaire de Nîmes, de l'Assistance Publique-Hôpitaux de Paris, des Universités de Brighton et du Sussex (BSMS), du King's College London, de Queen Mary University of London, de l'Université de Sheffield, de l'Institut Humanitas Mirasole de Milan et de l'Université de Göteborg, avec l'expertise de la banque d'ADN de Généthon et des partenaires privés WGK Ltd et ICON plc. L'essai thérapeutique s'est déroulé dans des centres spécialisés dans la prise en charge de la SLA (7 au Royaume-Uni et 10 en France).

Financé par l'appel à projets [Personalising health and care du programme Horizon 2020](#) de la Commission Européenne et par le Programme Hospitalier pour la Recherche Clinique (PHRC, Ministère français de la Santé et de l'Accès aux Soins) ainsi que par les contributions de plusieurs organisations caritatives britanniques et françaises (avec notamment la Motor Neurone Disease Association (MND) et l'Association pour la recherche sur la SLA (ARSLA), l'essai visait à explorer le potentiel de l'interleukine-2 comme traitement pour la SLA.

L'interleukine-2 est une molécule connue pour réguler le système immunitaire humain. Le médicament utilisé dans l'essai, l'aldesleukine, est une protéine synthétique analogue à l'interleukine-2 humaine qui a été utilisée à fortes doses dans certains cancers. L'administration de faibles doses d'interleukine-2 (IL2_{LD}) en revanche permet de diminuer l'inflammation, en favorisant l'augmentation d'un type de globules blancs, appelés cellules T régulatrices (Tregs), dans le sang. Le Dr Gilbert Bensimon, coordinateur et investigateur principal de l'étude MIROCALS, a déclaré : « La SLA est une maladie complexe. Les résultats encourageants de l'essai MIROCALS représentent une étape significative vers la conception d'essais prenant mieux en compte la complexité de la maladie, accélérant le développement de nouveaux traitements pour la SLA. Il est important de noter que l'IL2_{LD} a été bien tolérée pendant une longue période. Nos résultats soulignent l'importance du système immunitaire comme cible pour les traitements visant à ralentir la progression de cette maladie dévastatrice. »

Le Professeur Peter Nigel Leigh, investigateur en chef et co-coordonateur de l'étude MIROCALS, et professeur de Neurologie à la BSMS, a ajouté : « Cet essai fournit des preuves très prometteuses que l'IL2_{LD} bénéficie aux personnes atteintes de SLA. Les données, les échantillons de sang et de LCR des personnes qui ont généreusement participé à l'essai sont maintenant utilisés pour approfondir notre compréhension de la SLA et aider au développement de nouvelles thérapies qui peuvent encore davantage ralentir la progression de la maladie et améliorer la vie des personnes vivant avec la SLA. Nous sommes extrêmement reconnaissants envers la (MND), la fondation MyName's Doddie, la MND Scotland, l'AFM-Téléthon France, et l'ARSLA qui ont contribué au déroulement de l'étude et aux travaux en cours ».

Perspectives

Les données de l'essai MIROCALS ont été concédées sous licence exclusive à une société française, ILTOO Pharma. ILTOO Pharma est une société pharmaceutique spécialisée dans l'utilisation d'IL-2 à faibles doses pour le traitement des maladies neuro-inflammatoires et auto-immunes. ILTOO Pharma évalue le potentiel d'un agrément réglementaire et d'essais cliniques complémentaires pour confirmer l'efficacité d'IL-2 à faibles doses et optimiser les programmes de traitement.

Contacts presse

Michaël VIDEMENT – Directeur de la communication et des affaires culturelles
06 61 43 28 12 / michael.videment@chu-nimes.fr

Direction de la communication et des affaires culturelles
04 66 68 33 04 / direction.communication@chu-nimes.fr

À propos de la Sclérose latérale amyotrophique (SLA) / maladie des neurones moteurs (MNM)

La SLA affecte simultanément environ 45 000 personnes à travers l'Europe. Elle attaque les nerfs qui contrôlent le mouvement (nerfs moteurs) de sorte que les muscles ne fonctionnent plus, mais épargne généralement les fonctions sensorielles (vue, ouïe et sensation). La SLA progresse généralement de manière inexorable mais à des rythmes différents selon les personnes. Elle peut à son terme laisser les personnes incapables de bouger, parler et respirer. Environ un quart des personnes atteintes de SLA décèdent dans l'année suivant l'apparition des symptômes et plus de la moitié dans les deux à trois ans suivant le diagnostic. Cependant, certaines personnes atteintes de SLA vivent jusqu'à 10 ans ou plus. Les soins impliquent une prise en charge coordonnée des professionnels de santé et des services sociaux, un accompagnement psychologique et émotionnel, ainsi que des conseils et des interventions expertes sur les aides à la communication, la nutrition et les difficultés respiratoires. Bien qu'un médicament, le riluzole, ait démontré une capacité à ralentir légèrement la progression de la maladie, il n'existe toujours pas de remède. La cause fondamentale de la SLA n'est pas encore comprise.

À propos du CHU de Nîmes

*Le Centre Hospitalier Universitaire (CHU) de Nîmes regroupe une communauté hospitalière de 1 397 médecins et 5 963 professionnels non médicaux. Ses missions fondamentales incluent le soin, l'enseignement, la recherche, et la formation. Le CHU de Nîmes est un établissement de référence en matière de recherche clinique, d'innovation et de soins de haute qualité. **Le projet a été subventionné par l'appel à projets intitulé [Personalising health and care du programme Horizon 2020 \(H2020-PHC-2014-2015\)](#) (5 980 435€) et le PHRC National (1 122 429 €).***

Plus d'informations sur www.chu-nimes.fr



Contacts presse

Michaël VIDEMENT – Directeur de la communication et des affaires culturelles
06 61 43 28 12 / michael.videment@chu-nimes.fr

Direction de la communication et des affaires culturelles
04 66 68 33 04 / direction.communication@chu-nimes.fr