



Paris, le 5 septembre 2016

## Obésité génétique rare : les résultats prometteurs d'un essai clinique

L'obésité à carence en POMC (pro-opiomélanocortine) est une maladie orpheline qui a été décrite chez 50 patients à ce jour, bien qu'on estime qu'elle touche entre 100 à 500 personnes dans le monde. Alors qu'il n'existe actuellement aucun traitement spécifique, une publication du *NEJM* rapporte les résultats prometteurs d'un essai clinique de phase 2 qui a conduit à une perte de poids considérable chez les patientes. L'étude réunit des équipes cliniques de l'Hôpital de la Charité à Berlin et de l'Hôpital de la Pitié-Salpêtrière (ICAN), Inserm, Université Pierre et Marie Curie, et une société américaine.

La POMC est une hormone agissant dans le cerveau pour réguler la faim et le poids. Un déficit chez les personnes atteintes entraîne dès la petite enfance une obésité sévère associée à des anomalies endocrinianes (déficit en cortisol et en hormones sexuelles), des cheveux roux et une peau très claire.

Dans cette étude, deux patientes ont été traitées à la setmelanotide, un puissant agoniste du récepteur de mélanocortines MC4R impliqué dans la voie sur laquelle agit la POMC. Avec ce traitement (une injection par jour), la première patiente a perdu 51 kg en 42 semaines et la deuxième 20 kg en 12 semaines. Les niveaux d'insuline très élevés avant le traitement ont considérablement diminué, et les cliniciens ont observé une réduction de la faim, provoquant un grand soulagement chez les patientes.

La setmelanotide apparaît ainsi comme une thérapie efficace pour diminuer le poids et restaurer un appétit normal chez les personnes atteintes d'un déficit en POMC. Alors que ces patientes poursuivent aujourd'hui leur traitement, les investigateurs prévoient des essais cliniques utilisant la setmelanotide dans le traitement d'autres troubles génétiques associées à l'obésité, comme le syndrome de Prader Willi lié à une activité réduite de la POMC et les anomalies du récepteur de la leptine.

## Sources

### **Proopiomelanocortin Deficiency Treated with a Melanocortin-4 Receptor Agonist**

Peter Kühnen, Karine Clément, Susanna Wiegand, Oliver Blankenstein, Keith Gottesdiener, Lea L. Martini, Knut Mai, Ulrike Blume-Peytavi, Annette Grüters, Heiko Krude.

*NEJM*, 21 Juillet 2016

Doi : 10.1056/NEJMoa1512693

## Contact chercheur

**Karine Clément**  
Institut de Cardiometabolism et Nutrition (ICAN)

Unité Inserm/UPMC 1166 « Unité de recherche sur les maladies cardiovasculaires, du métabolisme et de la nutrition »  
01 42 17 79 28  
[karine.clement@psl.aphp.fr](mailto:karine.clement@psl.aphp.fr)

**Contact presse**

[presse@inserm.fr](mailto:presse@inserm.fr)



Accéder à la [salle de presse de l'Inserm](#)