

Santé / nouveaux Traitements / Autisme/ IA/ innovation

**Une première dans l'Autisme : l'Intelligence Artificielle aide à identifier les enfants chez qui la bumétanide pourrait être envisagée comme traitement**

*Alors qu'il n'existe toujours pas de traitement médicamenteux validé pour réduire les principaux symptômes de l'autisme, une étude publiée dans la revue Translational Psychiatry montre que l'intelligence artificielle pourrait changer la donne. En réanalysant, grâce à des algorithmes de machine learning, les données de grands essais cliniques jusqu'ici considérés comme négatifs, les chercheurs montrent qu'en tenant compte de certains profils cliniques, le traitement par bumétanide est significativement plus efficace que le placebo chez 30 à 40 % des enfants. Cette approche innovante ouvre la voie à des essais cliniques plus ciblés, fondés sur la médecine de précision, et fait émerger une nouvelle opportunité thérapeutique dans un domaine jusqu'ici dépourvu de solution médicamenteuse.*



Les troubles du spectre de l'autisme (TSA) concernent aujourd'hui **plus de 1,5 % des enfants**, une proportion qui tend vers **2 %**, selon les données épidémiologiques les plus récentes. Malgré cette prévalence croissante, **aucun traitement médicamenteux n'est à ce jour validé** pour réduire les symptômes centraux de l'autisme chez l'enfant.

**Une nouvelle étude fruit d'une collaboration entre Neurochlore**, société de recherche dédiée aux troubles du spectre de l'autisme, et **B&A Biomedical**, spécialisée dans l'analyse de données cliniques par intelligence artificielle, et **publiée dans la revue Translational Psychiatry**, apporte aujourd'hui un **éclairage inédit** sur l'évaluation des traitements de l'autisme. Grâce à l'intelligence artificielle, les

chercheurs montrent que **30 à 40 % des enfants inclus dans de grands essais cliniques pourtant considérés comme négatifs** présentaient en réalité une **amélioration significative de leurs troubles**.

**Pourquoi les essais cliniques échouent-ils dans l'autisme ?**

L'autisme recouvre un **ensemble de troubles, avec une grande hétérogénéité des profils**. Chaque enfant présente une combinaison différente de symptômes, pouvant affecter, à des degrés variables, ses interactions sociales, sa communication, son comportement et son adaptation, ainsi que sa sensibilité et sa façon de réagir aux stimulations sensorielles

Pour évaluer un traitement potentiel de l'autisme, la recherche s'appuie sur **des échelles cliniques standardisées**, telles que la CARS ou la SRS, qui reposent sur **l'évaluation de nombreux paramètres** cognitifs et comportementaux. L'efficacité est généralement estimée en **comparant les scores moyens** obtenus sur ces échelles entre un groupe traité et un groupe contrôle (placebo). Toutefois, **les bénéfices** thérapeutiques observés chez certains patients peuvent être dilués, voire **passer inaperçus, lorsqu'ils sont analysés à l'échelle de l'ensemble des patients étudiés**, en raison de la grande hétérogénéité clinique de l'autisme, qui se traduit par des réponses très variables d'un individu à l'autre.

« L'échec d'un essai clinique ne signifie pas forcément que le traitement est inefficace. Il peut simplement refléter l'extrême diversité des profils cliniques dans l'autisme », explique le **Pr Yehezkel Ben-Ari**, neurobiologiste, auteur correspondant de l'étude.

**Le cas du bumétanide : des résultats positifs... puis un échec**

Le Pr Ben-Ari et le Dr Éric Lemonnier ont montré que le **bumétanide** (un médicament déjà utilisé pour d'autres indications) pouvait **réduire la sévérité de certains symptômes de l'autisme**. Ces résultats ont été **confirmés dans plusieurs essais cliniques de phase 2** portant au total sur **plus de 1 030 enfants traités dans le monde**. Mais deux

**grands essais cliniques de phase 3**, menés chez des enfants de **2 à 17 ans** sur une durée de six mois, dans près de **cinquante centres** répartis dans **treize pays** en Europe, en Australie et au Brésil, n'ont pas pu confirmer ces résultats.

### L'intelligence artificielle change la lecture des données

Face à cette contradiction entre les résultats des phases 2 et 3, les chercheurs ont repris **l'intégralité des données brutes** issues des essais de phase 3, mais avec une **approche radicalement différente**. Au lieu de considérer l'ensemble des participants comme un groupe homogène, ils ont utilisé un algorithme d'intelligence artificielle (Q-Finder) capable **de classer les participants en sous-groupes et d'examiner la réponse clinique au traitement de chacun des sous-groupes**. Résultat : L'analyse révèle que, **chez 30 à 40 % des enfants** inclus dans ces essais de phase 3, **le traitement par bumétanide présente une efficacité significative** par rapport au groupe contrôle, des effets qui n'apparaissaient pas dans l'analyse globale.

*« Nos résultats confirment une idée simple : le même traitement ne peut pas fonctionner chez tous les enfants autistes. Il faut identifier, dès le départ, les profils cliniques qui peuvent en bénéficier »,* souligne le Pr Ben-Ari.

### Quels enfants pourraient bénéficier du traitement ?

L'étude montre que les enfants autistes susceptibles de mieux répondre au traitement partagent **certaines caractéristiques cliniques identifiables**, déjà observées lors des consultations. Ils présentent notamment :

- **Une difficulté modérée à s'adapter aux changements**, par exemple lorsqu'un imprévu perturbe l'organisation de leur journée ;
- **Des comportements répétitifs**, qui peuvent inclure le besoin de routines, de répétitions ou de repères stables pour se sentir en sécurité ;
- **Des difficultés sociales marquées**, telles qu'une interaction limitée avec les autres enfants, une communication sociale difficile ou une tendance au repli dans certaines situations.

L'élément clé mis en évidence par l'étude est que **la combinaison de certains traits cliniques précis peut prédire la réponse au traitement**. Ces critères sont déjà utilisés couramment lors des évaluations par les professionnels de santé et **ne nécessitent aucun examen supplémentaire ni test génétique**, mais une lecture plus fine des profils individuel.

### Vers une médecine plus personnalisée de l'autisme

Ces résultats soutiennent une nouvelle approche : **adapter les essais cliniques, et demain les traitements, aux profils des enfants**, plutôt que de rechercher une solution unique pour tous. Pour confirmer ces données et franchir une étape décisive, les chercheurs souhaitent désormais lancer **une nouvelle étude clinique ciblée**, incluant uniquement des enfants présentant les profils identifiés par l'intelligence artificielle.

*« Cette étude de validation est indispensable pour espérer, à terme, proposer le premier traitement médicamenteux destiné à une population clairement identifiée d'enfants autistes »,* précise le Pr Ben-Ari.

### Prochaine étape : une étude de validation

L'équipe est actuellement à la recherche d'un **partenaire industriel ou financier public ou privé** pour soutenir cette phase de validation et le lancement d'une nouvelle étude clinique.

### A retenir

- L'autisme concerne **près de 2 % des enfants**
- Aucun traitement médicamenteux n'est aujourd'hui validé pour ses symptômes centraux
- L'intelligence artificielle révèle qu'en tenant compte de certains profils cliniques, **le traitement par bumétanide est significativement plus efficace** que le placebo chez 30 à 40 % des enfants.
- Une approche personnalisée pourrait ouvrir la voie à un **traitement ciblé pour une population identifiée** d'enfants autistes

## **A propos du Pr Yehezkel Ben-Ari, un pionnier de la neurobiologie**

Neuroscientifique de renommée mondiale, le Pr Yehezkel Ben-Ari est à l'origine de découvertes majeures sur le développement cérébral et les troubles neurologiques. Ancien directeur de l'INSERM U29 à Paris et fondateur de l'Institut Méditerranéen de Neurobiologie (Inmed) à Marseille, il a consacré sa carrière à la compréhension des mécanismes fondamentaux du cerveau et depuis son départ en retraite de l'INSERM, à la mise au point de traitements innovants. Fondateur et PDG de Neurochlore et B&A Biomedical, il œuvre notamment pour le traitement des troubles du spectre autistique et la détection précoce de l'autisme grâce à l'intelligence artificielle. Auteur des livres « Y Ben-Ari - Les 1000 premiers jours ; humensciences 2021 », « Y Ben-Ari, N Hadjikhani & E. Lemonnier - Traiter l'autisme au-delà de la génétique et de la psychanalyse ; De Boeck 2019 » et de plus de 530 publications scientifiques, ses travaux lui ont valu de nombreuses distinctions dont le grand prix INSERM et des fondations US et Européennes de l'épilepsie, et le prix Gagna van Haeck du FNRS de Belgique. IL est aussi Dr HON causae de l'université de Liège et figure parmi les 5 neuroscientifiques Français les plus cités. Ses livres ont aussi été publiés en Anglais. **Plus d'information :** <https://www.babiomedical.com/>

**Contact Presse : EVE'VOTREDIRCOM – 06 62 46 84 82 – [servicepresse@votredircom.fr](mailto:servicepresse@votredircom.fr)**