

# BioPharmAnalyses

N° 115 – 2015  
(15 septembre 2015)

## Innovation Days

a Pharma, Biotech & Medtech Event 2015



La sixième édition des Innovation Days se tiendra à la Cité Internationale Universitaire de Paris les **5 et 6 octobre 2015**. Placées sous le signe de l'*open innovation* et du développement des échanges entre les acteurs de l'innovation, les conférences proposeront une vision à 360° des innovations dans les domaines des biotechnologies, des dispositifs médicaux et de l'e-santé. Une nouvelle plateforme de *partnering* sera lancée pour faciliter les rencontres *BtoB* entre porteurs de projets, industriels et investisseurs et Universal Biotech remettra à cette occasion le Prix de l'Innovation qui récompensera deux lauréats sélectionnés parmi 289 projets issus de 34 pays. Le fil de leurs actualités est disponible sur [Twitter](#) et [LinkedIn](#). Renseignements et inscriptions : <https://www.lifescience-outlook.com/innovationdays/>

### CANCER - ONCOLOGIE

- ◆ **Diag2Tec** ou la médecine de précision pour le myélome multiple
- ◆ Filiale britannique pour **PharmaMar**
- ◆ Nouveau centre de recherche sur le cancer à Cambridge
- ◆ Traitements du myelome multiple autorisés et/ou en développement

### FRANCE

- ◆ **Pluvalca Biotech** : un fonds dédié à la biotech européenne

### PRODUITS

- ◆ Première demande d'AMM pour **Erytech**

### ESSAIS CLINIQUES

- ◆ Premières études de phase 3 pour **Gensight Biologics**

### ACCORDS

- ◆ **Icon** et **Teva** se connectent avec **IBM Watson**

# CANCER - ONCOLOGIE

## ◆ Diag2Tec ou la médecine de précision pour le myélome multiple

Deuxième cancer hématologique le plus répandu après le lymphome non-hodgkinien, le myélome multiple reste aujourd'hui sans traitement définitif malgré l'émergence de nouvelles classes de traitements. Une des difficultés majeures réside en particulier dans l'hétérogénéité de ce cancer, tant au niveau moléculaire qu'au niveau de la réponse des patients aux thérapies disponibles. Alors que ces dernières reposent sur l'utilisation de combinaisons plurichimiothérapeutiques associées à une autogreffe des cellules souches hématopoïétiques, il est fondamental de pouvoir déterminer la sensibilité des cellules tumorales à ces différentes molécules afin de sélectionner le meilleur traitement possible pour chaque patient, notamment au moment de la rechute. En effet, ici, l'hétérogénéité tumorale se traduit par une diversité génétique et épigénétique spécifique des différents sous-clones de cellules malignes, qui est directement impactée par la pression de sélection des traitements. L'identification de profils de traitements personnalisés est ainsi un des services proposés par la toute jeune société montpelliéraine Diag2Tec.

### Des outils pour les industriels et les cliniciens

Créée en juin dernier, Diag2Tec se base sur l'expertise d'une équipe spécialisée dans les cancers hématologiques à l'Institut de Génétique Humaine (IGH) de Montpellier/CHRU Montpellier, qui a développé des outils destinés aux cliniciens et aux industriels de la santé. La société dispose à la fois d'un panel de quarante lignées cellulaires de myélome multiple caractérisées et représentatives de la diversité de cette pathologie cancéreuse, d'un modèle de génération de plasmocytes normaux et d'un modèle biomathématique pour l'identification des signatures de sensibilité/résistance des cellules de myélome multiple à une molécule. C'est à partir de ces différents outils qu'elle propose trois types de services. Diag2Tec a ainsi mis en place un service de validation *in vitro* pour des molécules candidates au traitement du myélome multiple, avec la possibilité de tester leur toxicité, leurs effets sur le cycle cellulaire et sur la mort cellulaire, d'analyser leur mécanisme d'action et de rechercher des biomarqueurs de réponse et d'efficacité. Ici, l'objectif est axé sur la R&D, avec l'identification de cibles, la caractérisation de hits et de leads l'identification de tests diagnostics compagnons. Les deux autres services proposés sont, quant à eux, orientés sur l'identification de profils thérapeutiques personnalisés pour chaque patient et sur la caractérisation des signatures de réponse spécifiques pour un traitement donné. Dans ce dernier cas, les applications concernent à la fois la prédiction de la réponse à un traitement et l'optimisation des essais cliniques grâce à la sélection des cohortes de patients les plus susceptibles de répondre aux thérapies évaluées, mais aussi d'aider le clinicien dans le choix du meilleur traitement destiné aux patients lors de la rechute. « *Notre ambition est de développer une médecine de précision pour le myélome multiple*, explique le pdg de Diag2Tec, Pierre Vidal. *Nous prévoyons aussi de déployer ces services pour d'autres cancers hématologiques, en particulier les lymphomes non hodgkiniens comme les lymphomes B diffus à grandes cellules* ». Diag2Tec compte actuellement cinq personnes et prévoit le recrutement d'un directeur de laboratoire et d'un technicien.

### ◆ Filiale britannique pour PharmaMar

L'espagnol PharmaMar ouvre sa cinquième filiale en Europe. Après l'Allemagne et l'Italie en 2012, la Suisse, et la France l'année dernière, le groupe s'implante maintenant au Royaume-Uni. La nouvelle structure assurera les opérations commerciales du groupe sur le territoire britannique. A la tête d'un portefeuille de molécules anticancéreuses issues d'organismes marins, PharmaMar commercialise déjà en Europe, Yondelis® (trabectedine) autorisé depuis 2007 pour le traitement du sarcome des tissus mous et du cancer des ovaires résistant aux médicaments contenant du platine. Le médicament a obtenu un avis favorable au début du mois pour son autorisation au Japon dans le traitement du sarcome des tissus mous au Japon, tandis que l'avis de la FDA pourrait être délivré d'ici fin 2015 – début 2016. Sa commercialisation sera assurée par Taiho Pharmaceutical au Japon et par Janssen R&D aux Etats-Unis.

### Bientôt un deuxième produit sur le marché ?

Le groupe espagnol prévoit aussi de déposer l'année prochaine la demande d'autorisation de son deuxième produit, Aplidin® (plitidepsine), candidat au traitement du myélome multiple et d'un lymphome à cellules T. PharmaMar a finalisé en juin le recrutement des patients dans une [étude de phase 3](#) dans le myélome multiple. Un nouvel accord de partenariat a aussi été conclu avec l'australien *Specialised Therapeutics Australia* pour la commercialisation du médicament en Australie et en Nouvelle-Zélande. PharmaMar dispose déjà depuis l'année dernière d'un accord de licence avec Chugai Pharmaceutical qui assurera la promotion d'Aplidin® dans huit pays européens (Allemagne, Autriche, Belgique, France, Irlande, Luxembourg, Pays-Bas et Royaume-Uni). Enfin, la société vient de débiter, en Europe et aux Etats-Unis, une étude de [phase 3](#) avec le PM1183 (lurbinectidine) dans le cancer des ovaires. A l'instar de la trabectedine, ce dérivé d'origine marine perturbe la structure de l'ADN, sa fixation sur le petit de sillon génère des adduits à l'origine de la cassure de la molécule double brin, affectant ainsi les processus de réplication et de transcription de l'ADN. Une autre [étude de phase 3](#) a aussi été lancée au début de l'année dans le traitement du cancer des poumons.

### ◆ Nouveau centre de recherche sur le cancer à Cambridge

*Cancer Research UK* et AstraZeneca continuent à tisser des liens étroits avec l'ouverture d'un nouveau laboratoire à Cambridge. Baptisée *CRUK-MEDI Alliance*, cette nouvelle création est le fruit de la collaboration signée l'année dernière pour cinq ans. Dans ce cadre, l'association britannique prend en charge le financement du laboratoire et de son équipement tandis que la branche biologique d'AstraZeneca, MedImmune, assurera la gestion des projets de R&D. Les chercheurs des deux organisations travailleront à la mise en place de projets dédiés au développement de nouveaux traitements et diagnostics à partir des banques combinatoires d'anticorps issues de la technologie du « *phage display* » de MedImmune et de l'expertise de *Cancer Research UK* en biologie des cancers.

Ce nouveau centre s'inscrit dans le cadre d'une longue collaboration entre *Cancer Research UK* et le groupe pharmaceutique. Plusieurs produits d'AstraZeneca sont notamment pris en charge par le programme *Clinical Development Partnerships* (CDP) de l'organisation britannique qui prend en charge les phases cliniques précoces de produits qui, autrement, n'auraient pas été développés par l'industrie pharmaceutique. Le groupe britannique s'est aussi associé à l'initiative lancée par *Cancer Research UK* en 2014 pour la mise en place de programmes cliniques de médecine stratifiée. Une première étude baptisée « *National Lung Matrix* » est actuellement en phase de recrutement pour l'inclusion de patients atteints de cancer des poumons à un stade avancé. Cette étude conduite par le professeur Gary Middleton en association avec l'équipe *Early Drug Development* de l'unité clinique de *Cancer Research UK* à Birmingham prévoit l'identification des mutations présentes à partir de la réalisation du profil génétique des tumeurs pulmonaires. Les données ainsi recueillies serviront à déterminer des petits sous-groupes de patients susceptibles de bénéficier des thérapies ciblées incluses dans cette étude.

## ◆ TRAITEMENTS DU MYELOME MULTIPLE AUTORISES ET/OU EN DEVELOPPEMENT

L'actualité du traitement du myélome multiple a enregistré une série de progressions ces derniers mois. Début septembre, Farydak® (panabinostat), inhibiteur d'histone déacétylase de Novartis a obtenu une AMM en Europe. Au début de l'année, c'est le Revlimid® de Celgene qui a obtenu une extension de ses indications en Europe et aux Etats-Unis pour le traitement du myélome multiple en première intention.

L'ixazomib de Takeda s'est vu accordé cet été un statut d'évaluation accélérée en Europe et aux Etats-Unis, tandis que l'elotuzumab de BMS et Abbvie a obtenu une évaluation prioritaire aux Etats-Unis. Enfin, la demande d'autorisation du daratumumab de Janssen R&D et Genmab vient d'être déposée aux Etats-Unis. Une occasion pour faire un point sur quelques uns des principaux produits en cours de développement pour le traitement du myélome multiple.

Molécule	Laboratoire	Stade de développement	Statut d'orphelin	AMM en Europe	AMM aux Etats-Unis
<b>INHIBITEUR DE PROTEASOME</b>					
Velcade® (bortezomib)	J&J (USA)	-	-	26/04/2004	23/06/2008
<a href="#">Ixazomib</a> (MLN9708) 2,2'-{2-[(1R)-1-({[(2,5-dichlorobenzoyl)amino]acetyl}amino)-3-methylbutyl]-5-oxo-1,3,2-dioxaborolane-4,4-diyl}diacetic acid	Takeda (Japon)	-	27/09/09 EU 18/02/11 US	Statut d'évaluation accélérée accordé en août 2015	Statut d'évaluation prioritaire accordé en septembre 2015
<a href="#">Carfilzomib</a> (Kyprolis®) Après deux rechutes de myélome	Amgen - Onyx Pharmaceuticals (USA)	-	18/01/08 US 03/06/08 EU	-	20/07/2012
<a href="#">Carfilzomib</a> Après une rechute de myélome	Amgen - Onyx Pharmaceuticals (USA)	3	18/01/08 US 03/08/08 EU	En cours d'évaluation	En cours d'évaluation
<a href="#">Marizomib</a> (NPI-0052)	Triphase Accelerator Corporation (USA)	2	03/12/13 US 22/08/14 EU	-	-
<a href="#">Oprozomib</a>	Amgen - Onyx Pharmaceuticals (USA)	1b-2 (NCT01832727, NCT01999333, NCT02072863)	28/10/14 US	-	-
<a href="#">VLX1570</a>	Vivolux (USA-Suède)	2 (NCT02372240)	-	-	-
<b>AGENT ALKYLANT</b>					
<a href="#">Evolatm</a> (melphalan)	Spectrum Pharmaceuticals (USA)	-	-	-	En cours d'évaluation
<a href="#">Melflufen</a> (melphalan-flufenamide)	Oncopeptides (Suède)	1-2 (NCT01897714)	19/03/2015 US	-	-
<a href="#">evofosfamide</a> (TH-302)	Threshold Pharmaceuticals (USA)	1-2 (NCT01522872)	-	-	-

<b>IMMUNOMODULATEURS</b>					
<a href="#">Revlimid®</a> (lenalidomide)	Celgene (USA)	-	20/09/2001 US 12/12/2003 et 08/03/2004 EU	14/06/2007 (chez patients déjà traités)  20/02/2015 (en première intention)	29/06/2006 (chez patients déjà traités)  18/02/2015 (en première intention)
<a href="#">Imnovid®/Pomalist®</a> (pomalidomide)	Celgene (USA)		15/01/2003 EU 08/10/2009 US	09/08/2013	08/02/2013
<b>INHIBITEUR DE MDM2</b>					
AMG 232	Amgen (USA)	1 (NCT01723020)	-	-	-
<b>INHIBITEUR DES KINASES DEPENDANTES DES CYCLINES (CDK)</b>					
AT7519	Astex Pharmaceuticals (USA) – filiale d'Otsuka (Japon)	2 (NCT01183949)	-	-	-
TG02	Tragara Pharmaceuticals (USA)	1 (NCT01204164)	-	-	-
<b>INHIBITEUR DE PAM KINASE</b>					
PIM447/LGH447	Novartis (Suisse)	1-2	-	-	-
<b>PEPTIDES</b>					
BB-MPI-03	Benovus Bio (USA)	1 (NCT02240537)	-	-	-
Aplidin® <a href="#">Plitidepsine</a>	PharmaMar (Espagne)	3 (NCT01102426)	16/11/2004 EU 30/09/2004 US	Dépôt demande d'autorisation prévu en 2016	
PVX-410	OncoPep (USA)	1-2	23/06/2013 US	-	-
<a href="#">ImMucin</a> – peptide signal de l'antigène MUC1	Vaxil Biotherapeutics (Israël)	1-2 (NCT01232712)	16/06/2015 US 15/01/2015 EU	-	-
<b>INHIBITEURS D'ATPase</b>					
<a href="#">CB-5083</a> - 1-(4-(benzylamino)- 7,8-dihydro-5H-pyrano[4,3- d]pyrimidin-2-yl)-2-methyl-1H- indole-4-carboxamide	Cleave Biosciences (USA)	1 (NCT02223598)	08/07/2015 US	-	-
<b>INHIBITEUR DE PROTEINE A BROMODOMAINE</b>					
CPI-0610	Constellation Pharmaceuticals (USA)	1 (NCT02157636)	-	-	-

<b>INHIBITEUR DE LA PROTEINE DKK1 (DICKKOPF-1)</b>					
DKN-01	Healthcare Pharmaceuticals (USA)	1-2 (NCT01711671)	-	-	-
<b>INHIBITEUR D'HISTONE DEACETYLASE</b>					
<a href="#">Farydak®</a> (LBH589) panobinostat	Novartis (Suisse)	-	20-08-2012 US 11-08-2012 EU	28/08/2015	23/02/2015
<a href="#">Ricolinostat</a> (ACY-1215)	Acetylon Pharmaceuticals (USA)	2 (NCT01997840)	-	-	-
vorinostat	Merck&Co (USA)	Indication abandonnée	12/06/2003 US		
<b>INHIBITEUR D'HISTONE DEACETYLASE ET DE PHOSPHOINOSITIDE 3-KINASE</b>					
CUDC-907	Curis (USA)	1 (NCT01742988)	-	-	-
<b>INHIBITEUR DE JANUS KINASE 2</b>					
Jakavi® (ruxolitinib)	Novartis (Suisse)	2 (NCT0063900) 1-2 en combinaison avec carfilzomib (Kyprolis™) (NCT01962792)	-	-	-
<b>INHIBITEUR DE Bcl2</b>					
Venetoclax	Abbvie (USA)	1 (NCT02265731)	-	-	-
<b>INHIBITEUR DE PHOSPHOINOSITIDE 3-KINASE</b>					
Alpelisib	Novartis (Suisse)	2	-	-	-
<b>INHIBITEUR D'HEPARANASE</b>					
<a href="#">SST0001 (Roneparstat)</a>	Sigma Tau Research (Suisse)	1 (NCT01764880)	19-03-2015 US 21-05-2015 UE	-	-
<b>INHIBITEUR DE KINESINE KSP</b>					
Filanesib - ARRY-520	Array Biopharma (USA)	2 (NCT02092922, NCT01989325 et NCT01372540)	06/05/2014 US	-	-
<b>INHIBITEUR DE HSP90</b>					
ganetespiib	Synta Pharmaceuticals	1 (NCT01485835)	-	-	-

	(USA)				
<b>INHIBITEUR SELECTIF DE L'EXPORT NUCLEAIRE</b>					
<a href="#">Selinexor</a>	Karyopharm Therapeutics (USA)	1-2 (NCT02343042)	(05/01/2015 US)	-	-
<b>INHIBITEUR DU RECEPTEUR DU FACTEUR DE CROISSANCE DES FIBROBLASTES</b>					
TAS-120	Taiho Oncology (USA – Japon)	1 (NCT02052778)	-	-	-
<b>RADIOPHARMACEUTIQUE</b>					
<a href="#">I-131-CLR1404</a>	Collectar Biosciences (USA)	1b (NCT02278315)	03/12/2014 US	-	-
<b>ANTICORPS MONOCLONAL</b>					
<a href="#">daratumumab</a>  statut de <i>Breakthrough therapy</i> et évaluation prioritaire	Janssen R&D (USA) Genmab (Denmark)		06/05/2013 US 17/07/2013 EU  -	-	Demande d'autorisation soumise en septembre 2015
<a href="#">Emplicit®</a> (elotuzumab) statut de <i>Breakthrough therapy</i> et évaluation prioritaire	BMS et Abbvie (USA)		(01/09/2011 US) (08/09/2012 EU)		Statut d'évaluation prioritaire accordé le 01/09/2015
<a href="#">Elotuzumab et lirilumab</a>	BMS (USA)/ Innate Pharma (France)	1	-	-	-
<a href="#">Elotuzumab et urelumab</a>	BMS (USA)	1	-	-	-
<a href="#">Isatuximab</a> (SAR 650984)	Sanofi (France)	2	22/05/2014 US 29/04/2014 UE	-	-
<a href="#">Sylvant®</a> (siltuximab) anticorps dirigé contre l'interleukine 6	Janssen R&D (USA)	2 (NCT01484275)	11/10/2005 US	-	-
Ficlatuzumab (AV-299) anticorps dirigé contre le facteur de croissance des hépatocytes)	Aveo Pharmaceuticals (USA)	1 (NCT00725634)	-	-	-
<a href="#">BI-505</a>	Bioinvent (Suède)	2a	-	-	-
Milatuzumab (anticorps antiCD74)	Immunomedics (USA)	1-2 (NCT01101594)	10/03/2008 US 19/01/2009 UE	-	-
<a href="#">MOR202</a> (anticorps antiCD38)	Morphosys (Allemagne) Celgene (USA)	1-2 (NCT01421186)	-	-	-
<a href="#">PAT-SM6</a>	Patrys (Australie)	<a href="#">1-2</a> ( <a href="#">NCT01727778</a> )	25-10-2013 US 07-10-2013 UE	-	-
Ulocuplumab (BMS-936564 MDX-1338/ anticorps anti-CXCR4	BMS (USA)	1 (NCT01359657)	-	-	-

ANTICORPS CONJUGUE					
<a href="#">Indatuximab ravtansine (BT062)</a>	Biotest Pharmaceuticals (Allemagne)	1-2 (NCT01001442)	03/12/2008 EU	-	-
ABBV-838	Abbvie (USA)	1 (NCT02462525)	-	-	-
THERAPIE CELLULAIRE					
<a href="#">Cellules NY-ESO-1c259</a>	Adaptimmune (RU)	1-2 (NCT01892293)	-	-	-
Cellules T CART-19	Abramson Cancer Center of the University of Pennsylvania (USA)	1	-	-	-
Cellules CART-138	Chinese PLA General Hospital (China)	1-2 (NCT01886976)	-	-	-
<a href="#">Cellules T CAR-NKG2D</a>	Celyad (Belgique)	1	-	-	-
SPIEGELMER					
NOX-A12 (Olaptesed Pegol)	Noxxon Pharma (Allemagne)	2a (NCT01521533)	-	-	-
VIRUS ONCOLYTIQUE					
Reolysin® (pelareorep)	Oncolytics Biotech (Canada)	1b (NCT02514382)	-	-	-

(Liste non exhaustive – Sources : BioPharmAnalyses, FDA, EMA, PhRMA, sites des laboratoires, clinicaltrials.gov)

---

## FRANCE

### ◆ Pluvalca Biotech : un fonds dédié à la biotech européenne

Lancé au début de l'année, Pluvalca Biotech est actuellement un des rares fonds dédiés spécifiquement aux biotech européennes cotées. Celui-ci a été créé à la fin de l'année dernière par la Financière Arbevel, société de gestion financière qui, depuis son rachat par Sébastien Lalevée et Jean-Baptiste Delabarre en 2009, a fortement développé ses encours sous gestion. Parmi les clients de la Financière Arbevel, figurent plusieurs investisseurs institutionnels importants, un fonds souverain étranger et le fonds Emergence qui regroupe quelques uns des principaux assureurs et banquiers français (Aviva, BNP Paribas, CAVP, CNP Assurances, Europlace, MACIF, MATMUT...). La société est ainsi passée de 25 millions d'euros sous gestion en 2009 à un peu moins de 700 millions aujourd'hui, investis dans six OPVCM dont Pluvalca Biotech.



Dans la pratique, Pluvalca Biotech est géré par Sébastien Lalevée et Marc Le Bozec qui sont chargés, pour le premier, de la stratégie d'investissement et, pour le second, de l'identification des entreprises dans lesquelles le fonds va investir. Aujourd'hui, le fonds compte une quarantaine de biotech européennes cotées et a d'ores et déjà participé à des levées secondaires de plusieurs millions d'euros. Son portefeuille est composé pour moitié de sociétés françaises, l'autre moitié se répartissant entre entreprises anglaises, belges, néerlandaises, scandinaves et suisses à hauteur de 40 % et biotech américaines pour 10 %. « *Nous commençons aussi à être démarchés par des sociétés espagnoles et je remarque que les petites entreprises américaines commencent à venir voir les fonds européens* », indique Marc Le Bozec. Néanmoins, un élargissement des activités de Pluvalca Biotech aux Etats-Unis n'est pas à l'ordre du jour. « *Notre volonté est de conserver notre focus européen*, explique le dirigeant. *Aucun autre fonds ne se concentre sur la biotech européenne qui possède pourtant un réservoir de plusieurs centaines d'entreprises émergentes. De plus, le rythme des introductions en Bourse fait que la population de sociétés éligibles va continuer à grandir.* » « *Au-delà de ses perspectives de croissance, investir dans le secteur des biotech permet de profiter de l'optionnalité sur les opérations de M&As. Sur ces opérations, les primes offertes sur les sous jacents cotés sont très attractives,* » ajoute Marc Le Bozec.

---

## PRODUITS

### ◆ Première demande d'AMM pour Erytech

Le français Erytech Pharma vient de franchir une étape majeure avec le dépôt de la première demande d'autorisation de Graspas®/ERY-ASP (asparaginase encapsulée dans des globules rouges) pour le traitement de la leucémie aiguë lymphoblastique. Le dossier à l'Agence européenne du médicament s'appuie sur les données de l'étude [GRASPALL](#) menée chez des enfants et des adultes en situation de rechute de ce cancer hématologique. Ses données indiquent une amélioration de l'activité clinique et de la tolérance par rapport à l'asparaginase native avec une activité de l'asparaginase circulante se maintenant à un niveau supérieur à 100 UI/l pendant 20.5 jours en moyenne contre 9,6 jours en moyenne dans le groupe contrôle ayant reçu la L-asparaginase native. Une amélioration du taux de rémission complète a également été observée. Les données présentées en juin dernier à l'ASCO par le professeur Yves Bertrand montrent une rémission complète chez 65 % des patients du bras Graspas® contre 39 % dans le bras contrôle.

---

## ESSAIS CLINIQUES

### ◆ Premières études de phase 3 pour Gensight Biologics

GenSight Biologics, société française dédiée aux applications de la thérapie génique dans le domaine de l'ophtalmologie, se prépare à lancer ses premières études de phase 3 aux Etats-Unis et en Europe. La FDA vient d'accepter sa demande d'autorisation pour la réalisation de deux essais avec son produit de thérapie génique pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (LHON), le GS010. Une demande d'autorisation est également en cours dans plusieurs pays européens.

## Une premier patient d'ici fin 2015

Alors que la neuropathie optique héréditaire de Leber est une maladie héréditaire provoquée par des mutations de l'ADN mitochondrial, le GS010 cible la LHON induite par la mutation du gène ND4 (NADH déshydrogénase 4). Il a été développé à partir de la plate-forme propriétaire de Gensight Biologics qui permet d'acheminer les protéines mitochondriales manquantes à l'intérieur de cet organe et de restaurer ainsi leur fonction. Avec les deux études programmées RESCUE et REVERSE, l'objectif est de démontrer l'efficacité d'une injection intravitréenne unique de GS010 (rAAV2/2-ND4) chez des sujets ayant subi une perte d'acuité visuelle depuis moins d'un an. Les deux études menées en parallèle incluront des patients présentant une perte d'acuité visuelle ne dépassant pas 6 mois, et comprise entre 6 et 12 mois respectivement. Chacune des études prévoit d'impliquer 36 patients dans un total de sept centres (un en France, Allemagne, Italie et au Royaume-Uni et trois aux Etats-Unis), avec une première inclusion d'ici la fin de cette année. Localisée au sein de l'Institut de la Vision à Paris, Gensight Biologics compte parmi ses fondateurs l'ancien pdg de Fovea Pharmaceuticals, Bernard Gilly, le professeur José-Alain Sahel, directeur de l'Institut de la Vision, Jean Bennett professeur d'ophtalmologie à l'université de Pennsylvanie, Connie Cepko, professeur de génétique à Harvard, Ernst Bamberg du Max Planck Institute de Francfort, Luk Vandenberghe du Schepens Eye Research Institute de Boston et Serge Picaud de l'Institut de la Vision.

---

## ACCORDS

### ◆ Icon et Teva se connectent avec IBM Watson

Après Google et Sanofi contre le diabète, c'est maintenant au tour d'IBM d'annoncer deux partenariats majeurs pour les applications de la big data et de l'intelligence artificielle dans les domaines de la santé (*BioPharmAnalyses* n°114). Le premier accord signé avec Teva va permettre au groupe pharmaceutique israélien d'accéder à la plateforme Watson Health Cloud d'IBM pour le développement d'outils et de services destinés à l'assistance aux patients atteints de pathologies chroniques et/ou de pathologies lourdes (asthme, douleur, maladies neurodégénératives...). Ce partenariat prévoit aussi la constitution d'une équipe commune associant des personnels de Teva et d'IBM pour la mise au point de nouvelles applications pour la création de modèles des maladies et l'élaboration de nouvelles solutions thérapeutiques. Parallèlement, une des principales CRO américaines, le groupe Icon a lui aussi choisi de faire appel aux solutions d'IBM Watson pour accélérer la mise en place de ses études cliniques. Ici, l'objectif est de réduire le coût des essais et d'accélérer leur lancement avec l'outil *Watson Clinical Trial Matching* d'IBM pour le recrutement des patients. Cette solution qui permet un accès aux données anonymisées peut permettre de déterminer en temps réel si un patient répond aux critères d'inclusion dans une étude. Les premières applications prévues concernent des essais dans le cancer colorectal, le cancer du sein et le cancer des poumons.

© *BioPharmAnalyses*. La newsletter *BioPharmAnalyses* est réalisée par Anne-Lise Berthier. Toute copie, diffusion, distribution, reproduction partielle ou totale de cette lettre d'information sont interdites sans accord préalable de la direction de la publication. Pour ne plus recevoir cette newsletter, vous pouvez adresser un mail à [alb@biopharmanalyses.fr](mailto:alb@biopharmanalyses.fr)/ ou à [anneliseberthier@yahoo.fr](mailto:anneliseberthier@yahoo.fr) avec la mention Unsubscribe dans l'objet du message.



## Bulletin d'abonnement

◆ Je m'abonne à la newsletter hebdomadaire de *BioPharmAnalyses*   
au tarif de 500 € HT (600 € TTC) /abonnement/an (44 numéros par an en français et en anglais)

\*Abonnements groupés possibles : nous contacter à [alb@biopharmanalyses.fr](mailto:alb@biopharmanalyses.fr)

### Vos références et adresses de facturation

Nom : ..... Prénom : .....

Société : ..... Fonction : .....

Adresse : .....

Tél : ..... Email : .....

◆ Je m'abonne à la newsletter hebdomadaire ET à l'intégralité du site *BioPharmAnalyses*   
au tarif de 1 000 € HT (1200 € TTC) pour 1 abonnement/an

\*Abonnements groupés possibles : nous contacter à [alb@biopharmanalyses.fr](mailto:alb@biopharmanalyses.fr)

### Vos coordonnées pour recevoir vos codes de connexion (à remplir en lettres capitales)

Nom : ..... Prénom : .....

Société : ..... Fonction : .....

Adresse : .....

Tél : ..... Email : .....

◆ J'accepte les conditions générales d'utilisation de *BioPharmAnalyses*

Conditions générales d'utilisation (CGU) : La structure générale du site *BioPharmAnalyses*, ainsi que les textes, graphiques, images, sons et vidéos la composant, sont la propriété de l'éditeur ou de ses partenaires. Toute représentation et/ou reproduction et/ou exploitation partielle ou totale des contenus et services proposés par le site *BioPharmAnalyses*, par quelque procédé que ce soit, sans l'autorisation préalable et par écrit d'Anne-Lise Berthier et/ou de ses partenaires, est strictement interdite et serait susceptible de constituer une contrefaçon au sens des articles L 335-2 et suivants du Code de la propriété intellectuelle. La marque *BioPharmAnalyses* est une marque déposée par Anne-Lise Berthier. Toute représentation et/ou reproduction et/ou exploitation partielle ou totale de ces marques, de quelque nature que ce soit, est totalement prohibée.

### Règlement :

Ci-joint mon chèque à l'ordre de BioPharmAnalyses accompagné du bulletin d'abonnement.

**Bon pour accord**  
(signature et cachet)

Fait le : ...../...../.....

A retourner accompagné de votre règlement à :

Sarl BioPharmAnalyses

11, rue de Paris

92100 Boulogne-Billancourt

Email : [anneliseberthier@yahoo.fr](mailto:anneliseberthier@yahoo.fr)

Tél : 06 86 68 32 20

Les informations personnelles vous concernant sont destinées à la Sarl BioPharmAnalyses, éditeur de BioPharmAnalyses. Elles sont nécessaires au traitement de votre demande et à la gestion de votre abonnement. Conformément à la loi Informatique et Libertés vous disposez d'un droit d'accès et de rectification relativement aux informations vous concernant que vous pouvez exercer à tout moment en écrivant à l'adresse suivante : Sarl **BioPharmAnalyses**, 11, rue de Paris, 92100 Boulogne-Billancourt.