

N° 90 – 2015
(12 janvier 2014)

The logo consists of the text "JE SUIS CHARLIE" in white, bold, uppercase letters, centered on a solid black rectangular background.

Eucrof 2015 – 2èmes rencontres européennes de la recherche clinique



Les deuxièmes rencontres européennes de la recherche clinique se tiendront à Paris du 2 au 4 février 2015. Organisée par l'association européenne des CRO, l'EUCROF, la manifestation est destinée à l'ensemble des acteurs de la recherche clinique (industrie pharmaceutique, biotech, industrie du dispositif médical, CRO, associations de patients, autorités réglementaires...). Les conférences s'intéresseront notamment à l'application de la nouvelle réglementation européenne sur les essais cliniques, à la transparence dans les études, aux spécificités des études cliniques dans les domaines de la biotech et du dispositif médical, aux études pédiatriques et aux perspectives de la recherche clinique en 2020. Pour en savoir plus : <http://www.eucrof-conference.eu/home/>

En 2014, la FDA a attribué le statut de médicament orphelin à 285 produits tandis que l'Europe en a accordé 160. Détail des 46 anticorps monoclonaux, des trois inhibiteurs de protéasome, des 21 inhibiteurs de kinase et des 16 peptides ayant obtenu ce statut en 2014 en Europe et/ou aux Etats-Unis. Le bilan des protéines, des thérapies cellulaires, des thérapies géniques et des virus oncolytiques ayant reçu ce statut sera adressé d'ici jeudi 15 janvier. Bonne lecture.

Anticorps ayant obtenu le statut d'orphelin en Europe et/ou aux Etats-Unis en 2014

■ **Adalimumab pour le traitement de la maladie de Behcet**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 10 juillet 2014

Sponsor : Mucora (Israel)

■ **Adalimumab pour le traitement de l'uvéïte non infectieuse**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 13 mai 2014

Sponsor : Abbvie (Etats-Unis)

■ **Amatuximab pour le traitement du mésothéliome**

Statut d'orphelin en Europe : 16 janvier 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 28 septembre 2012 (Morphotek - filiale d'Eisai aux Etats-Unis)

Sponsor : Eisai (Japon)

A noter : L'amatuximab (MORAb-009) est un anticorps chimérique dirigé contre une glycoprotéine de surface, la mésothéline qui est surexprimée dans différents cancers. La protéine pourrait être impliquée dans l'adhérence cellulaire. Une étude de phase II est en cours en Europe et aux Etats-Unis

■ **Anticorps anti alpha v Beta 6 pour le traitement de la fibrose idiopathique pulmonaire**

Statut d'orphelin en Europe : 29 juillet 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 8 mai 2014

Sponsor : BiogenIdec (Etats-Unis)

■ **Anticorps antiBeta1 intégrine (OS2966) pour le traitement du glioblastome**

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 7 août 2014

Sponsor : OncoSynergy (Etats-Unis – France)

A noter : Cet anticorps est un anti CD29 (sous-unité Beta 1 de l'intégrine).

■ **Anticorps anti CD33 pour le traitement de la leucémie myéloïde aiguë**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 19 juin 2014

Sponsor : Boehringer Ingelheim (Allemagne)

■ **Anticorps anti CD38 pour le traitement du myélome multiple**

Statut d'orphelin en Europe : 29 avril 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 22 mai 2014

Sponsor : Sanofi (France)

■ **Anticorps antiKIR3DL2 (IPH4102) pour le traitement du lymphome cutané à cellules T**

Statut d'orphelin en Europe : 22 août 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : -

Sponsor : Innate Pharma (France)

A noter : L'IPH4102 est un anticorps dirigé contre les cellules exprimant le marqueur KIR3DL2. Ce récepteur est exprimé spécifiquement par la plupart des sous-types de lymphome cutané à cellules T.

■ **Anticorps bispécifique anti IGF-1R et anti-ErbB3 pour le traitement du cancer du pancréas**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 22 octobre 2014

Sponsor : Merrimack Pharmaceuticals (Etats-Unis)

A noter : Cet anticorps est un inhibiteur de la voie PI3K/AKT/mTOR. Il est actuellement en cours de phase I.

■ **Anticorps bispécifique mimant le facteur VIII pour le traitement de l'hémophilie A**

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 10 janvier 2014

Sponsor : Genentech (Etats-Unis)

■ **Anticorps conjugant trois anticorps monoclonaux (c2G4, c4G7, and c13C6) dirigés contre le virus Ebola pour le traitement de l'infection par le virus Ebola**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 25 août 2014

Sponsor : LeafBio (Etats-Unis)

■ **Anticorps conjugué couplant un anticorps anti FOLRI au maytansinoïde pour le traitement du cancer des ovaires**

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 14 juillet 2014

Sponsor : Immunogen (Etats-Unis)

- *maytansinoid conjugated humanized monoclonal antibody against FOLRI* 07-14-2014 ImmunoGen,

■ **Anticorps conjugué couplant un anticorps anti-guanylyl cyclase C à la monométhyl auristatine E pour le traitement du cancer de l'estomac**

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 21 juillet 2014

Sponsor : Millenium Pharmaceuticals (Etats-Unis)

■ **Anticorps conjugué associant un anticorps monoclonal anti-NaPi2b à la monométhyl auristatine E pour le traitement du cancer des ovaires**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 29 juillet 2014

Sponsor : Genentech (Etats-Unis)

A noter : La protéine NaPi2b est un transporteur du sodium phosphate-dépendant exprimé dans plusieurs types de cancer. L'anticorps anti NaPi2b est couplé à un agent antimétabolite, la monométhyl auristatine E.

■ **Anticorps dirigé contre le composant amyloïde P sérique pour le traitement de l'amylose AL**

Statut d'orphelin en Europe : 29 juillet 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : -

Sponsor : GSK (GB)

■ **Anticorps dirigé contre le facteur de croissance des fibroblastes 23 pour le traitement de l'hypophosphatémie liée à l'X**

Statut d'orphelin en Europe : 15 octobre 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 14 décembre 2009 (Ultragenyx)

Sponsor : NDA Group (Suède)

A noter : Cet anticorps KRN23 dirigé contre le facteur de croissance des fibroblastes 23 (FGF23) a été découvert par le japonais Kyowa Hakko Kirin. La fuite de phosphore dans les urines qui caractérise l'hypophosphatémie liée à l'X est liée à un excès de ce facteur de croissance qui intervient dans la régulation de l'excrétion du phosphore et de la production de vitamine D. Kyowa Hakko Kogyo a signé un accord de collaboration et de licence avec l'américain Ultragenyx pour le développement de cet anticorps.

■ **Anticorps dirigé contre le récepteur de l'interleukine-6 (IL-6) pour le traitement de la neuromyéélite optique**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 30 juin 2014

Sponsor : Chugai (Japon)

■ **Anticorps hRS7 conjugué à un inhibiteur de la topoisomérase I pour le traitement du cancer du pancréas**

Statut d'orphelin en Europe : 15 octobre 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 29 mai 2014

Sponsor : Immunomedics (Etats-Unis)

A noter : L'isactuzumab govitecan (IMMU-132) est un anticorps conjugué associant l'anticorps humanisé hRS7 à un inhibiteur de la topoisomérase I, l'irinotecan. L'anticorps hRS7 se fixe sur un antigène de surface du trophoblaste (*trophoblast cell-surface antigen*) TROP-2, antigène exprimé par

de nombreuses tumeurs (cancer du sein, de l'utérus, colorectal, rein, foie, poumon, ovaires, pancréas, prostate).

■ **Anticorps monoclonal recombinant humain au récepteur à l'insuline fusionné à l'alpha-L-iduronidase pour le traitement de la mucopolysaccharidose de type I**

Statut d'orphelin en Europe : 15 octobre 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis :

Sponsor : Voisin Consulting (France)

A noter : Cette protéine de fusion recombinante associe un anticorps chimérique à une enzyme lysosomale, l'iduronidase.

■ **Anticorps humanisé IgG1 contre l'éotaxine-2 pour le traitement de la sclérodémie**

Statut d'orphelin en Europe : 19 novembre 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : -

Sponsor : CBR Biotech Strategies (Allemagne)

■ **Anticorps monoclonal humanisé dirigé contre le CD19 (MOR208) pour le traitement de la leucémie lymphoïde chronique**

Statut d'orphelin en Europe : 4 juillet 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 29 avril 2014

Sponsor : Morphosys (Allemagne)

A noter : Cet anticorps monoclonal dirigé contre l'antigène CD19 est en cours de développement pour le traitement des cancers hématologiques à lymphocytes B et de maladies autoimmunes.

■ **Anticorps monoclonal humanisé dirigé contre le CD19 (MOR208) pour le traitement du lymphome diffus à cellules B**

Statut d'orphelin en Europe : avis favorable le 9 décembre 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 1^{er} décembre 2014

Sponsor : Morphosys (Allemagne)

A noter : Cet anticorps monoclonal dirigé contre l'antigène CD19 est en cours de développement pour le traitement des cancers hématologiques à lymphocytes B et de maladies autoimmunes.

■ **Anticorps monoclonal dirigé contre le récepteur du facteur de croissance épidermique (Epidermal Growth Factor Receptor – EGFR) couplé à la maleimidocaproyl monométhylauristatine F pour le traitement du glioblastome multiforme/gliome**

Statut d'orphelin en Europe : 29 juillet 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 29 mai 2014

Sponsor : AbbVie (Etats-Unis)

A noter : L'ABT-414 est un anticorps conjugué associant un anticorps anti-EGFR à un agent cytotoxique, la monométhylauristatine F.

■ **Anticorps monoclonal de la classe des Ig G1 dirigé contre le récepteur du facteur de stimulation des colonies-1 exprimé sur les macrophages pour le traitement des tumeurs ténosynoviales à cellules géantes**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 14 mai 2014

Sponsor : Genentech (Etats-Unis)

■ **Anticorps monoclonal de la classe des Ig G1 dirigé contre le récepteur du facteur de stimulation des colonies-1 exprimé sur les macrophages pour le traitement des tumeurs ténosynoviales à cellules géantes**

Statut d'orphelin en Europe : 15 octobre 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 19 août 2014

Sponsor : Novartis (Suisse)

■ **Anticorps monoclonaux humanisés hu1B7 and hu11E6 pour le traitement de l'infection par Bordetella pertussis (coqueluche)**

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 11 septembre 2014

Sponsor : Synthetic Biologics (Etats-Unis)

Infection par Bordetella pertussis-coqueluche/ Bordetella pertussis humanized monoclonal antibodies hu1B7 and hu11E6 09-11-2014

■ **Anticorps polyclonal anti-TNF pour le traitement de la colite ulcéreuse pédiatrique**

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 17 novembre 2014

Sponsor : Avaxia Biologics (Etats-Unis)

■ **Betalutin™ (177Lu-tetraxetan-tetulomab) pour le traitement du lymphome folliculaire**

Statut d'orphelin en Europe : 15 juin 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 14 mai 2014

Sponsor : Nordic Nanovector (Suède)

A noter : Betalutin™ est un anticorps antiCD37 marqué au Lutécium 177.

■ **Brentuximab vedotin pour le traitement du lymphome diffus à grandes cellules B**

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 31 janvier 2014

Sponsor : Seattle Genetics (Etats-Unis)

A noter : Cet anticorps conjugué est déjà autorisé sous le nom d'Adcetris® pour le traitement du lymphome hodgkinien CD30 positif et pour le traitement du lymphome anaplasique à grandes cellules systémique récidivant ou réfractaire.

■ **Combinaison de nivolumab et d'ipilimumab pour le traitement du mélanome de stade IIb à IV**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 7 août 2014

Sponsor : BMS (Etats-Unis)

■ **Demcizumab pour le traitement du cancer du pancréas**

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 30 avril 2014

Sponsor : OncoMed Pharmaceuticals (Etats-Unis)

A noter : Le demcizumab cible un activateur de la voie de signalisation Notch. Il est développé dans le cadre d'un partenariat avec Celgene.

■ **Eculizumab pour le traitement de la myasthénie auto-immune**

Statut d'orphelin en Europe : 29 juillet 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 13 juin 2014

Sponsor : Alexion Pharmaceuticals (Etats-Unis)

A noter : L'eculizumab est un anticorps monoclonal qui se fixe spécifiquement sur la protéine du complément C5, inhibant ainsi sa coupure par la convertase C5 qui empêche la formation du complexe du complément terminal C5b-9.

■ **Eculizumab pour la prévention du retard de fonctionnement du greffon après une greffe de rein**

Mécanisme d'action : L'eculizumab est un anticorps monoclonal qui se fixe spécifiquement sur la protéine du complément C5, inhibant ainsi sa coupure par la convertase C5 qui empêche la formation du complexe du complément terminal C5b-9.

Statut d'orphelin en Europe : 19 février 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 10 janvier 2014

Sponsor : Alexion Pharmaceuticals (Etats-Unis)

■ **Eculizumab pour la prévention du rejet de greffe après une greffe d'organe solide**

Mécanisme d'action : L'eculizumab est un anticorps monoclonal qui se fixe spécifiquement sur la protéine du complément C5, inhibant ainsi sa coupure par la convertase C5 qui empêche la formation du complexe du complément terminal C5b-9.

Statut d'orphelin en Europe : 26 mars 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 10 janvier 2014

Sponsor : Alexion Pharmaceuticals (Etats-Unis)

■ **Gevokizumab pour le traitement du syndrome de Schnitzler**

Statut d'orphelin en Europe : 22 août 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis :-

Sponsor : Servier (France)

A noter : Cet anticorps est dirigé contre l'interleukine-1 beta (IL-1 beta). Cette cytokine pro-inflammatoire est impliquée dans la maladie de Behcet, ainsi que dans d'autres formes d'uvéites non infectieuses, de maladies cardiovasculaires et de maladies auto-inflammatoires.

Xoma et Servier développent l'anticorps en [collaboration](#) depuis janvier 2011. Xoma dispose des droits pour son développement et sa commercialisation dans l'uvéite de Behcet, en inflammation et en oncologie, Servier disposant de ces droits dans le reste du monde

■ **[Gevokizumab pour le traitement du pyoderma gangrenosum](#)**

Mécanisme d'action : Gevokizumab est un anticorps dirigé contre l'interleukine-1 beta (IL-1 beta). Cette cytokine pro-inflammatoire est impliquée dans la maladie de Behcet, ainsi que dans d'autres formes d'uvéites non infectieuses, de maladies cardiovasculaires et de maladies auto-inflammatoires.

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 21 février 2014

Sponsor : Xoma (Etats-Unis)

■ **[Ibalizumab pour le traitement de l'infection par le VIH-1 chez des patients présentant des résistances à plusieurs antirétroviraux et une réplication du virus en dépit d'une thérapie antirétrovirale](#)**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 20 octobre 2014

Sponsor : TaiMed Biologics (Etats-Unis)

■ **[²²⁵Ac-lintuzumab pour le traitement de la leucémie myélogène aiguë](#)**

Mécanisme d'action : Cet anticorps est un anticorps antiCD33 marqué à l'actinium 225 pour lequel une étude de phase I/2a est en préparation en Europe et aux Etats-Unis.

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 25 novembre 2014

Sponsor : Actinium Pharmaceuticals (Etats-Unis)

■ **[Mélange d'anticorps monoclonaux IgG1 contre des glycoprotéines d'enveloppe du cytomégalovirus humain pour la prévention de l'infection congénitale par les cytomégalovirus suivant une infection primaire pes les cytomégalovirus](#)**

Statut d'orphelin en Europe : 19 février 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis :

Sponsor : Roche (Suisse)

■ **[Nivolumab pour le traitement du lymphome de Hodgkin](#)**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 7 août 2014

Sponsor : BMS (Etats-Unis)

A noter : Cet anticorps est dirigé contre un des principaux points de contrôle du système immunitaire (*immune checkpoint*), le récepteur PD-1 (*Programmed cell Death 1*) afin de restaurer une réponse immunitaire antitumorale. Il est déjà autorisé depuis décembre dernier aux Etats-Unis pour le traitement du [mélanome avancé](#) chez des patients ayant déjà été traités par l'ipilimumab (Yervoy®). Il est également en cours d'évaluation en Europe pour le traitement du [cancer des poumons non à petites cellules](#).

■ **[Obinutuzumab pour le traitement du lymphome diffus à grandes cellules B](#)**

Statut d'orphelin en Europe : 22 août 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 17 février 2012

Sponsor : Roche (Suisse)

A noter : L'obinutuzumab est un anticorps antiCD20 de 3^{ème} génération.

■ **[Olaratumab pour le traitement du mélanome](#)**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 9 octobre 2014

Sponsor : Eli Lilly (Etats-Unis)

A noter : L'anticorps est dirigé contre le récepteur α du facteur de croissance dérivé des plaquettes (PDGFR α). Sa fixation sur sa cible bloque la fixation de ce facteur de croissance impliqué dans la tumorigénèse et la progression tumorale. Il a été développé par Imclone Systems racheté par Eli Lilly en 2008.

■ **[Pritumumab pour le traitement du gliome](#)**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 28 octobre 2014

Sponsor : Nascent Biotech (Etats-Unis)

A noter : Le primumab est un anticorps dirigé contre la vimentine, protéine des filaments intermédiaires exprimée dans des différents adénocarcinomes (tumeurs cérébrales, mélanomes...)

■ **Raxibacumab pour le traitement de l'anthrax**

Statut d'orphelin en Europe : 15 octobre 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 12 novembre 2003

Sponsor : GSK (GB)

A noter : Le raxibacumab est un anticorps monoclonal qui neutralise les toxines produites par *Bacillus anthracis*. Il a été développé par l'américain Human Genome Sciences racheté en 2012 par le groupe britannique GSK. Le raxibacumab est autorisé aux Etats-Unis depuis 2012 sous le nom d'Abthrax™.

■ **Rilotumumab pour le traitement du cancer de l'estomac**

Statut d'orphelin en Europe : 29 juillet 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 18 juin 2012

Sponsor : Amgen (Etats-Unis)

A noter : Le rilotumumab est un anticorps dirigé contre le facteur de croissance des hépatocytes (*Hepatocyte growth factor* – HGF). Le développement de l'anticorps a été interrompu en [phase III](#) en novembre 2014 après l'observation d'une augmentation du nombre de décès dans le bras rilotumumab + chimiothérapie comparativement au bras chimiothérapie seule.

■ **Veltuzumab pour le traitement du pemphigus**

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 17 novembre 2014

Sponsor : Immunomedics (Etats-Unis)

A noter : Le veltuzumab est un anticorps dirigé contre les récepteurs CD20 sur les lymphocytes B.

**Inhibiteurs du protéasome ayant obtenu
le statut d'orphelin en Europe et/ou aux Etats-Unis en 2014**

■ **Oprozomib pour le traitement du myélome multiple**

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 28 octobre 2014

Sponsor : Onyx Therapeutics (Etats-Unis)

■ **Oprozomib pour le traitement de la macroglobulinémie de Waldenström**

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis :

Sponsor : Onyx Therapeutics (Etats-Unis)

■ **Marizomib pour le traitement du myélome à cellules plasmiques**

Statut d'orphelin en Europe : 22 août 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 3 décembre 2013

Sponsor : Richardson Associates Regulatory Affairs (GB)

**Inhibiteurs de kinase/inhibiteurs d'enzyme ayant obtenu
le statut d'orphelin en Europe et/ou aux Etats-Unis en 2014**

■ **Afatinib pour le traitement des tumeurs malignes du cerveau et du SNC**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 4 juin 2014

Sponsor : Boehringer Ingelheim International (Allemagne)

A noter : L'afatinib est un inhibiteur des récepteurs de la famille ErbB.

■ **Altiratinib pour le traitement du glioblastome multiforme**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 19 août 2014

Sponsor : Deciphera Pharmaceuticals (Etats-Unis)

A noter : L'[altiratinib](#) est un inhibiteur des kinases MET, TIE2, VEGFR2 et TRK.

■ **Beloranib** pour le traitement du syndrome de Prader-Willi maladie

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 4 juillet 2014

Sponsor : Dr Ulrich Granzer (Allemagne)

A noter : Le beloranib est un inhibiteur de la methionine aminopeptidase 2 (MetAP2).

■ **Binimetinib** pour le traitement du cancer des ovaires

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 31 juillet 2014

Sponsor : Array Biopharma (Etats-Unis)

A noter : Le binimetinib est un inhibiteur de la kinase MEK identifié par Array et licencié à Novartis.

■ **Cediranib** pour le traitement du cancer des ovaires

Mécanisme d'action :

Statut d'orphelin en Europe : 29 juillet 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis :-

Sponsor : AstraZeneca (GB)

A noter : Le cediranib est dirigé contre les trois récepteurs à tyrosine kinase, VEGFR-1,-2,-3.

■ **Cobimetinib** pour le traitement du mélanome BRAFV600 de stade IIb à IV maladie

Mécanisme d'action :

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis :

Sponsor : Genentech (Etats-Unis)

A noter : Le cobimetinib est un inhibiteur de la kinase MEK Mélanome

■ **Dabrafenib** pour le traitement du cancer des poumons non à petites cellules BRAF+/-

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 20 octobre 2014

Sponsor : GSK (GB)

■ **Filanesib** pour le traitement du myélome multiple

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 6 mai 2014

Sponsor : Array BioPharma (Etats-Unis)

■ **Gefitinib** pour le traitement du cancer des poumons non à petites cellules EGFR+

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 26 août 2014

Sponsor : AstraZeneca (GB)

■ **Ibrutinib** pour le traitement du lymphome lymphoplasmocytaire ou macroglobulinémie de Waldenstrom

Statut d'orphelin en Europe : 29 avril 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 15 octobre 2013

Sponsor : J&J (Etats-Unis)

■ **Imatinib** pour le traitement de la leucoencéphalopathie multifocale progressive

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 6 mai 2014

Sponsor : Inhibikase Therapeutics (Etats-Unis)

A noter : L'imatinib est un inhibiteur de tyrosine kinase.

■ **Imatinib** pour le traitement du syndrome de détresse respiratoire aiguë

Statut d'orphelin en Europe : 19 novembre 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis :-

Sponsor : Numedicus Limited (GB)

A noter : L'imatinib est un inhibiteur de tyrosine kinase.

■ **Inhibiteur d'une protéine kinase activée par le mitogène p38 – ARRY-797** pour le traitement de la cardiomyopathie dilatée

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 27 mai 2014

Sponsor : Array BioPharma (Etats-Unis)

■ **[Ipatasertib](#) pour le cancer de l'estomac y compris cancer de la jonction gastro-oesophagienne maladie**

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 30 avril 2014

Sponsor : Genentech (Etats-Unis)

A noter : L'ipatasertib est un inhibiteur de la kinase Akt.

■ **Lenvatinib pour le traitement du mélanome de stage IIb à iV**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 26 mars 2014

Sponsor : Eisai (Japon)

A noter : Le lenvatinib est un inhibiteur multikinases (VEGFR, FGFR, PDGFR α , PDGF, KIT et RET).

■ **Lenvatinib pour le traitement du carcinome hépatocellulaire**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 27 mars 2014

Sponsor : Eisai (Japon)

A noter : Le lenvatinib est un inhibiteur multikinases (VEGFR, FGFR, PDGFR α , PDGF, KIT et RET).

■ **[Ruxolitinib](#) pour le traitement de la polyglobulie de Vaquez (polycythaemia vera)**

Statut d'orphelin en Europe : 19 février 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 26 mars 2010 (Incyte)

Sponsor : Novartis (Suisse)

A noter : Le ruxolitinib est un inhibiteur des tyrosine kinases JAK 1 et JAK 2 développé par Novartis en partenariat avec l'américain Incyte.

■ **Veliparib pour le traitement des métastases cérébrales en association avec des agents altérant la structure de l'ADN**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 17 décembre 2014

Sponsor : Abbvie (Etats-Unis)

■ **[Vemurafenib](#) pour le traitement du cancer des poumons non à petites cellules avec une mutation BRAF V600E**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 8 septembre 2014

Sponsor : Genentech (Etats-Unis)

A noter : Le vemurafenib est un inhibiteur de la tyrosine kinase BRAF.

■ **[Vemurafenib](#) pour le traitement de la leucémie à tricholeucocytes**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 26 août 2014

Sponsor : Genentech (Etats-Unis)

A noter : Le vemurafenib est un inhibiteur de la tyrosine kinase BRAF.

■ **[Volasertib](#) pour le traitement de la leucémie myéloïde aiguë**

Statut d'orphelin en Europe : 26 mars 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 14 avril 2014

Sponsor : Boehringer Ingelheim International (Allemagne)

A noter : Le volasertib est un inhibiteur de la *Polo-like* kinase Plk.

Peptides ayant obtenu le statut d'orphelin en Europe et/ou aux Etats-Unis en 2014

■ **[Ac-Ile-Cys-Val-Trp\(1-Me\)-Gln-Asp-Trp-Gly-Ala-His-Arg-Cys-Thr-AEEA-Lys-PEG 40KDa-Lys-AEEA-Thr-Cys-Arg-His-ALa-Gly-Trp-Asp-Gln-\(1-Me\)Trp-Val-Cys-Ile-Ac](#) pour le traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne**

Statut d'orphelin en Europe :

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 20 avril 2014

Sponsor : Apellis Pharmaceuticals (USA)

■ **[Afamelanotide](#) pour le traitement du pemphigus bénin chronique familial**

Statut d'orphelin en Europe : 4 juillet 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 14 mai 2014

Sponsor : Clinuvel (Etats-Unis)

A noter : Ce tridécapéptide synthétique est un analogue structural de la mélanocortine, l'hormone stimulatrice des mélanocytes de type alpha (α -MSH). L'afamélanotide est un agoniste des récepteurs de la mélanocortine et se lie principalement au récepteur de la mélanocortine-1 (MC1R).

■ [\[a-N-\(2'succinyl-paclitaxel\)Thr\]-Phe-Phe-Tyr-Gly-Gly-Ser-Arg-Gly-\[epsilon-N-\(2'succinyl-paclitaxel\)Lys\]-Arg-Asn-Asn-Phe-\[epsilon-N-\(2'succinyl-paclitaxel\)Lys\]-Thr-Glu-Glu-Tyr](#) pour le traitement du glioblastome multiforme

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 14 mai 2014

Sponsor : Angiochem (Canada)

■ [Combinaison de H-Lys-Lys-Gly-Pro-Arg-Cys\(SH\)-Leu-Thr-Arg-Tyr-Tyr-Ser-Ser-Phe-Val-Asn-Met-Glu-Gly-Lys-Lys-OH et H-Lys-Lys-Gly-Asp-Asn-Ile-Met-Val-Thr-Phe-Arg-Asn-Gln-Ala-Ser-Arg-Pro-Tyr-Gly-Lys-Lys-OH \(ATX-F8-117\)](#) pour le traitement de l'hémophilie A

Statut d'orphelin en Europe : 19 novembre 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis :

Sponsor : Apitope International (Belgique)

A noter : Les deux peptides présents dans ATX-F8-117 sont deux peptides dérivés du facteur VIII.

■ [H-Tyr-Gly-Arg-Lys-Lys-Arg-Arg-Gln-Arg-Arg-Arg-Lys-Leu-Ser-Ser-Ile-Glu-Ser-Asp-Val-OH](#) pour le traitement de l'accident vasculaire cérébral dans les trois heures suivant l'apparition des symptômes

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 24 novembre 2011

Sponsor : Nono (Canada)

■ [Lutetium \(177Lu\) edotreotide](#) pour le traitement des tumeurs neuroendocrines gastrointestinales

Statut d'orphelin en Europe : 4 juin 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 28 juillet 2005

Sponsor : ITG Isotope Technologies Garching (Allemagne)

■ [Oligopeptide \(H-Phe-Ser-Arg-Tyr-Ala-Arg\)](#) pour le traitement de la sclérose latérale amyotrophique

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 27 février 2014

Sponsor : Genervon Biopharmaceuticals (Etats-Unis)

■ [Oxytocine](#) pour le traitement du syndrome de Prader-Willi

Statut d'orphelin en Europe : 29 juillet 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 24 novembre 2014

Sponsor : Pr Maïthé Tauber (France)

■ [Paclitaxel-succinate-Arg-Arg-Leu-Ser-Tyr-Ser-Arg-Arg-Arg-Phe](#) pour le traitement du gliome

Statut d'orphelin en Europe : 4 juin 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis :

Sponsor : CLL Pharma (France)

■ [Peptide ciblant la gastrine 17](#) pour le traitement du cancer pancréatique maladie

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 14 mai 2014

Sponsor : Tyg Oncology (GB)

■ [Pro-Pro-Thr-Val-Pro-Thr-Arg](#) pour le traitement du xeroderma pigmentosum

Statut d'orphelin en Europe : 19 novembre 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis :

Sponsor : Professeur Alain Taieb (France)

■ [Rhenium Re188 P2045 analogue de somatostatine](#) pour le traitement du cancer du pancréas

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 19 juin 2014

Sponsor : Andarix Pharmaceuticals (Etats-Unis)

■ **Rhenium Re188 P2045 analogue de somatostatine pour le traitement du cancer des poumons à petites cellules**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 6 février 2014

Sponsor : Andarix Pharmaceuticals (Etats-Unis)

■ **S3,S13-cyclo(D-tyrosyl-L-iso-leucyl-L-cysteinyl-L-valyl-1-methyl-L-tryptophyl-L-glutaminyl-L-aspartyl-L-tryptophyl-N-methyl-L-glycyl-L-alanyl-L-histidyl-L-arginyl-L-cysteinyl-N-methyl-L-iso-leucinamide) pour le traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne**

Statut d'orphelin en Europe : 22 août 2014

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 9 octobre 2014

Sponsor : Amyndas Pharmaceuticals (Etats-Unis/Grèce)

■ **Sels du peptide synthétique H-D-Ala-Ser-Pro-Met-Leu-Val-Ala-Tyr-Asp-D-Ala-OH pour le traitement des infections nécrosantes des tissus mous**

Statut d'orphelin en Europe : 25 octobre 2011

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 29 juillet 2014

Sponsor : Dr Ulrich Granzer (Allemagne)/Atox Bio (Israel)

■ **Teriparatide pour le traitement de l'hypoparathyroïdie**

Statut d'orphelin en Europe : -

Statut d'orphelin aux Etats-Unis : 18 avril 2014

Sponsor : Entera Bio (Israel)

© *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/ ou à 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)

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

Vos références et coordonnées (à remplir en lettres capitales)

Nom : Prénom :

Société : Fonction :

Adresse :

.....

Tél : Email :

(NB : en cas d'abonnements multiples pour la même société, joindre la liste des emails des différents destinataires)

Règlement :

Ci-joint mon chèque à l'ordre de SARL BioPharmAnalyses accompagné du bulletin d'abonnement.
<http://biopharmanalyses.fr>.

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
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.

