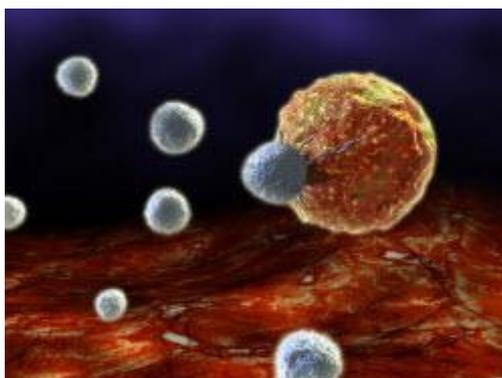


**N° 13 – 2013**  
**(Nouvelles du 2 au 5 Avril 2013)**



T cell (blue) killing a tumor cell (red) (©Adaptimmune)

## Essais cliniques

### Nouvelles études

#### \* Cancer - Oncologie

◆ Le français **Erytech Pharma** a reçu le feu vert de la FDA pour le lancement d'une étude clinique de phase 1 avec sa nouvelle formulation de L-asparaginase encapsulée dans des globules rouges, Eryasp®. L'essai sera mené avec des patients de plus de 40 ans chez lesquels une leucémie aiguë lymphoblastique vient d'être diagnostiquée. Alors que la toxicité de la L-asparaginase limite son utilisation chez les patients âgés et fragiles, les études cliniques réalisées en Europe ont montré que cette nouvelle formulation permet une utilisation clinique plus large et une meilleure sécurité. Ces résultats doivent maintenant être confirmés aux Etats-Unis où l'étude de phase 1 recrutera ses premiers patients à partir du deuxième semestre. La société a travaillé en collaboration avec la Croix rouge américaine à Philadelphie pour disposer d'une unité de fabrication où seront produits les lots cliniques d'Eryasp®. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id\\_ec=1234](http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id_ec=1234))

#### \* Maladies rares

◆ **BioMarin Pharmaceutical** a déposé une demande d'autorisation pour la réalisation d'une étude clinique au Royaume-Uni avec le **BMN-190**, tripeptidyl peptidase 1 humaine recombinante candidate au traitement d'une forme de la maladie de Batten (maladie neurodégénérative de surcharge lysosomale), la céréoïde-lipofuscinose neuronale de type 2. Le recrutement des patients pour cette étude de phase 1/2 devrait débuter à la mi-2013. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id\\_ec=1235](http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id_ec=1235))

#### \* Maladies rénales

♦ **Tengion**, société américaine spécialiste de la médecine régénérative, se prépare à lancer un de ses premiers essais cliniques en Europe. L'agence suédoise du médicament vient d'accepter sa demande d'autorisation pour la réalisation d'une étude de phase 1 destinée à évaluer la sécurité et la délivrance de son produit de thérapie cellulaire autologue Neo-Kidney Augment™ chez des patients atteints d'insuffisance rénale chronique avancée. L'essai, qui devrait inclure jusqu'à cinq patients, va débiter dans le courant du 2<sup>ème</sup> trimestre. Les données obtenues seront utilisées pour l'essai de phase 1 pour lequel Tengion s'apprête à déposer une demande d'autorisation aux Etats-Unis. Cet autre essai pourrait quant à lui être lancé au dernier trimestre, avec la perspective d'obtenir les premières données de preuve du concept en 2014. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id\\_ec=1233](http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id_ec=1233))

## Actualisations

### \* Cancer – Oncologie

♦ Le suédois **BioInvent International** a présenté des données complémentaires avec son anticorps BI-505 lors de l'*International Myeloma Workshop* à Kyoto. Les résultats préliminaires de cette étude de phase 1 menée chez des patients atteints de myélome multiple à un stade avancé montrent que le candidat médicament présente un profil de sécurité favorable. Au sein des groupes auxquels a été proposée une extension de l'étude, la maladie s'est stabilisée pendant au moins deux mois chez 24 % des patients. Les données précliniques présentées pendant ce même congrès indiquent l'intérêt de combinaisons associant le BI-505 à un traitement par Velcade® ou Revlimid®. Dans l'un des modèles étudiés, l'utilisation de ces traitements combinés a permis d'augmenter la survie, tandis qu'une rémission complète a pu être observée dans un deuxième modèle utilisé. BioInvent prévoit maintenant de poursuivre ses études sur le BI-505 chez des patients atteints de myélome multiple asymptomatique. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id\\_ec=1140](http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id_ec=1140))

### \* Maladies rares

♦ Un premier patient a été traité dans l'essai de phase 1 du **PRX-112**, thérapie enzymatique de substitution développée par l'israélien Protalix BioTherapeutics. Ce traitement présente la particularité d'être disponible par voie orale. Il sera administré à 12 patients, soit en une prise unique soit une prise pendant trois jours consécutifs. L'essai a reçu le feu vert des autorités israéliennes le mois dernier et devrait être achevé au 3<sup>ème</sup> trimestre. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id\\_ec=1200](http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id_ec=1200))

♦ Les résultats de l'étude de phase 2a du somatoprim, analogue de la somatostatine de l'israélien **Aspireo Pharmaceuticals** montrent un effet dose-dépendant pour la diminution des taux d'hormone de croissance chez des patients naïfs atteints d'acromégalie. La société indique qu'aucun effet secondaire grave n'a été mis en évidence. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id\\_ec=988](http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id_ec=988))

## Résultats

### \* Cancer - Oncologie

♦ La société suédoise **Axelar** vient d'annoncer les résultats préliminaires d'une étude de phase 2 avec l'AXL1717 (picropodophylline – inhibiteur du récepteur de l'IGF-1) dans le cancer des poumons non à petites cellules. Les premières analyses indiquent que l'AXL1717 présente un taux de survie sans progression de la maladie après 12 semaines similaire à celui du docetaxel. Sur la base de ces résultats intermédiaires, la société a choisi de limiter son essai à 100 patients au lieu des 140 initialement prévus. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id\\_ec=1236](http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id_ec=1236))

◆ Mauvaise nouvelle pour **Clavis Pharma** qui pourrait bien signer la fin du parcours pour cette société norvégienne. Aucune différence significative en terme d'amélioration de la survie n'a pu être mise en évidence dans l'étude de phase 3 CLAVELA évaluant l'élacytarabine chez des patients ayant rechuté ou atteints d'une leucémie myéloïde aiguë réfractaire. Chez les patients traités par l'élacytarabine, la survie moyenne est de 3,5 mois, à comparer à 3,3 mois dans le groupe contrôle. En conséquence, Clavis Pharma a décidé d'interrompre le développement du produit dans toutes ses indications. L'heure est maintenant à l'évaluation des choix stratégiques qui s'ouvrent à la société. Faute de résultats probants dans le cancer du pancréas, Clavis Pharma avait déjà du arrêter en novembre dernier le développement d'un autre de ses candidats médicaments, le [CP-4126](#). Outre ces deux produits développés sur la base de sa plateforme LVT (*Lipid Vector Technology*), Clavis Pharma ne dispose plus aujourd'hui que du CP-4200. Issu lui aussi de la technologie LVT, le CP-4200 n'est qu'au stade pré-clinique, son développement ayant été suspendu à la fin de l'année dernière pour permettre à la société de concentrer ses efforts sur l'élacytarabine... ([http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id\\_ec=351](http://biopharmanalyses.fr/detail-de-lessai-clinique/?id_ec=351))

---

## Accords

### Cancer – Oncologie

◆ **OncoDNA**, société belge spécialisée dans le séquençage et l'analyse de l'ADN tumoral, a conclu un accord avec l'américain **CollabRx**. Cet accord vise à développer des tests et des solutions informatiques d'aide à la décision à partir des profils de mutations d'OncoDNA et des solutions d'analyse des données à usage clinique de CollabRx. Créée en novembre dernier par l'ancien président et fondateur de DNAVision, Jean-Paul Detiffe, OncoDNA développe une approche centrée sur l'analyse personnalisée de la tumeur d'un patient. A partir du séquençage partiel ou intégral du génome tumoral, l'objectif est de fournir le plus d'informations possibles au médecin sur le profil identitaire et les possibilités d'évolution d'une tumeur et de lui donner des recommandations pour le choix du traitement le plus adapté. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-accord/?id\\_acc=1235](http://biopharmanalyses.fr/detail-accord/?id_acc=1235))

### Maladies neurodégénératives

◆ **Elan** et **BiogenIdec** ont cloturé définitivement leur accord de collaboration pour **Tysabri®** (natalizumab). L'accord annoncé en février dernier permet à l'américain de récupérer l'intégralité des droits sur ce traitement de la sclérose en plaques. En contrepartie, l'irlandais a reçu 3,25 milliards de \$, somme à laquelle s'ajouteront des royalties sur les ventes du médicament. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-accord/?id\\_acc=1135](http://biopharmanalyses.fr/detail-accord/?id_acc=1135))

### Maladies du SNC – Maladies mentales

◆ Deuxième accord en moins de deux semaines pour **Bio-Modeling Systems**. La société française spécialiste du développement de modèles heuristiques dans les domaines de la biologie des systèmes vient de s'associer à la fondation de coopération scientifique **Fondamental** pour la construction d'un nouveau modèle CADIT<sup>™</sup> (*Computer Assisted Deductive Integration*) capable de décrire des mécanismes immunoinflammatoires pouvant sous tendre le développement et la progression de maladies psychiatriques, telles que les troubles bipolaires et la schizophrénie. L'objectif est d'ouvrir de nouvelles voies pour la compréhension, le diagnostic et le traitement de ces maladies.

Quant à l'autre accord annoncé fin mars par Bio-Modeling Systems, il s'inscrit dans le cadre de la récente interdiction par l'UE de l'importation et de la vente de produits cosmétiques contenant des ingrédients testés sur les animaux. Bio-Modeling Systems travaillera dorénavant avec **Persistent Systems**, spécialiste du développement logiciel et des services technologiques, pour un programme conjoint de R&D sur la biologie des

systèmes. Dans un premier temps, leurs travaux visent le développement d'un modèle prédictif de la peau *in silico* afin de proposer une alternative à l'utilisation des animaux dans les tests d'allergie de contact.

([http://biopharmanalyses.fr/detail-accord/?id\\_acc=1232](http://biopharmanalyses.fr/detail-accord/?id_acc=1232) [http://biopharmanalyses.fr/detail-accord/?id\\_acc=1223](http://biopharmanalyses.fr/detail-accord/?id_acc=1223))

## Production

◆ Le suisse **Bachem** a conclu un accord de collaboration avec Axon Neurosciences pour la production des principes actifs en cours de développement au sein de la société slovaque. Axon Neurosciences travaille en particulier sur un conjugué peptidique qui devrait entrer prochainement en phase 1 en Europe dans la maladie d'Alzheimer. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-accord/?id\\_acc=1233](http://biopharmanalyses.fr/detail-accord/?id_acc=1233))

## Technologies / Services

◆ **Merck Serono** vient d'annoncer un accord de collaboration original avec le centre d'innovation géré par la société allemande **BioMed X GmbH**. Dans le cadre de cet accord, les deux partenaires veulent mettre en pratique un nouveau concept d'innovation basé sur un travail en équipes pluridisciplinaires de jeunes chercheurs encadrés par un chercheur de Merck et par un chercheur académique. Ces équipes seront installées dans un laboratoire dédié à l'*open innovation* à Heidelberg. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-accord/?id\\_acc=1234](http://biopharmanalyses.fr/detail-accord/?id_acc=1234))

---

## Acquisitions

◆ MedImmune, branche biologique d'**AstraZeneca**, vient d'acquérir la société américaine **AlphaCore Pharma** pour un montant non révélé. Cette société développe l'ACP-501, une version recombinante de la [lécithine cholestérol acyl transférase](#), enzyme jouant un rôle clé dans le transport inverse du cholestérol. Alors que ce composé pourrait être utilisé pour la régulation des taux de cholestérol, AlphaCore a pour l'instant choisi de développer l'ACP-501 dans une maladie héréditaire rare consécutive à l'absence de cette enzyme, le déficit en lécithine cholestérol acyltransférase (LCAT). Dans cette indication, l'ACP-501 possède le statut d'orphelin en Europe depuis novembre dernier et depuis septembre 2010 aux Etats-Unis. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-rachat/?id\\_ra=157](http://biopharmanalyses.fr/detail-rachat/?id_ra=157))

---

## Levées de fonds

◆ Le suédois PledPharma va soumettre au vote de ses actionnaires un projet d'émission d'actions pour un montant de 18 millions de couronnes (environ 2,1 millions d'euros). Cette levée de fonds est destinée à fournir à la société suffisamment de flexibilité financière pour conclure un accord de licence avec son candidat médicament PledOx® (calmangafodipir). Actuellement en [phase 2b](#) chez des patients atteints de cancer colorectal, ce composé qui mime l'action de la superoxyde dismutase est destiné à la prévention des effets secondaires des chimiothérapies anticancéreuses. Les financements recueillis via cette levée serviront également à élargir l'étude à un plus grand nombre de centres. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-levee-fond/?id\\_lf=416](http://biopharmanalyses.fr/detail-levee-fond/?id_lf=416))

---

## Vie des produits

### Cancer – Oncologie

◆ La FDA a accordé le statut « Fast Track » au **daratumumab**, anticorps monoclonal anti-CD38 développé par le danois **Genmab**. Ce statut s'applique dans le cas de patients atteints de myélome multiple ayant déjà reçu au moins trois lignes de traitement incluant un inhibiteur du protéasome et un agent immunomodulateur ou étant réfractaires à ces deux derniers types de traitement. Rappelons que le danois a cédé en août dernier une [licence exclusive](http://biopharmanalyses.fr/detail-du-produit/?id_dnp=778) à Janssen Biotech pour le développement et la commercialisation du daratumumab. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-du-produit/?id\\_dnp=778](http://biopharmanalyses.fr/detail-du-produit/?id_dnp=778))

## Maladies infectieuses

◆ Première demande d'AMM déposée pour un vaccin produit sur la lignée cellulaire EB66® développée par le français Vivalis. C'est ainsi le japonais Chemo-Sero-Therapeutic Research Institute (Kaketsuken) qui vient de soumettre au ministère de la Santé nippon un dossier pour l'autorisation d'un vaccin contre la grippe pandémique H5N1 produit sur la lignée EB66®. Ce vaccin a été développé dans le cadre d'un programme soutenu par le gouvernement japonais afin de disposer sur l'Archipel d'une source de production locale d'un vaccin contre la grippe H5N1 exploitant un procédé de culture cellulaire. ([http://biopharmanalyses.fr/detail-du-produit/?id\\_dnp=777](http://biopharmanalyses.fr/detail-du-produit/?id_dnp=777))

---

## A souligner aussi cette semaine

◆ La confiance semble au rendez-vous chez les dirigeants de l'industrie pharmaceutique et des sciences de la vie. Selon une étude du cabinet PwC, 82 % des dirigeants interrogés se déclarent confiants dans leur capacité à augmenter leurs revenus en 2013. 49 % se déclarent même très confiants, à comparer à 36 %, tous secteurs confondus. Néanmoins, ils sont 76 % à déclarer se méfier des réactions gouvernementales face aux déficits budgétaires nationaux et 73 % craignent qu'un excès de réglementation ne freine leur croissance (69 % tous secteurs confondus). L'innovation reste également une de leurs priorités majeures et 72 % des dirigeants interrogés indiquent leur intention d'augmenter leurs capacités de R&D et d'innovation.

Cette étude a été menée auprès de 1330 chefs d'entreprise de 68 pays, dont 90 dirigeants du secteur pharmaceutique et des sciences de la vie.

© *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)/[anneliseberthier@yahoo.fr](mailto:anneliseberthier@yahoo.fr) avec la mention Unsubscribe dans l'objet du message.