Communiqué de presse

Angers
le 06 avril 2017

Un nouvel espoir pour le traitement d'une maladie auto-immune rare : le syndrome des antiphospholipides

Le CHU d'Angers et ses partenaires ont reçu le soutien de l'Agence Européenne du Médicament, pour explorer une nouvelle piste pour le traitement d'une maladie auto-immune rare : le syndrome des antiphospholipides (SAPL). Il s'agit d'une démarche qui a permis, pour la première fois sur le plan européen, de statuer sur le potentiel de ce traitement dans la prise en charge des patients avec un SAPL.

L'Agence Européenne du Médicament a accordé au CHU d'Angers, le 12 janvier 2017, la désignation de « médicament orphelin » pour l'Hydroxychloroquine dans le traitement du SAPL (EU/3/16/1820), suite au dépôt du dossier de demande du Dr Cristina Belizna, Maitre de Conférence en Médecine Interne*.

La désignation médicament orphelin de l'Hydroxychloroquine dans le SAPL offre de réels atouts pour poursuivre le développement d'un médicament et faciliter sa valorisation auprès des industriels du médicament. Il s'agit d'une première étape encourageante dans l'espoir d'un traitement efficace pour le SAPL.

Grâce à cette nouvelle désignation, tous les feux sont au vert pour développer le recours à ce traitement prometteur pour le SAPL : cadre réglementaire, incitation financière pour les laboratoires qui s'impliqueront dans ces projets, etc. En d'autres termes, c'est un nouvel espoir pour les quelques 103 000 patients touchés, en Europe, par cette pathologie.

Le syndrome (des) antiphospholipides (SAPL), est une maladie auto-immune rare. Les personnes touchées ont une tendance accrue à former des caillots sanguins. Les mécanismes d'apparition des caillots sont divers, incluant la présence des anticorps dirigés contre les phospholipides membranaires (anticorps antiphospholipides).

Ces caillots intravasculaires affectent le plus souvent les veines profondes des membres inférieurs, les artères coronaires ou les artères cérébrales mais aussi d'autres sites vasculaires. Ils se manifestent aussi par des complications obstétricales (fausses couches, naissances avant terme avec complications) à répétition. Le syndrome des antiphospholipides peut s'observer associé à d'autres maladies auto-immunes principalement le lupus érythémateux systémique (LES) ou être isolé (SAPL primaire). Il nécessite un traitement par anticoagulants afin de diminuer les risques de récidive et d'améliorer le pronostic obstétrical.

Vers une diminution, voire une disparition des récidives

Aucun des traitements connus à l'heure actuelle ne prévient totalement le risque de nouvelle formation de caillot de sang et/ou de complication obstétricale. Aujourd'hui, malgré les traitements classiques utilisés, la récidive thrombotique dans les 5 années suivant le début de la prise en charge des SAPL concerne 20 % des patients. Les fausses couches ou d'autres complications obstétricales concernent quant à elles 20 à 28% des patientes touchées par ce syndrome, malgré la mise en place d'un traitement classique optimal.

Des données dans la littérature ont démontré que ces risques de récidives pouvaient diminuer à moins de 5% voire être complètement éliminés, si un traitement simple connu pour sa bonne tolérance et minimum d'effets secondaires est utilisé : l'Hydroxychloroquine.

Des études précliniques dans le modèle animal coordonnées par le Dr Cristina Belizna ont été menées dans l'unité UMR CNRS 6015 INSERM 1083 MitoVasc. Un projet de recherche clinique randomisé évaluant l'efficacité de l'Hydroxychloroquine dans le SAPL primaire avec des manifestations thrombotiques va bientôt démarrer. Ce projet se développera dans le cadre d'un PHRC national PAPIRUS, par une équipe pluridisciplinaire et multicentrique coordonnée par le Dr Cristina Belizna au CHU d'Angers. Un projet international coordonné par la même équipe avec la participation de plusieurs pays partenaires et avec le soutien de l'association des patients lupiques AFL+, FCRIN, OrphanDev, ECRIN, EATRIS et la Fondation maladies rares est en cours d'élaboration.

La reconnaissance du statut de médicament orphelin a été également obtenue grâce au soutien de l'association des patients AFL+, d'OrphanDev, plateforme nationale dédiée au développement de médicaments dans les maladies rares, F-CRIN, EATRIS, et de la Fondation maladies rares.

* *Le Dr Belizna est Maitre de Conférence en Médecine Interne, spécialiste en Médecine Interne, Immunologie Clinique et Médecine Vasculaire du Centre Vasculaire et de la Coagulation du CHU d'Angers, membre de l'unité UMR CNRS 6015 INSERM 1083 MitoVasc*

Qu'est-ce qu'un médicament orphelin ?

Un médicament est dit « orphelin » lorsqu'il est destiné au traitement de maladies rares. Afin que les patients souffrant d'affections rares bénéficient de la même qualité de traitement que les autres, l'Union européenne a introduit une loi visant à inciter l'industrie pharmaceutique et les sociétés de biotechnologie à développer ce type de traitement.

En raison du faible nombre de patients concerné, les coûts du développement et de la mise sur le marché d'un médicament destiné à diagnostiquer, à prévenir ou à traiter une maladie rare ne sont pas amortis par les ventes escomptées du produit. Les entreprises pharmaceutiques sont donc peu disposées à les développer dans les conditions habituelles de commercialisation.

Or, les patients souffrant d'affections rares doivent pouvoir bénéficier de la même qualité de traitement que les autres.

Il est apparu nécessaire, dans ces conditions, d'inciter l'industrie pharmaceutique à promouvoir la recherche, le développement et la commercialisation de traitements adéquats.

Définition de www.social-sante.gouv.fr

A propos des partenaires

Association Française du Lupus et autres maladies auto-immunes (AFL+)

Le rôle premier de l'AFL+ est de recueillir et de diffuser des informations concernant le lupus et les autres maladies auto-immunes à toute personne concernée par l'une de ces maladies. L'AFL+ favorise les échanges d'expériences entre malades en leur apportant un soutien moral sur un plan régional, national et international. L'AFL+ sensibilise les familles sur les problèmes que rencontrent les malades dans l'environnement quotidien, crée des passerelles entre les adhérents et le corps médical et paramédical, soutient la recherche sur le lupus et autres pathologies touchant le système immunitaire.

F-CRIN

F-CRIN, pour « French Clinical Research Infrastructure Network », est une unité mixte de service (UMS 015) associant l'Inserm, le CHU de Toulouse et l'Université Toulouse III « Paul Sabatier ». C'est la composante française d'ECRIN, une infrastructure européenne supportant la réalisation d'essais cliniques multinationaux. L'infrastructure F-CRIN a donc pour objectif de soutenir les investigateurs et promoteurs français dans le domaine des essais cliniques pour les aider à répondre aux nouveaux critères internationaux d'attractivité et d'efficacité. F-CRIN, pour « French Clinical Research Infrastructure Network », est une unité mixte de service (UMS 015) associant l'Inserm, le CHU de Toulouse et l'Université Toulouse III « Paul Sabatier ». C'est la composante française d'ECRIN, une infrastructure européenne supportant la réalisation d'essais cliniques multinationaux. L'Infrastructure F-CRIN a donc pour objectif de soutenir les investigateurs et promoteurs français dans le domaine des essais cliniques pour les aider à répondre aux nouveaux critères internationaux d'attractivité et d'efficacité. La Coordination de F-CRIN assure une réelle valeur ajoutée d'experts dans l'accompagnement de projets cliniques.

OrphanDev

OrphanDev est une plateforme académique d'expertise rattachée à Aix-Marseille Université. Elle est une composante labellisée de l'infrastructure F-CRIN. Elle est spécialisée dans l'accompagnement des chercheurs, médecins et industriels en santé dans le développement de médicaments dans les maladies rares. L'ensemble des outils et services qu'elle propose permet l'accélération du développement de thérapeutiques dans les maladies rares.

Fondation Maladies Rares

La Fondation maladies rares accélère la recherche grâce à une politique active de financement et à une équipe déployée sur le terrain pour aider les chercheurs et les médecins à identifier la cause des maladies et réduire les délais de diagnostic, développer des médicaments et rompre l'isolement des personnes malades et de leur famille.

Elle est devenue en quelques années, un acteur indispensable pour mettre en lien les différents acteurs et accélérer la recherche sur les maladies rares.

EATRIS

EATRIS (European Infrastructure for Translational Medicine) est une infrastructure de recherche destinée à accélérer la transformation des découvertes issues de la recherche fondamentale en innovations médicales pour le traitement des maladies et maladies rares.

EATRIS regroupe plus de 80 grandes équipes européennes d'experts, dont les compétences en recherche translationnelle sont reconnues internationalement. EATRIS simplifie l'accès à leur expertise en offrant un guichet unique au service de la communauté scientifique et industrielle. En plus, d'offrir accès aux infrastructures de recherche, EATRIS permet à chaque projet d'accéder à des domaines d'expertise supplémentaire, tels que les affaires règlementaires, impératives au bon développement d'un projet de recherche translationnel innovant.

Contacts :

Cristina Belizna, CHU Angers : cristina.belizna@wanadoo.fr et crbelizna@chu-angers.fr

Marianne Rivière, AFL+ : riviere.marianne@wanadoo.fr

Virginie Fabre, FCRIN : virginie.fabre@inserm.fr

Cécile Colomban, OrphanDev : cecile.colomban@univ-amu.fr

Nicolas Jan, Fondation maladies rares : nicolas.jan@fondation-maladiesrares.com

Joost Wesseling, EATRIS : joostwesseling@eatris.eu

Anita Rénier – CHU Angers

Directrice de la communication

Tel : 02 41 35 53 33 / 06 65 80 66 81

directioncommunication@chu-angers.fr

Nolwenn Guillou – CHU Angers

Relations presse – Rédactrice

Tel : 02 41 35 79 97

nolwenn.guillou@chu-angers.fr