

# PHARMASCOPE

N° 7 - AVRIL 2024



PHARMASCOPE  
2024



MACCSF



**HEALTH DATA HUB ET  
MARCHÉ DES DONNÉES  
DE SANTÉ**

**DMLA : LES DEUX FACES  
D'UN MARCHÉ  
DYNAMIQUE**

**LENMELDY : LE  
MÉDICAMENT LE PLUS  
CHER DU MONDE**

**RESMETIROM : PREMIÈRE MOLÉCULE  
APPROUVÉE PAR LA FDA DANS LA  
NASH**

# REMERCIEMENTS

Bonjour à tous, et bienvenue sur cette septième édition du PharmaScope !

Tout d'abord, nous avons une pensée particulière pour notre responsable de filière, le Dr Mounira Hamoudi, pour son temps et son soutien indéfectible vis-à-vis du projet.

Nous tenons également à remercier Alexandre Piorunowski et Caroline Mascret, créateurs de JedisPharma, pour leur intérêt vis-à-vis de notre projet. Nous espérons une belle expérience collaborative à venir, qui marque le début d'un tout nouveau support pour l'équipe du PharmaScope !

Nous tenons également à remercier la MACSF, partenaire de ce journal, pour la prise en charge de l'impression du PharmaScope ! C'est en partie grâce à vous que nous avons la possibilité de continuer de fournir un support d'information scientifique entièrement gratuit pour les étudiants !



Enfin merci à vous, lecteurs, qui nous donnez la motivation de continuer par vos messages de soutien et d'encouragement !

Bonne lecture !

Axandre, Fanélie, Nyaba et Alix



# SOMMAIRE

Page 3

## **ACTUALITÉ**

Lenmeldy, la palme du médicament  
le plus cher du monde

Page 7

## **ACTUALITÉ**

Le resmetirom : première molécule  
approuvée par la FDA dans la NASH

Page 12

## **JEDISPCHARMA**

Se former et s'informer en 60  
secondes !

Page 15

## **FOCUS PATHOLOGIE**

DMLA : les deux faces d'un marché  
dynamique

Page 20

## **POINT INNOVATION**

Health Data Hub et marché des  
données de santé

# LE LENMELDY

La palme du médicament le plus cher du monde

 Orchard  
therapeutics™

# LE RESMETIROM

Première molécule approuvée par la FDA dans la NASH





# LE LENMELDY

LA PALME DU MÉDICAMENT LE PLUS CHER DU MONDE

Dans le paysage pharmaceutique mondial, une thérapie génique cristallise actuellement toute l'attention en raison de ses promesses curatives et de son prix astronomique dans une indication pédiatrique : le Lenmeldy. Ce traitement approuvé le 18 mars dernier par la Food and Drug Administration (FDA) et développé par la biotech Orchard Therapeutics, est facturé à 4,25 millions de dollars la dose aux États-Unis dans une modalité de perfusion unique indiquée dans la leucodystrophie métachromatique. Connu sous le nom d'atidarsagene autotemcel (arsa-cel), ce traitement est également approuvé en Europe sous le nom commercial de Libmeldy. Le Lenmeldy s'est vu octroyer le statut de médicament prioritaire en septembre 2023 par la FDA et a obtenu un PRV (Priority Review Voucher), un bon d'examen prioritaire cessible dans le cadre d'une demande d'autorisation de mise sur le marché (1).

## FOCUS SUR LA LEUCODYSTROPHIE MÉTACHROMATIQUE

Le Lenmeldy est indiqué chez les enfants atteints de leucodystrophie métachromatique à début précoce (MLD) comprenant les formes pré-symptomatiques tardives, précoces juvéniles et symptomatiques précoces juvéniles. La MLD est une forme de trouble du stockage lysosomal appelée sphingolipidose touchant une naissance sur 40 000 aux États-Unis soit 15 à 20 naissances par an. Cette maladie génétique rare est causée par une mutation du gène responsable du codage de l'enzyme arylsulfatase A (ARSA). Cette anomalie entraîne des lésions neurologiques et une régression du développement dû à l'accumulation de graisses appelées sulfatides dans les cellules.

Cette pathologie se manifeste par une perte progressive des fonctions motrices et cognitives, avec une atteinte potentielle de l'ouïe et de la vision. Les patients atteints ont une espérance de vie limitée à 5 ans après la découverte de la maladie, entraînant une prise en charge palliative (2). Le diagnostic peut être posé différemment selon l'âge auquel se manifeste l'aspect clinique de la maladie.

### Le diagnostic de la MLD chez un patient :

Un dépistage prénatal est réalisé par prélèvement de villosités choriales ou par amniocentèse. Après la naissance, le diagnostic est établi par des études de conduction nerveuse dont l'objectif est de mesurer la vitesse de conduction des impulsions nerveuses. Des analyses de sang et d'urines, la mesure du taux d'arylsulfatase A dans les cellules et des examens d'imagerie tels que la tomодensitométrie (TDM) ou l'imagerie par résonance magnétique (IRM) du cerveau visant à détecter une atteinte de la gaine de myéline, peuvent également être réalisés.

### Qu'est ce qu'un sulfatide ?

Les sulfatides sont des graisses produites par les oligodendrocytes, les cellules de la substance grise, de la substance blanche et de la moelle épinière. Lorsqu'elles ne sont pas décomposées, elles endommagent le système nerveux central et périphérique.

Il existe des formes moins graves chez l'adulte et des analyses génétiques sont proposées pour déterminer si un couple présente un risque accru d'avoir un enfant atteint (3). La MLD est une maladie incurable dont le besoin médical n'est couvert par aucun traitement et présente ainsi une charge émotionnelle et financière pour les familles.

## La place du Lenmeldy dans la stratégie thérapeutique de la MLD :

Le Lenmeldy vise à corriger la cause génétique sous-jacente de la MLD en insérant une ou plusieurs copies fonctionnelles du gène ARSA humain *ex vivo*, soit à l'extérieur du corps, au sein du génome des CSH d'un patient à l'aide d'un vecteur lentiviral.

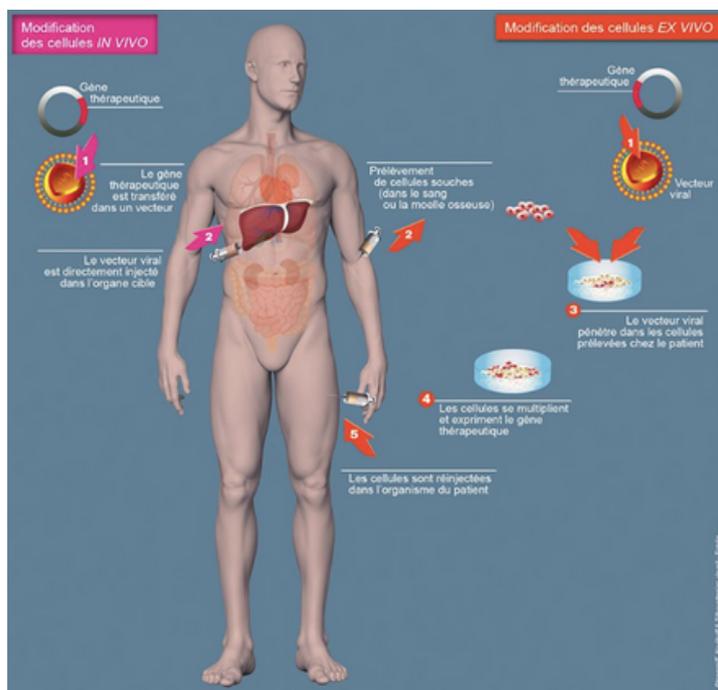


Schéma du fonctionnement d'une thérapie génique *ex vivo* et *in vivo*, une recherche de longue haleine qui porte ses fruits - Inserm (9)

Les vecteurs lentiviraux représentent 9,5% des vecteurs viraux utilisés dans les thérapies géniques et se définissent comme des rétrovirus créés *in vitro* par transfection de plasmides dans des cellules de mammifères. Les particules virales sont récoltées après centrifugation et utilisées pour insérer un transgène de manière stable dans le génome d'une cellule cible (4).

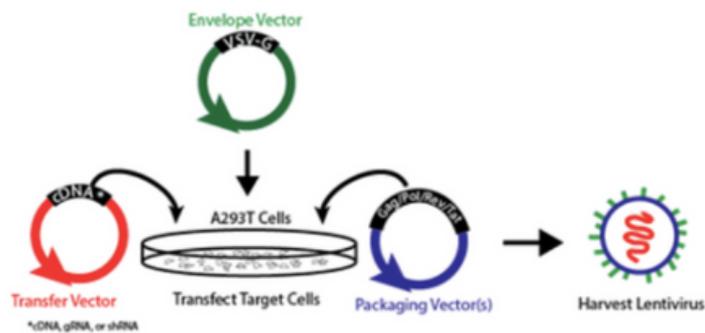


Schéma de la production d'un Lentivirus, Lentiviralguide - Addgene (4)

Les cellules génétiquement modifiées sont réinjectées au patient et vont migrer à travers la barrière hémato-encéphalique jusqu'au système nerveux central où elles expriment l'enzyme fonctionnelle. Cette approche permet de restaurer la fonction enzymatique et ainsi de ralentir voire arrêter la progression de la maladie, offrant un nouvel espoir aux patients et à leur famille.

« Lenmeldy est véritablement un médicament qui change de paradigme et a le potentiel d'arrêter ou de ralentir cette maladie infantile dévastatrice avec un seul traitement, en particulier lorsqu'il est administré avant l'apparition des symptômes » a déclaré Bobby Gaspar, co-fondateur et PDG d'Orchard Therapeutics.

L'approbation du Lenmeldy par la FDA est basée sur les données de 37 patients pédiatriques atteints de MLD à début précoce, inclus dans deux études cliniques ouvertes à un seul bras ou traités dans le cadre d'un essai élargi à l'échelle européenne. Les patients ont reçu une administration unique de la thérapie génique et ont été comparés à des données préexistantes de vie réelle (RWD). Durant les essais cliniques, un risque accru de thrombose a été recensé, ainsi qu'un risque significatif d'encéphalite ou encore d'infection (5).

## Quelle approche stratégique adopte la biotech?

Orchard Therapeutics est une biotech récemment acquise par le groupe pharmaceutique japonais Kyowa Kirin, spécialisée dans le traitement des maladies rares et héréditaires pour lesquelles il n'existe pas d'option thérapeutique, ou qui sont inefficaces et associées à de graves complications.

Leur catalogue cible des troubles neurométaboliques, qui correspondent à des problèmes liés au fonctionnement du cerveau et au métabolisme, c'est-à-dire au processus par lequel l'organisme convertit les aliments en énergie. L'approche stratégique de l'entreprise s'élabore au cœur de l'exploitation du potentiel des cellules souches sanguines génétiquement modifiées d'un patient, également connues sous le nom de cellules souches hématopoïétiques (CSH). Leur utilisation a pour objectif de corriger la cause sous-jacente d'une maladie génétiquement permanente en une seule administration (6).

### Les C&GT : une stratégie scientifique de pointe pour les groupes pharmaceutiques

Les Cell and Gene Therapies (C&GT) appartiennent aux Advanced Therapy Medicinal Products correspondant aux Médicaments de Thérapie Innovante en France. Ces thérapies délivrent un intérêt thérapeutique pour une population spécifique de patients et traitent des maladies rares ou améliorent des thérapies déjà existantes. Les C&GT contiennent des gènes conduisant à un effet thérapeutique, prophylactique ou diagnostique. L'objectif est d'insérer des gènes recombinants dans le corps humain pour traiter un panel large de maladies avec un positionnement important en oncologie. Si les C&GT sont un sujet depuis 3 décennies, c'est en 2017 que leur intérêt a explosé avec la commercialisation des CAR-T Cell : Kymriah par Novartis et Yescarta par Gilead (Souvenez-vous du PharmaScope n°4 sur les CAR-T Cell !). Aujourd'hui, les thérapies géniques occupent une place importante des stratégies de Recherche et Développement (R&D) des laboratoires pharmaceutiques avec 1 800 traitements en cours d'essai en 2022 (7). En effet, les thérapies géniques apportent une approche plus innovante avec une médecine personnalisée pour les patients, offrant des traitements plus ciblés pour améliorer l'effet thérapeutique recherché. De cette façon, elles réduisent les effets indésirables et assurent une meilleure utilisation des ressources de santé en évitant le recours quasi-inutile à certains traitements peu efficaces.

Le développement de ce secteur stratégique offre de nombreuses opportunités en fournissant un espoir pour les patients et leur famille, réduisant le fardeau de leur maladie jusqu'ici incurable avec une amélioration de leur qualité de vie. D'un point de vue hospitalier, les C&GT pourraient permettre de réduire le coût des thérapies ainsi que les équipements et personnels soignants nécessaires pour effectuer et superviser des procédures qui peuvent s'avérer très longues. Ces thérapies font l'objet d'une stratégie commerciale pour les entreprises dont les contours sont soumis aux exigences des autorités de santé, nécessitant une collaboration rigoureuse et transparente avec celles-ci. Malgré ces contraintes, la FDA prévoit l'approbation d'environ 10 produits C&GT par an à partir de 2025.

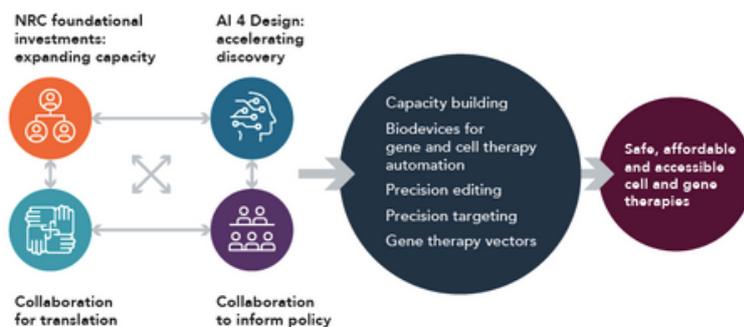
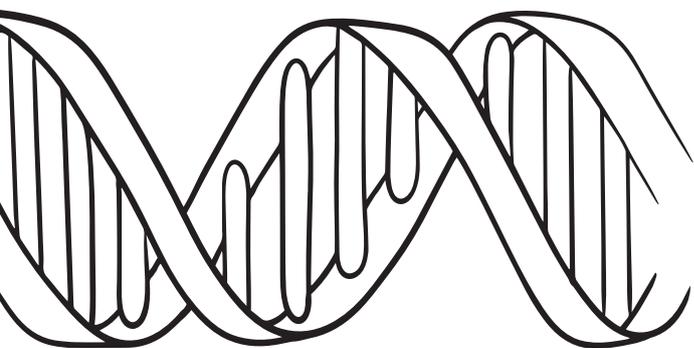
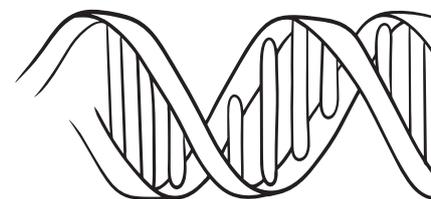


Schéma représentant le challenge des programmes de développement des thérapies géniques au Canada, National Research Council Canada (10)

### Les fondements d'un prix si élevé

Cette nouvelle approche de médecine de précision sur laquelle repose le développement du Lenmeldy pose de nombreux défis de coûts de R&D, de production, d'organisation et de design des essais cliniques. Cet ensemble s'inscrit dans une problématique d'obtenir un retour sur investissement intéressant couvrant ces frais pour le laboratoire. À cet ensemble s'ajoute un versant d'exigence de transparence auprès des autorités de santé pour les thérapies innovantes, pour lesquelles des niveaux suffisants de SMR et d'ASMR sont plus difficilement atteignables. La FDA a cependant désigné un statut de médicament orphelin pour le Lenmeldy dans son indication pour la MLD, témoignant d'un profil bénéfice / risque global favorable. En effet, les données des essais cliniques ne suggèrent pas de contrainte en termes de sécurité qui aurait

nécessité une stratégie d'évaluation et d'atténuation du risque. En se positionnant sur le besoin médical non couvert d'une maladie pédiatrique fatale avec un produit dont les effets indésirables ne contre-balancent pas les bénéfiques, la biotech s'est assurée un accès au marché et un prix dépassant celui de l'Hemgenix dans l'hémophilie B qui était jusqu'à présent détenteur du titre de médicament le plus cher au monde. Le Lenmeldy, en tant que thérapie génique, fait cependant l'objet d'une étude post-commercialisation pour évaluer le risque d'apparition de tumeurs malignes, secondairement à son utilisation (8).





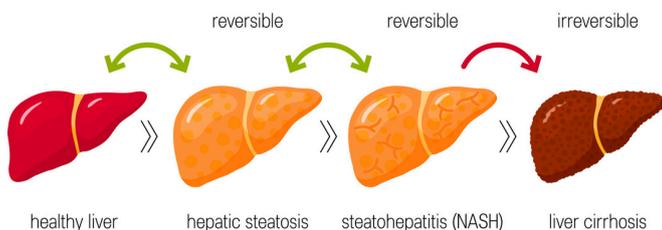
# LE RESMETIROM

PREMIÈRE MOLÉCULE APPROUVÉE PAR LA FDA DANS LA NASH

“Le 14 mars 2024 devient ainsi une date historique dans le domaine de la NASH (Non-Alcoholic SteatoHepatitis ou stéatohépatite non alcoolique) puisqu’il s’agit de la première approbation accélérée au niveau mondial”, réagit le cabinet d’analyse financière Invest Securities.

En effet, la Food and Drug Administration (FDA), l’organisme régulateur américain, a récemment approuvé le premier traitement au monde pour la stéatohépatite non alcoolique, une maladie du foie gras souvent associée à une alimentation déséquilibrée et à un mode de vie sédentaire. Le Rezdiffra (resmetirom), développé par la société biotechnologique Madrigal basée à West Conshohocken, en Pennsylvanie, a reçu le feu vert pour sa commercialisation (1).

## STAGES OF LIVER DAMAGE



**Dégradation du foie au cours d’une stéatose hépatique (2)**

## QUELQUES CHIFFRES CONCERNANT LA NASH

Pour information, depuis peu, le terme de stéatose hépatique métabolique (MASH : metabolic dysfunction-associated steatohepatitis) a été introduit afin de caractériser cette pathologie.

L’intérêt de cette nouvelle appellation est de ne plus limiter la discussion à la forme non alcoolique de la maladie du foie, ce qui permet de couvrir un éventail plus large de conditions hépatiques associées au syndrome métabolique.

La prévalence grandissante de la NASH dans les pays industrialisés suscite une inquiétude croissante. Avec une estimation entre 25 et 30%, cette maladie est sur le point de devenir la principale raison de transplantation hépatique aux États-Unis au cours des 5 à 10 prochaines années (3). Elle est actuellement la première cause de maladie chronique du foie dans le monde (3). Les symptômes ne se manifestent généralement pas avant que la cirrhose ne se développe, ce qui rend souvent sa détection fortuite.

En France, cette affection est particulièrement répandue. Au cours d’une étude de cohorte de 2019 relayée par le site [ameli.fr](http://ameli.fr), 16,7 % de la population étudiée présentait une stéatose non alcoolique. Les hommes étaient touchés à hauteur de 24,6 %, contre 10,1 % chez les femmes. Les personnes obèses représentaient 79,7 % des cas, et 63 % des diabétiques étaient également affectés (4).

Les chiffres de l’Inserm, basés sur cette même étude, révèlent que 2,6 % des individus de la

cohorte souffraient de NASH, une forme avancée et sévère de la maladie, ce qui représente plus de 200 000 personnes en France (4).

Selon la Société Nationale Française de Gastro-entérologie, les projections indiquent que la prévalence de cette pathologie pourrait atteindre les 63% d'ici 2030, avec une triplée des complications de cirrhose et des carcinomes hépatocellulaires liés à la NASH (4).

Ces données soulignent clairement le défi majeur que représente cette pathologie pour la santé publique.

### **QUELS SONT LES DÉFIS ?**

Les laboratoires pharmaceutiques se heurtent à plusieurs obstacles majeurs dans la mise au point de traitements destinés à la NASH.

Tout d'abord, la complexité de cette maladie rend sa physiopathologie difficile à appréhender, avec certains mécanismes encore méconnus.

De plus, le diagnostic de la NASH est compliqué par son caractère souvent asymptomatique (la NASH est souvent qualifiée de « maladie silencieuse »), et le recours à des méthodes de diagnostic invasives telles que la biopsie hépatique.

S'ajoutant à cela, les modèles animaux utilisés en recherche ne reproduisent pas parfaitement les différents aspects de la pathogenèse de la NASH chez l'Homme. Par conséquent, la translation des résultats obtenus à partir de ces modèles vers des applications cliniques peut être difficile.

Enfin, les exigences réglementaires rigoureuses diffèrent entre la FDA et l'EMA, ajoutant des obstacles supplémentaires et prolongeant souvent le processus d'approbation des médicaments.

Ces défis complexifient le développement de molécules efficaces et représentent un réel problème pour les nombreux patients atteints de la NASH (5).

### **LE RESMETIROM : LA NOUVELLE MOLÉCULE AMÉRICAINE**

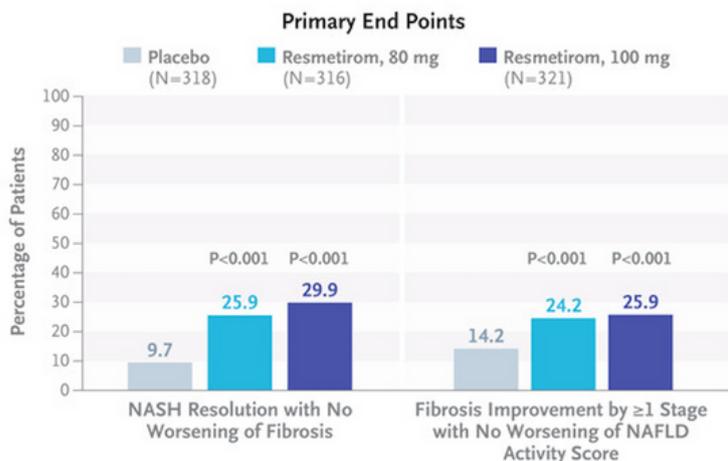
Le resmetirom a été développé par Madrigal, une société biopharmaceutique américaine créée en 2011 qui concentre ses recherches essentiellement sur la NASH et la découverte de nouveaux traitements. Cette nouvelle molécule indiquée dans la NASH agit comme un activateur partiel du récepteur à l'hormone thyroïdienne bêta, induisant ainsi une réduction de l'accumulation de graisse dans le foie par son action sur ce récepteur.

Rezdiffra a été évalué pour sa sécurité et son efficacité dans le cadre d'un essai clinique de phase 3 nommé MAESTRO-NASH, randomisé en double aveugle et contrôlé par placebo, d'une durée de 54 mois, utilisant un critère de substitution mesurant l'étendue de l'inflammation et des cicatrices hépatiques.

Au total, 888 participants ont été répartis aléatoirement pour recevoir soit un placebo, 80 milligrammes de Rezdiffra, ou 100 milligrammes de Rezdiffra, une fois par jour, en plus des soins standards pour la NASH (alimentation saine et activité physique adaptée).

Les résultats à 12 mois ont montré qu'un pourcentage plus élevé de participants traités par Rezdiffra ont présenté une résolution de la NASH ou une amélioration des cicatrices hépatiques par rapport aux patients ayant reçu le placebo.

Environ 25,9 % des participants traités avec 80 milligrammes de Rezdiffra et 29,9 % avec 100 milligrammes de Rezdiffra ont montré une résolution de la NASH et aucune aggravation des cicatrices hépatiques, comparativement à environ 9,7 % dans le groupe placebo. De plus, 24,2 % des participants traités avec 80 milligrammes de Rezdiffra et 25,9 % avec 100 milligrammes de Rezdiffra ont présenté une amélioration des cicatrices hépatiques et aucune aggravation de la NASH, comparativement à 14,2 % dans le groupe placebo (6).



**Résultats des critères primaires principaux de l'essai clinique (6).**

Une amélioration histologique portant à la fois sur la disparition de la stéatohépatite, la régression de la fibrose, mais aussi sur l'amélioration des enzymes hépatiques a été démontrée. Il s'agit, dans cette indication, du premier essai de phase 3 dont tous les objectifs principaux sont atteints. Cet essai représente une avancée pour le traitement médicamenteux de la stéatohépatite métabolique, dont la prévalence est en augmentation année après année dans le monde.

**UN BESOIN MÉDICAL ENCORE NON COUVERT JUSQU'À PRÉSENT**

“Auparavant, les patients atteints de NASH qui présentaient également des cicatrices hépatiques notables ne disposaient pas d'un médicament capable de traiter directement leurs lésions hépatiques. L'approbation aujourd'hui de Rezdiffra offrira, pour la première fois, une option de traitement à ces patients, en plus du régime et de l'exercice.” (traduit de l'anglais) a déclaré Nikolay Nikolov, directeur par intérim du Bureau d'immunologie et d'inflammation du Centre d'évaluation et de recherche des médicaments de la FDA dans un communiqué de presse (7).

En effet, cette approbation marque une avancée majeure dans le traitement de la NASH, offrant ainsi une lueur d'espoir pour les patients et les professionnels de santé. Avec des résultats prometteurs, Rezdiffra représente une véritable

évolution thérapeutique dans la prise en charge de cette maladie complexe et souvent négligée.

Pour les patients atteints de NASH, ce nouveau traitement ouvre la porte à des perspectives de guérison ou d'amélioration significative de leur état de santé, offrant ainsi un soulagement tangible face à une maladie jusqu'ici largement dépourvue de solutions thérapeutiques efficaces.

Pour les prescripteurs et les professionnels de santé, Rezdiffra représente un outil précieux dans leur arsenal thérapeutique, leur permettant de mieux répondre aux besoins médicaux non satisfaits des patients atteints de NASH.

Rezdiffra a reçu les désignations Breakthrough Therapy, Fast Track et Priority Review pour cette indication permettant une disponibilité avancée du médicament pour cette maladie grave répondant à un besoin médical insatisfait (8).

**DÉFINITIONS DE LA FDA (8) :**

**Breakthrough Therapy designation (ou innovation de rupture) :** processus conçu pour accélérer le développement et l'examen de médicaments susceptibles de démontrer une amélioration substantielle par rapport aux thérapies disponibles.

**Fast Track designation (ou procédure accélérée) :** processus conçu pour faciliter le développement et accélérer l'examen de médicaments destinés à traiter des maladies graves et à répondre à un besoin médical non satisfait.

**Priority Review designation (ou examen prioritaire) :** l'objectif de la FDA est de donner suite à une demande dans un délai de 6 mois.

## UN MARCHÉ ATTRACTIF POUR LES LABORATOIRES

Le marché de la maladie du “foie gras” est estimé entre 15 et 20 milliards d’euros. La biotech dijonnaise Inventiva, fondée en 2012, s’est lancée dans la course. Suite aux résultats positifs de son étude clinique de phase IIb NATiVE, évaluant le lanifibranor chez les patients atteints de la NASH, la phase III de l’étude, NATiV3, a été lancée. Ces résultats ont été publiés en juin 2020 et 4 mois plus tard, le lanifibranor a également été désigné comme Breakthrough Therapy par la FDA.

L’étude clinique NATiV3 est une étude randomisée en double aveugle contrôlée par placebo, visant à évaluer l’efficacité et la tolérance à long terme du lanifibranor chez les adultes atteints de NASH non cirrhotique. Menée dans environ 25 pays et sur plus de 350 sites cliniques, NATiV3 vise à recruter 900 patients pour une durée de 72 semaines. L’impact du lanifibranor sur divers critères histologiques, y compris la résolution de la NASH et l’amélioration de la fibrose d’au moins un stade, sera évalué. Des résultats positifs permettraient à Inventiva de solliciter une autorisation de mise sur le marché accélérée auprès de la FDA et conditionnelle à l’EMA (9).

Cependant, le lanifibranor subit actuellement des retards dans l’étude NATiV3 en raison de la crise sanitaire mondiale et du conflit en Ukraine. Initialement prévue dans plus de 20 pays, dont la France, les États-Unis, le Canada, l’Australie et récemment la Chine, l’étude est confrontée à des obstacles logistiques dus à ces circonstances imprévues.

Suite à des analyses médicales supplémentaires sur un patient réagissant mal au traitement, des résultats compatibles avec une hépatite auto-immune ont été identifiés. Cette situation a été signalée aux autorités réglementaires et examinée par un comité indépendant, qui a recommandé de poursuivre l’étude avec des ajustements au protocole, notamment une surveillance hépatique

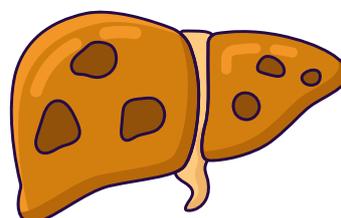
plus fréquente pour tous les participants et l’exclusion de ceux présentant une prédisposition aux maladies auto-immunes.

Malgré ces défis, l’étude clinique se poursuit pour les patients déjà recrutés sans contre-indication. Cependant, en février dernier, le processus de sélection et de randomisation des nouveaux participants a été temporairement suspendu pour intégrer les recommandations du comité indépendant. Cette interruption de quelques semaines a entraîné un décalage estimé à quatre à six semaines par rapport au calendrier initial. Les résultats de l’étude sont attendus pour le premier semestre 2026. Bien que cette situation soit considérée comme gérée de manière adéquate, elle souligne les défis rencontrés lors de la conduite d’essais cliniques, en particulier dans un contexte de perturbations mondiales majeures (10).

De même pour Poxel, une société biopharmaceutique qui développe des traitements innovants contre les maladies métaboliques et certaines maladies rares, s’étant également positionnée dans le marché de la NASH avec son composé, le PXL065. Le PXL065 est un nouveau stéréoisomère R de la pioglitazone stabilisé par substitution au deutérium.

En 2022, l’entreprise annonçait des résultats encourageants de l’étude de phase II (DESTINY-1) évaluant le PXL065 dans le traitement de la NASH versus placebo.

L’étude a atteint son critère principal d’efficacité, démontrant une réduction significative du taux de masse grasse dans le foie après 36 semaines de traitement pour toutes les doses testées (11).





# JedisPharma

***Se former et s'informer en 60 secondes !***

Les études de pharmacie offrent aux étudiants un socle scientifique solide indispensable à l'exercice de leur métier. Néanmoins, ceci se fait parfois au détriment de certaines compétences plus ciblées, comme les bases du marketing pharmaceutique, la pratique des soft-skills...

Et s'il existait un support permettant aux étudiants qui le désirent de se développer personnellement, d'en apprendre plus sur le marketing, tout ça de manière hebdomadaire et en parallèle de leurs études ?

**C'est la promesse de JedisPharma, la newsletter adaptée aux futurs marketeurs de la pharma !**

 **JedisPharma**



**Caroline  
Mascret**



**Alexandre  
Piorunowski**

**Caroline Mascret**, avocate de formation, est spécialisée dans le droit et l'économie de la santé. Aujourd'hui maître de conférence et directrice du Master 2 Marketing Pharmaceutique de Paris Saclay, elle a au cours de sa carrière siégé dans de nombreuses commissions de régulation du médicament et du dispositif médical, et exercé de hautes fonctions de suivi juridique au sein de ces mêmes instances.

**Alexandre Piorunowski** est docteur en pharmacie industrielle et spécialisé dans le marketing scientifique. Suite à diverses expériences au sein de l'industrie pharmaceutique, il occupe aujourd'hui le poste de Manager Général et directeur associé au sein du groupe GMG Santé.

## Quels sont les sujets abordés ?

### 1 Les bases du marketing

La newsletter décrit pour vous les principaux acronymes rencontrés en marketing scientifique, et aide les jeunes marketeurs à prendre leurs marques dans cet univers.

### 2 Le développement personnel

Les supports hebdomadaires donnent des pistes pour se former et se renseigner sur l'importance des soft-skills, dimension délaissée par de nombreux professionnels dans les industries de santé.

### 3 Le PharmaNews

JedisPharma vous aide à vous tenir informé des actualités pharmaceutiques majeures, de manière rapide et concise.

### 4 Les trucs et astuces



<https://substack.com/@jedispharma>



[jedispharma](#)



[Caroline Mascret, Alexandre Piorunowski](#)

## Où suivre cette newsletter ?

La newsletter est publiée tous les jeudis ! Si vous souhaitez la recevoir directement dans votre boîte mail, il suffit de vous inscrire via le lien en bas de la page. Votre information vous parvient toute seule, plus besoin de faire l'effort de faire vos propres recherches !

Vous pouvez également suivre le compte Instagram JedisPharma ! Cette fois, vous pouvez retrouver votre décryptage du jour, sous la forme d'une vidéo courte quotidienne ! Très pratique pour découvrir de nouvelles notions facilement, dans votre feed Instagram.

### Le petit plus

Vous pourrez bientôt retrouver vos rédacteurs du PharmaScope sur le compte instagram de JedisPharma... Le début d'une belle collaboration entre les deux supports !

 JedisPharma

X



PHARMASCOPE

# UN MARCHÉ À DOUBLE FACE

FOCUS PATHOLOGIE

# LA DMMLA



# LA DMLA

## LES DEUX FACES D'UN MARCHÉ DYNAMIQUE

2,2 milliards : C'est le nombre de personnes atteintes d'une pathologie ophtalmique dans le monde en 2023, selon les chiffres de l'Organisation Mondiale de la Santé (OMS) (1). Parmi les affections responsables de ces chiffres : les erreurs de réfraction, comme la myopie ou la presbytie, puis la cataracte, le glaucome, les rétinopathies diabétiques, ou encore la Dégénérescence Maculaire Liée à l'Âge (DMLA).

Cette dernière est aujourd'hui la première cause de déficience visuelle dans les pays industrialisés (2) : pour les 1 à 1,5 millions de patients atteints de DMLA en France, les avancées thérapeutiques sont primordiales et nécessaires afin de conserver leur qualité de vie.

### QU'EST-CE QUE LA DMLA ?

La DMLA est une maladie chronique affectant la partie centrale de la rétine, la macula. Il existe deux formes distinctes de DMLA : la forme sèche, représentant 85% des cas, et la forme humide, concernant les 15% de patients restants (3).

La forme sèche est la forme la plus précoce de DMLA : celle-ci provoque des dérèglements de l'épithélium pigmentaire rétinien, qui a un rôle clé dans le maintien des photorécepteurs.

Bien que le mécanisme physiopathologique ne soit pas parfaitement connu, on observe un vieillissement des tissus, et une détérioration de la capacité de ces derniers à éliminer les différents déchets cellulaires. L'accumulation de ceux-ci provoque la formation de "drusen" (amas de déchets cellulaires jaunâtres) autour de la macula, qui à terme peut provoquer une perte progressive de la vision centrale (5).

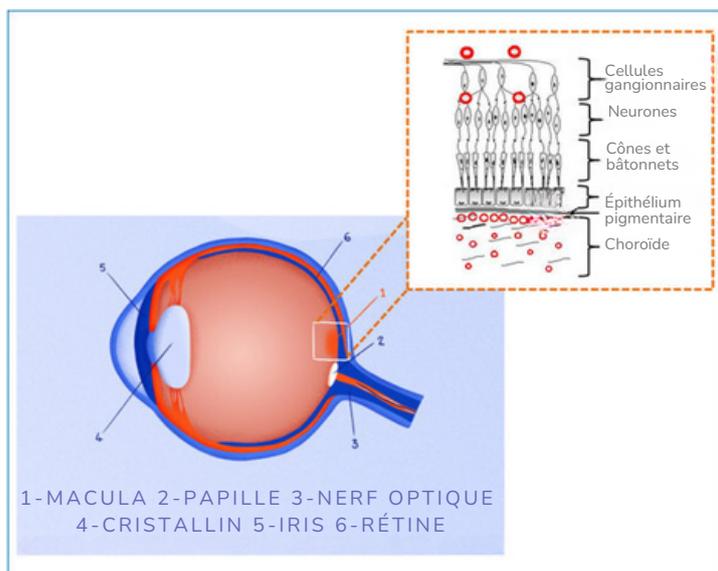


Schéma des différentes parties de l'oeil  
Bénédicte Merle, 2023 (4)

### DEUX ÉVOLUTIONS POSSIBLES

L'évolution de la DMLA sèche peut mener à deux états pathologiques distincts, dont les mécanismes sont totalement différents

- L'atrophie géographique se définit par la disparition progressive des cellules de l'épithélium pigmentaire rétinien central, puis de la choroïde et enfin des photorécepteurs. Les lésions atrophiques formées sont observables en fond d'œil, et leur progression notamment près de la fovéa entraîne une perte de vision irréversible pour les patients. Un dérèglement du système immunitaire est suspecté de favoriser cet état pathologique.
- La DMLA humide, ou exsudative, est due à une angiogenèse mal équilibrée. Celle-ci se fait par le développement de vaisseaux capillaires à partir de vaisseaux déjà existants. Ces derniers sont anormaux de par leur paroi plus fine et perméable, et laissent diffuser un sérum, ce qui peut provoquer des hémorragies ou un décollement de la rétine. Il en découle une perte des cellules et de la fonction visuelle (5).

Bien que ces deux formes aient une prévalence à peu près équivalente, la forme humide a observé une émergence de traitements bien plus importante que la forme sèche. Aujourd'hui, les formes précoces de DMLA ne sont pas traitées, et les recommandations en vigueur incitent à la surveillance régulière de l'évolution de la pathologie.

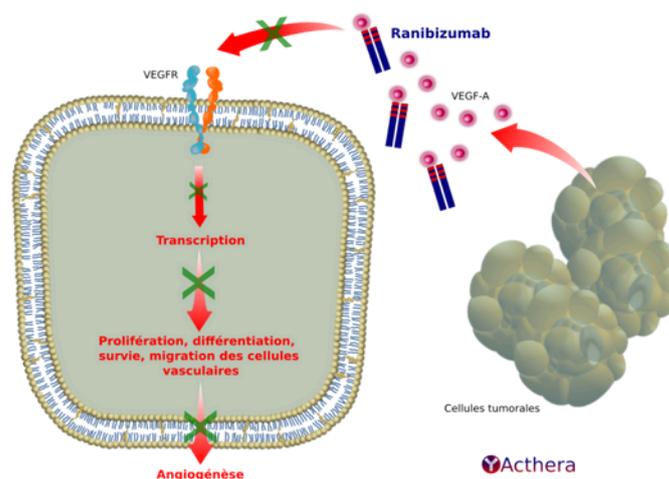
## Que représente ainsi le marché de la DMLA dans le monde, et quels sont les acteurs majoritaires positionnés dans cette aire thérapeutique ?

### LA DMLA HUMIDE

La physiopathologie de la DMLA humide, bien que plus agressive que la forme sèche, est mieux connue de la communauté scientifique. En effet, le processus de néovascularisation tumorale est retrouvé dans de nombreux types de cancers, et les recherches déployées dans d'autres aires thérapeutiques trouvent tout leur intérêt dans cette affection maculaire.

Novartis est ainsi le premier acteur à s'être engagé dans le traitement de la DMLA humide, avec la commercialisation de Lucentis (Ranibizumab), un anticorps monoclonal dirigé contre le Vascular Endothelial Growth Factor A (VEGF-A), en parallèle de la commercialisation d'autres anticorps anti-VEGF comme l'Avastin (Bevacizumab) par Roche.

Au premier semestre suivant la commercialisation du traitement, Novartis avait déjà vu son chiffre d'affaires bondir de 14% par rapport au semestre précédent (6), et les bénéfices générés par le Lucentis ont fait de ce médicament un des plus gros blockbusters de l'histoire du laboratoire suisse. En 2022 et alors même que celui-ci n'était plus protégé par son brevet, le Lucentis a généré 1,1 milliards de dollars pour le groupe.



### Mode d'action de Lucentis (Ranibizumab) Acthera, 2023 (7)

Le monopole exercé par Novartis dans la DMLA a été bousculé par l'arrivée d'Eylea (Aflibercept) sur la même indication en 2011. Agissant sur la même voie que son homologue, ce nouveau traitement a démontré une non-infériorité par rapport à son concurrent, et a obtenu une place identique dans la stratégie thérapeutique malgré un ASMR V. L'exploitant du produit, Bayer Pharmaceuticals, profite alors des revenus conséquents de son nouveau blockbuster pour stabiliser sa situation financière, aux côtés du Xarelto® (Rivaroxaban) qui arrivera sur le marché un an plus tard.

## L'HISTOIRE D'UN SCANDALE

Ces deux spécialités resteront pendant longtemps seules sur leur marché, ce qui implique que leur prix resta très important par rapport à la taille de la patientèle que ces traitements couvraient. Entraînant de grandes dépenses pour la sécurité sociale, une alternative était nécessaire afin de pouvoir continuer à traiter tous les patients.

C'est ainsi que la communauté scientifique se rendit compte que l'Avastin de Roche, bien que non indiqué dans la DMLA, était tout aussi efficace que ses deux homologues, agissant sur la même voie angiogénique. Genentech, le laboratoire américain à l'origine du développement de l'Avastin et du Lucentis, a vendu les droits de commercialisation de ces produits en dehors des États-Unis aux deux industries suisses.

Mais observant l'émergence d'usages off-label de l'Avastin par les médecins, un problème se pose : la spécialité coûte près de 30 fois moins cher, et la part de marché prise par l'Avastin impacte grandement le chiffre d'affaires des exploitants du Lucentis. Les trois laboratoires concernés sont alors accusés d'information trompeuse, parfois même d'escroquerie : le trio, lié par des investissements financiers réciproques, aurait délibérément fait tout son possible pour empêcher la prescription hors-AMM de l'Avastin, afin de préserver les ventes du Lucentis. Parmi les chefs d'accusation, on trouve les termes d'association à visée criminelle, de corruption, de dommages à l'État ou encore d'escroquerie et d'agiotage (8).

1) L'agiotage est défini comme une spéculation malhonnête et illicite sur le cours de la bourse.

2) Novartis a détenu une partie du capital de Roche pendant près de 20 ans, pour la revendre en 2020 pour plus de 20 milliards de dollars.

Une affaire qui pèse alors lourd : les laboratoires écopent d'une sanction s'élevant à 444 millions d'euros par l'autorité de la concurrence. Cette décision fut finalement révoquée en cassation, et **les plaintes allant à l'encontre des exploitants suisses et américains ont toutes été abandonnées.**

## LE MARCHÉ ACTUELLEMENT

Le marché de la DMLA humide est enfin remis au goût du jour par Roche en 2022, qui cette fois obtient une AMM dans le traitement de cette affection pour le Vabysmo (Faricimab). Le produit a rapidement pris sa place dans la stratégie thérapeutique, étant porté par des propriétés pharmacocinétiques différentes permettant un rythme d'administration moins contraignant pour les patients.

La molécule se démarque des 2 précédentes par son action double : cet anticorps, dit bispécifique, agit à la fois sur l'angiopoïétine 2 et le VEGF-A (9). La spécialité a déjà généré plus de 2,4 milliards de dollars, près d'un an après sa mise sur le marché, tandis qu'Eylea est en cours de commercialisation sous une nouvelle forme plus dosée, dans le but d'offrir le même rythme d'administration que son concurrent.

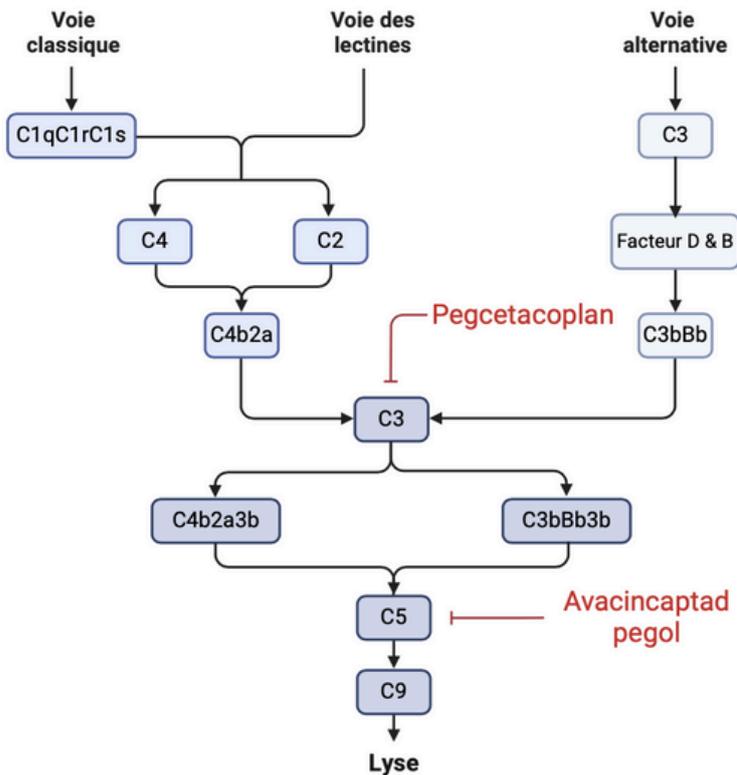
## L'ATROPHIE GÉOGRAPHIQUE

De l'autre côté, la DMLA sèche est réputée moins grave que son homologue exsudative. En effet, souvent à évolution lente, la pathologie semble moins urgente, et les traitements ont mis beaucoup plus de temps à arriver sur le marché. Ceci étant dit, l'atrophie géographique est une évolution tout aussi fréquente que la forme humide de DMLA, et l'absence de thérapie a engendré des conséquences dramatiques sur la prise en charge de ces millions de patients dans le monde.

C'est en 2023 que deux traitements ont émergé en quasi-simultané sur le marché américain : **Syfovre** (pegcetacoplan) et **Izervay** (avacincaptad pegol).

L'avacincaptad pegol est un aptamère pégylé capable de se lier à la protéine C5 du complément. La molécule empêche alors l'action de la C5 convertase, et diminue le contexte pro-inflammatoire observé dans de nombreux types d'atrophie géographique. Le pegcetacoplan agit plus en amont, sur la protéine C3, et montre une efficacité similaire par rapport à son homologue.

Le rachat d'IvericBio a été finalisé pour près de 6 milliards de dollars, un montant qui ne laisse aucun doute sur le potentiel de ces nouvelles thérapies (11). Et pour cause : si les traitements de la DMLA humide sont à 3 sur le marché et génèrent des chiffres d'affaires se comptant en milliards, la population atteinte d'atrophie géographique est comparable, pour un marché très peu concurrentiel.



### Mode d'action de Syfovre et Izervay

Syfovre a été développé par Apellis Pharmaceuticals, une entreprise de biotechnologie américaine avec un portefeuille restreint à la commercialisation du pegcetacoplan pour diverses indications. Suite à son autorisation aux États-Unis, la spécialité essuie un refus par l'Agence Européenne du Médicament, pour cause du choix du critère primaire jugé impertinent et du risque lié à l'injection du produit (10). En effet, l'étude était basée sur l'évolution de la taille des lésions atrophiques rétinienne, un critère objectif mais non fonctionnel et ne reflétant pas l'amélioration de la qualité de vie des patients traités.

Quelques mois plus tard, Izervay fait son entrée sur le marché américain, suite à une fusion d'Astellas et d'IvericBio, biotech à l'origine du développement de la molécule.

L'étude GATHER-2, sur la base de laquelle a été attribuée l'autorisation de commercialisation américaine, regroupait 448 patients, randomisés et traités en double aveugle (12). Bien que celle-ci soit en cours de revue par l'EMA, la prudence est de mise pour l'industrie nipponne : le critère de jugement principal de GATHER-2 est similaire à celui de son prédécesseur, et le mode d'administration est identique. L'espoir réside en la différence de mode d'action, qui pourrait permettre une immunosuppression moins importante et ainsi des effets indésirables plus maîtrisés.

Bien que ces nouvelles thérapies rencontrent des obstacles pour arriver sur le marché européen, elles portent un grand espoir pour les patients atteints d'atrophie géographique, trop souvent en errance thérapeutique.

La DMLA est ainsi un secteur encore extrêmement dynamique de nos jours, ce qui se justifie par plusieurs situations :

- Il existe un grand besoin médical non satisfait ;
- Les prix des traitements sont très élevés et la patientèle est importante ;
- L'incidence et la prévalence augmentent d'année en année avec la hausse de la population gériatrique.

C'est en ce sens que l'ophtalmologie continuera d'être un secteur porteur d'innovation pour de nombreuses années encore, bien que des efforts considérables soient encore nécessaires pour améliorer la prise en charge des déficiences visuelles chez les patients âgés.



*AU COEUR*

*DE L'INNOVATION*

**LE HEALTH  
DATA HUB**



# LE HEALTH DATA HUB

## LA PLATEFORME DES DONNÉES DE SANTÉ

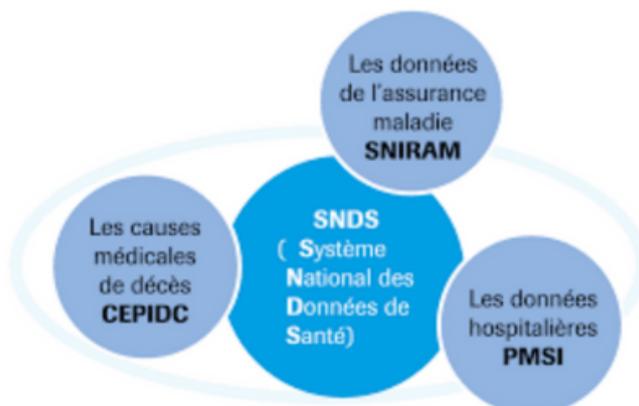
Bien que notre société soit au fait que certaines marques recueillent nos habitudes de consommations à des fins commerciales, elle ignore peut-être que cette pratique peut également être appliquée avec ses données de santé. Si la Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés (CNIL) met tout en œuvre pour que les entreprises respectent le Règlement Général sur la Protection des Données (RGPD), certaines dérives, y compris dans le milieu pharmaceutique, peuvent persister. C'est dans ce contexte qu'a été développée la Plateforme des Données de Santé (PDS) - en anglais Health Data Hub -, une plateforme facilitant le partage de données de santé de sources variées à des fins purement médicales.

### LES DONNÉES DE SANTÉ, DES RESSOURCES CONVOITÉES

Le Health Data Hub est un groupement d'intérêt public (GIP) qui associe 56 parties prenantes, la grande majorité étant des acteurs publics. Cette Plateforme des Données de Santé a pour objectif de stocker et mettre à disposition des données de santé, notamment celles issues du Système National des Données de Santé (SNDS) (1). L'intérêt de la création d'un GIP est de permettre la mise en commun de moyens entre des partenaires publics et privés, et de réaliser des missions d'intérêt général uniquement dans le secteur de la recherche (2). Ainsi, le terme de plateforme fait autant référence aux acteurs qui l'alimentent qu'à la solution technique en elle-même.

Le Système National des Données de Santé est une initiative prise dans le cadre de la loi de modernisation de la santé en 2016. Cette nouveauté a alors permis de mettre en commun des informations de santé provenant de différentes bases dont la plus massive est le Système National d'Information Inter-Régimes de l'Assurance Maladie (SNIIRAM), qui rassemble toutes les données récoltées par

par la Caisse Nationale de l'Assurance Maladie des Travailleurs Salariés (CNAMTS), soit des informations sur 99 % de la population française (3). À côté, elle traite également des données issues d'instances comme les agences régionales de santé, l'INSERM, ou encore les maisons départementales des personnes handicapées. Néanmoins, toutes les données sont non-identifiantes et l'utilisation de ces dernières à des fins promotionnelles ou discriminantes est strictement interdite. Ainsi, la Plateforme des données de santé est responsable du traitement du SNDS, conjointement avec la Caisse Nationale d'Assurance Maladie (CNAM) (4).



Exemples de bases de données incluses dans le SNDS, Innov'Asso.fr

## UN CONTEXTE DYNAMIQUE

Les données en santé, comme dans les autres domaines, se multiplient et proviennent de sources multiples. Ces dernières années, le numérique est devenu un outil indispensable pour les acteurs de la santé qui tendent à s'affranchir du papier, qu'il s'agisse d'institutions publiques ou privées. Déjà en 2017, 96 % des médecins généralistes déclaraient disposer d'un logiciel pour la gestion des patients, et 86 % des spécialistes avoir accès au dossier patient informatisé au sein de leur établissement (5). Également, les logiciels de gestion d'officine se sont démocratisés au point où ils sont aujourd'hui essentiels pour gérer les stocks des pharmacies de ville. Mais ce sont aussi les patients, qui souhaitent de plus en plus être acteurs de leur santé, qui contribuent à cette marée de données. Il est aujourd'hui possible pour le grand public d'analyser, et même prévoir certaines affections avec l'émergence d'applications mobiles et de dispositifs médicaux numériques. Ces technologies s'adressent à tous les marchés, allant d'applications pour le suivi des règles pour les femmes, à des dispositifs permettant de prévenir les risques de rechute pour les patients atteints d'une maladie chronique ou d'un cancer. Ainsi, le numérique s'est peu à peu imposé comme un incontournable en termes de recherche dans la santé. Les chercheurs ont besoin d'un maximum de données issues de profils variés qui leur serviront de base pour innover dans un contexte où la médecine des 4P est en essor : préventive, prédictive, personnalisée et participative. C'est la raison pour laquelle de nouveaux acteurs émergent dans ce marché en expansion. Des sociétés telles qu'IQVIA, Sophia Genetics ou Open Health Company proposent de nouer des partenariats avec des hôpitaux et officines qui, en échange de l'accès à leur base de données, travaillent cette dernière après anonymisation et leur présentent des données

exploitables à des fins scientifiques ou commerciales (3).

## DÉRIVES

Le fait de déléguer des informations si sensibles à ces entreprises privées appelées « courtiers de données » présente en réalité certains risques. Tout d'abord, réside dans ces accords un manque de transparence à l'égard des patients. En effet, une enquête en 2021 a mis en exergue le fait que les personnes concernées n'étaient aucunement informées quant au recueil et à l'utilisation de leurs données lors de leur passage en officine. Or lorsque la CNIL autorise les courtiers de données à exercer, il est clairement stipulé que les patients concernés doivent être informés de manière transparente, via des affiches ou des flyers par exemple. Il est également convenu par cette autorisation que ce recueil servira à des fins médicales dans le cadre d'un intérêt public. Pourtant par cette même enquête, il a été mis en lumière que les données collectées dans ce but se sont retrouvées dans une autre base de données de ce courtier qui, elle, était utilisée à des fins commerciales et à la réalisation d'études de marché payantes (6). Le courtier de données a alors commis deux fautes graves, à savoir le manque de transparence et le détournement des données à des fins éloignées de celles du recueil initial. S'ajoutent à ces dérives des problématiques de sécurité et d'anonymisation de ces données, et ce qu'il s'agisse d'établissements privés comme publics. Nombreux sont les cas de vols de données envers des hôpitaux, pouvant aller jusqu'à plusieurs millions d'euros de rançon sous la menace de rendre ces données publiques (6).

- **CESREES : Comité d'Expertise pour les Recherches, les Études et les Évaluations dans le domaine de la Santé.**



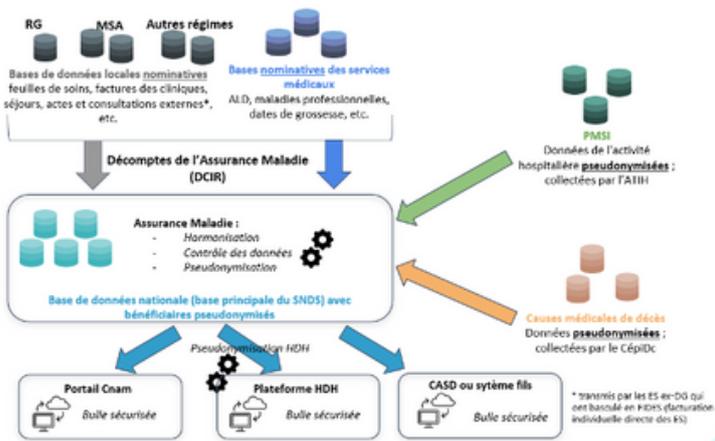
**La question de l'anonymisation des données a été abordée dans le Pharmascope 2 dans l'article sur les biobanques, n'hésitez pas à y (re)jeter un coup d'œil !**

C'est dans ce contexte qu'a été créé par arrêté du 29 novembre 2019 le Health Data Hub. Cette plateforme encadrée par le Code de la Santé Publique a pour vocation de promouvoir l'innovation par la mise à disposition des données issues du SNDS, tout en respectant les droits des usagers en s'engageant à les informer et à faciliter l'exercice de leurs droits. Également, la PDS s'engage à lancer des appels de projets mais aussi à accompagner, notamment financièrement, des porteurs de projets indépendants qui ont préalablement été autorisés par la CNIL. Enfin, dans un souhait de simplifier leur accès, le Health Data Club souhaite faciliter la mise à disposition de jeux de données de santé présentant un faible risque d'impact sur la vie privée, tout en diffusant des normes de standardisation pour l'échange des données de santé (1). Il s'agit d'une réelle ressource car la SNDS est considérée comme l'une des plus grandes bases mondiales de données médicales (3).

spécificités génétiques d'une tumeur avec des informations liées à l'environnement et aux habitudes du patient. Ainsi, cela pourrait aider les prescripteurs dans leurs choix thérapeutiques, et améliorer la performance des soins (3).

**UNE SOLUTION FRAGILE**

Qu'il s'agisse d'établissements privés ou publics, beaucoup d'initiatives similaires à la PDS émergent, et ce dans le souhait commun de faire avancer la recherche. La collecte des données et leur croisement semble être la ressource miracle d'un point de vue scientifique, mais également d'un point de vue économique. C'est la raison pour laquelle ces solutions doivent être encadrées et surveillées étroitement afin que les dérives de ces initiatives ne prennent pas le pas sur l'intérêt général. En France, les données de santé sont protégées par la loi informatique et libertés de 1978, en plus des RGPD de 2018. Cependant, la technologie évoluant à toute vitesse, la réglementation en vigueur se confronte parfois à des ambivalences entre préservation des données et course à l'innovation. Le Health Data Hub semble alors incarner le pont vers ces deux partis, bien que de nombreux challenges notamment en termes de sécurité restent à relever.



Sources d'alimentation du SNDS, Documentation SNDS Health Data Hub.fr

Les enjeux de cette initiative sont conséquents, tant elle touche à plusieurs domaines bénéfiquement. D'abord, cela peut aider à déceler des causes insoupçonnées de pathologie par le croisement de bases de données qui étaient auparavant indépendantes. Dans le domaine de la pharmacovigilance, cela peut permettre de repérer des effets secondaires graves de manière prématurée. Enfin en matière de thérapie de précision, il sera plus évident de mettre en lien les





# RÉFÉRENCES PRINCIPALES

---

## **Le Lenmeldy : la palme du médicament le plus cher du monde.**

- (1)** Orchard Therapeutics reçoit l'approbation de la FDA pour Lenmeldy, atidarsagen e-autotemcel, Zonebourse, **18 mars 2024**
- (2)** Our STN: BL 125758/0, Approval, Food and Drug Administration, **18 mars 2024**
- (3)** La leucodystrophie métachromatique, Matt Demczko, Le Manuel MSD version grand public, **décembre 2021**
- (4)** Lentiviral Guide, Addgene
- (5)** Orchard Therapeutics Outlines U.S. Launch Plans for Lenmeldy™ (atidarsagene autotemcel), the Only Approved Therapy for Children with Early-onset Metachromatic Leukodystrophy, **20 mars 2024**
- (6)** Portail Orchard-Tx, Focus
- (7)** Conférence “The environment of gene and cell therapies in France”, Public Health Expertise, **janvier 2022**
- (8)** Summary Basis for Regulatory Action, Lenmeldy, Food and Drug Administration, **18 mars 2024**
- (9)** “Une recherche de longue haleine qui porte ses fruits”, Inserm, **12 juillet 2017**
- (10)** “About the Disruptive Technology Solutions for Cell and Gene Therapy Challenge program”, National Research Council Canada

# RÉFÉRENCES PRINCIPALES

---

## Resmetirom : le premier traitement approuvé par la FDA dans la NASH

- (1) “Le premier traitement au monde contre la « maladie du soda » vient d’être approuvé, une bonne nouvelle pour Genfit”, Les échos Investir, **19/03/2024**.
- (2) “La maladie du foie gras : est-elle réversible ?”, Futura Sciences, **30/01/2022**.
- (3) “8 juin : journée mondiale de la maladie du foie gras ou NASH”, CHU de Lyon.
- (4) « Tout savoir sur la NASH », Fondation Pour la Recherche Médicale (FRM).
- (5) Pr Bou Karroum, cours sur la NASH, ELC 5A industrie.
- (6) “A Phase 3, Randomized, Controlled Trial of Resmetirom in NASH with Liver Fibrosis”, New England Journal Of Medicine, **07/02/2024**.
- (7) “FDA Approves First Treatment for Patients with Liver Scarring Due to Fatty Liver Disease”, Food And Drug Administration, **14/03/2024**.
- (8) “Fast track, breakthrough therapy, accelerated approval, priority review”, Food And Drug Administration, **12/06/2023**.
- (9) Essais Cliniques, Inventiva Pharma, **12/01/2023**.
- (10) “Inventiva prend la décision d’interrompre temporairement le recrutement des derniers patients pour sa très importante étude clinique contre la « maladie du soda »”, Les échos Investir, **16/02/2024**.
- (11) “Poxel annonce des résultats histologiques positifs dans la NASH lors de l’étude de phase II (DESTINY-1) du PXL065, nouveau stéréoisomère R de la pioglitazone stabilisé par substitution au deutérium”, Lyonbiopôle.

# RÉFÉRENCES PRINCIPALES

## La DMLA : les deux faces d'un marché dynamique

- (1) "Blindness and vision impairment", World Health Organization, **10/08/2023**
- (2) Marianne Berdugo et Francine Behar-Cohen, "La DMLA", Pour la Vision, consulté le **15/04/2024**
- (3) Amar Talbi, "DMLA : physiopathologie et prise en charge thérapeutique à l'officine", Sciences du Vivant, **2021**
- (4) Bénédicte Merle, "Epidémiologie nutritionnelle et vieillissement oculaire : le cas de la dégénérescence maculaire liée à l'âge (DMLA)", Cahiers de Nutrition et de Diététique, Vol 58, Issue 4, **août 2023**, p242-250
- (5) Sonia Mehta, "Dégénérescence maculaire liée à l'âge (DMLA)", MSD Manuals, **avril 2022**
- (6) "Novartis attend un bénéfice record en 2007", Challenges.fr, **17/07/2007**
- (7) Mathilde Glaziou, "Ranibizumab (LUCENTIS®) - Bioréférent", Acthera.univ-lille, **mars 2023**
- (8) Communiqué de presse, "Traitement de la DMLA : l'Autorité sanctionne 3 laboratoires pour des pratiques abusives", Autorité de la concurrence, **09/09/2020**
- (9) Pr. Christophe Carnoy, "Faricimab (VABYSMO®)", Acthera.univ-lille, **21/12/2022**
- (10) "Syfovre (Pegcetacoplan)", European Medicines Agency, consulté le **26/04/2024**
- (11) "Astellas débourse 5,9 milliards de dollars pour acquérir Iveric Bio en ophtalmologie", APM News, **02/05/2023**
- (12) Arshad M Khanani et al, "Efficacy and safety of avacincaptad pegol in patients with geographic atrophy (GATHER2): 12-month results from a randomised, double-masked, phase 3 trial", Lancet, **21/10/2023**

# RÉFÉRENCES PRINCIPALES

---

## Le Health Data Hub : la plateforme des données de santé

- 1) Site de la CNIL, « Plateforme des données de santé : missions et enjeux », **Janvier 2024**
- 2) Site du Ministère de l'Économie des Finances et de la Souveraineté industrielle et numérique, « Groupement d'Intérêt Public »
- 3) Valérie Peugeot, « Données de santé : contours d'une controverse », L'Économie politique, vol. 80, no. 4, pp. 30-41, **2018**
- 4) Site officiel de la CNIL, « SNDS : Système National des Données de Santé », **Mars 2017**
- 5) Enquête Ipsos, "Les médecins à l'heure du numérique", **Janvier 2017**
- 6) France Assos Santé, « Collecte de données à caractère personnel en pharmacie : France Assos Santé saisit la CNIL », **Juin 2021**

*Chers lecteurs,*

*Après de nombreuses semaines d'attente voici la 7ème édition de votre journal d'actualités scientifiques favori !*

*Malgré des emplois du temps très chargés par nos nouveaux stages et la finalisation de notre semestre à la faculté, nous continuons ce beau projet avec vous !*

*Alix DUMENIL*

*Bonjour à tous,*

*Un peu ric-rac mais le voici !*

*Nous espérons ne pas vous avoir trop fait attendre mais promis ça ne se reproduira plus ! De notre côté le plus dur en terme d'emploi du temps est derrière nous, ce qui nous permettra de pouvoir pleinement nous consacrer à notre journal préféré (et à nos stages bien sûr !)*

*Bonne lecture et à très bientôt*

*Nyaba TCHANA*

*Bonjour !*

*Nous voilà déjà à la 7ème édition de votre journal préféré !*

*Nous espérons qu'elle saura vous captiver tout autant que les précédentes. Vos retours sont précieux pour nous, alors n'hésitez pas à nous faire part de vos impressions !*

*Nous vous souhaitons une excellente lecture et espérons vous retrouver très bientôt.*

*Fanélie IBLED*

*Bonjour à tous !*

*Vous venez de lire le 7ème numéro du PharmaScope !*

*Je tiens à féliciter nos lecteurs assidus pour l'entretien constant de leur veille scientifique. J'espère que vous commencez à sentir les effets de ce que vous apprenez ici, dans votre quotidien en industrie ou à la faculté !*

*Alexandre DUBOIS*

**POUR NOUS LAISSER VOS RETOURS**

**RDV SUR : <https://forms.gle/wYwyWWmpqPF9X5Ag9>**

**OU EN SCANNANT LE QR CODE!**

