

Le 04 mars 2014

Partenariat entre l'AP-HP et le laboratoire CTRS pour la prise en charge des maladies rares du foie : une ASMR 1 pour ORPHACOL®

Le laboratoire pharmaceutique Cell Therapies Research & Services (CTRS) obtient le plus haut niveau de l'Amélioration du Service Médical Rendu (ASMR 1¹) de la commission de transparence de la Haute Autorité de Santé pour le médicament orphelin Orphacol®, seul traitement des déficits de synthèse d'acide biliaire primaire, maladies extrêmement rares et la plupart du temps mortelles en l'absence de traitement. Orphacol® permet ainsi aux patients atteints de ces maladies d'éviter une transplantation hépatique, aux conséquences très lourdes notamment chez le très jeune enfant.

Orphacol®, une valorisation exemplaire de l'innovation et la recherche à l'AP-HP

Orphacol® est le premier médicament directement issu de la recherche académique de l'Assistance Publique-Hôpitaux de Paris (AP-HP) ayant obtenu une ASMR de niveau 1, concrétisant un partenariat de longue date, via son Agence Générale des Equipements et Produits de Santé (AGEPS), son Office de Transfert de Technologie et des Partenariats Industriels (OTT&PI) et le laboratoire CTRS. Illustration d'une collaboration exemplaire entre secteurs public et privé, Orphacol® est le fruit d'une longue et belle histoire médicale, pharmaceutique, industrielle, mais aussi humaine. Orphacol® démontre ainsi, de manière inédite, qu'il est possible de produire des médicaments pour un très faible nombre de patients. Cela constitue à la fois un challenge mais aussi un pari réussi, porteur d'espoir quant aux possibilités de développer d'autres médicaments pour d'autres maladies rares. Cette valorisation de l'innovation et de la recherche hospitalière issues des médecins et pharmaciens permet de créer des produits innovants et des entreprises, au bénéfice final des patients.

Historique d'Orphacol®

C'est à partir du début des années 90 que le Professeur Emmanuel Jacquemin (Service d'Hépatologie et de Transplantation Hépatique Pédiatriques, Hôpital Bicêtre, Hôpitaux Universitaires Paris Sud – AP-HP) démontre que l'administration d'acide cholique (principe actif d'Orphacol®) en traitement oral quotidien permet de traiter de jeunes patients atteints de pathologies métaboliques héréditaires extrêmement rares et graves. Ces deux maladies sont caractérisées par un déficit soit en 3β -hydroxy- Δ^5 -C₂₇-stéroïde déshydrogénase/isomérase [3β -HSD] soit en Δ^4 -3-oxostéroïde 5 β -réductase [Δ^4 -3-oxoR] qui entraîne une accumulation de substances toxiques (métabolites hépatotoxiques) et évolue vers une cholestase puis une insuffisance hépatique progressive irréversible et presque toujours létale en l'absence de traitement. Jusqu'à cette découverte, le seul traitement était la greffe de foie avec toutes ses conséquences, d'autant plus importantes que cet acte devait être réalisé le plus souvent dans les premiers mois ou les premières années de la vie.

Les premiers résultats sont particulièrement spectaculaires et la pharmacie de l'hôpital Bicêtre produit les premières gélules. Au vue d'une demande pérenne et croissante, l'hôpital se tourne alors vers une autre structure de l'AP-HP :

1 Le Service Médical Rendu (SMR) est un critère qui prend en compte plusieurs aspects : d'une part la gravité de la pathologie pour laquelle le médicament est indiqué ; d'autre part des données propres au médicament lui-même dans une indication donnée. L'Amélioration du Service Médical Rendu (ASMR) désigne ce qu'apporte un nouveau traitement par rapport aux traitements actuels. En fonction de l'appréciation, 5 niveaux d'ASMR ont été définis, l'ASMR I : majeure. Le niveau d'ASMR intervient dans la fixation du prix d'un médicament remboursable.

l'Agence Générale des Equipements et Produits de Santé (AGEPS) et l'Etablissement Pharmaceutique de l'AP-HP. Celle-ci est alors sollicitée en vue de la reprise de la production de cette préparation hospitalière. L'Etablissement Pharmaceutique de l'AP-HP obtient, en 2002, le statut de médicament orphelin pour ce produit.

La décision d'obtenir une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) européenne est prise avec l'aide de l'Office du Transfert de Technologie et des Partenariats Industriels (OTT&PI). Un accord de licence exclusive est signé en 2007 avec le laboratoire CTRS qui assure le développement industriel et dépose cette demande. Le laboratoire CTRS enregistre l'acide cholique sous l'appellation ORPHACOL® et met le produit à disposition des patients, en France, grâce à des Autorisations Temporaires d'Utilisation (ATU).

Le 12 septembre 2013, le médicament orphelin ORPHACOL® obtient son AMM européenne permettant ainsi de prendre en charge la centaine de patients qui pourraient être atteints sur le territoire européen.

L'efficacité et la tolérance d'Orphacol® ont été largement démontrées. Après une médiane de durée de traitement de 16 ans, aucun patient n'a subi de transplantation hépatique. Tous les patients traités ont retrouvé rapidement une qualité de vie normale.

A propos de l'AP-HP

L'AP-HP, Assistance Publique – Hôpitaux de Paris, est le Centre hospitalo-universitaire (CHU) d'Île-de-France et le 1er CHU d'Europe. Ses 92 000 professionnels s'engagent à offrir à tous, 24h/24, des soins de grande qualité. Les 7 millions de personnes soignées chaque année bénéficient de traitement de pointe dans l'ensemble des disciplines médicales.

Créée à partir de l'ancienne Pharmacie Centrale des Hôpitaux, l'Agence Générale des Equipements et Produits de Santé (AGEPS) met en œuvre la politique de l'AP-HP en matière d'équipements et de produits de santé. Prestataire de services pour les hôpitaux, elle est le service technique et pharmaceutique de l'AP-HP et a par ailleurs des missions nationales d'intérêt général.

Contacts presse

Service de presse de l'AP-HP – 01 40 27 37 22 – service.presse@sap.aphp.fr

A propos de l'OTT&PI

L'Office du Transfert de Technologie et des Partenariats Industriels (OTT&PI) de l'AP-HP protège et valorise toutes les innovations issues des équipes de l'AP-HP et intervient en collaboration avec l'Etablissement Pharmaceutique de l'AP-HP pour valoriser le potentiel des innovations développées en son sein en apportant son expertise en stratégie de valorisation : propriété industrielle, définition des business models, recherche de partenaires industriels et investisseurs pour les étapes de développement des projets innovants.

www.ottpi.aphp.fr

A propos du Laboratoire CTRS

Créé en 2002, le laboratoire CTRS, société de droit français à capitaux exclusivement privés, s'est donné pour mission de développer, d'enregistrer et de commercialiser des produits destinés à traiter des maladies rares et graves pour lesquelles les approches thérapeutiques étaient très insuffisantes voire inexistantes. Rapidement, le laboratoire s'est tourné vers la mise en place de partenariats avec les structures académiques avec pour objectif de développer et faire connaître la richesse de la Recherche Française.

Contacts presse

Antoine FERRY – 01 41 22 09 70 – ctrs@ctrs.fr

Alize RP

Relations Presse

Caroline Carmagnol

caroline@alizerp.com

Tél. : 06 64 18 99 59

Sayuli Nishioka

sayuli@alizerp.com

Tél. : 01 70 22 53 86