



© KYOWA KIRIN / DR

## Avancées → DES THÉRAPIES CIBLÉES QUI CHANGENT LA VIE DES PATIENTS

**POUR METTRE AU POINT ses nouveaux traitements, le groupe s'appuie sur un savoir-faire remarquable.**

**Quelles en sont les particularités ?** Notre développement repose sur la découverte de médicaments innovants principalement en oncologie, néphrologie et immunologie. Ainsi, dans les années 2000, Kyowa Kirin a mis au point la technologie Potelligent® qui permet d'accroître l'activité antitumorale des anticorps monoclonaux. L'acquisition des sociétés ProStrakan en 2011 et Archimedes Pharma en 2014 a signé notre envergure de niveau mondial. Dernièrement, notre groupe s'est focalisé sur la recherche de thérapies ciblées pour répondre aux enjeux des maladies rares.

**Quelles pathologies traitent vos thérapeutiques les plus avancées ?** Deux de nos anticorps monoclonaux ont reçu le statut d'innovation de rupture, respectivement dans l'hypophosphatémie liée à l'X et les lymphomes T cutanés, et nous espérons procéder dès 2020 à leur mise à disposition dans l'Hexagone. Le premier cible le *fibroblast growth*

*factor 23* (FGF 23). En effet, une mutation du gène PHEX peut entraîner une sécrétion excessive du FGF 23, provoquant une baisse du phosphate dans le sang, ce qui dégrade fortement la minéralisation et, par là même, la constitution des os, avec des répercussions morphologiques, articulaires, musculaires et dentaires. L'enjeu est donc de prendre en charge le plus tôt possible les enfants atteints de cette maladie pour leur éviter les déformations des membres inférieurs et du rachis. Même si, dans 20 % à 30 % des cas, aucun antécédent familial n'est retrouvé, il est indispensable d'organiser une consultation génétique de la famille, afin de permettre l'identification d'autres membres potentiellement touchés. Le second cible le récepteur CCR4, exprimé chez tous les patients souffrant de lymphomes T cutanés. Ce nouveau médicament est destiné à traiter toutes les formes de la maladie, aussi bien le mycosis fongioïde que le syndrome de Sézary, sa forme la plus agressive pour laquelle il représente le premier et seul traitement spécifique. A l'avenir, d'autres indications sont espérées pour ces deux traitements : l'ostéomalacie

induite par les tumeurs, les leucémies T induites par HTLV-1 ou encore le lymphome à cellules T périphériques, défini comme un groupe diversifié de lymphomes agressifs qui se développent à partir de globules blancs. Parallèlement, notre portefeuille de recherche recèle une dizaine de molécules, dont un anta-

les molécules de demain, voire de nouvelles innovations de rupture.

**Quelles sont vos valeurs au service de la communauté ?** Seuls, nous ne pouvons pas accomplir de grands progrès. L'apport des associations de patients, des sociétés savantes, des filières de soins,

**« Kyowa Kirin se concentre sur les pathologies où l'arsenal thérapeutique est inapproprié, en s'appuyant sur ses technologies uniques... »**

Kevin Rodriguez

goniste sélectif des récepteurs de l'adénosine, une thérapie adjuvante dans la maladie de Parkinson qui pourrait améliorer la fonction motrice des patients.

**Pourquoi le groupe s'investit-il significativement dans les maladies rares ?**

Tout simplement car les besoins de traitements sont considérables dans ce domaine. Kyowa Kirin se concentre sur les pathologies où l'arsenal thérapeutique est inapproprié, en s'appuyant sur ses technologies uniques, en vue de découvrir

des autorités de santé et l'expertise des médecins sont essentiels, que ce soit en matière de recherche fondamentale ou de mise au point de protocoles pertinents pour garantir que nos innovations présentent un intérêt pour les patients.

C'est dans cet esprit de partenariat, d'indépendance et de respect que nos équipes travaillent étroitement avec l'ensemble des acteurs clés, qui nous guide dans la meilleure façon d'apporter des solutions, au quotidien, pour transformer le devenir des patients atteints de maladies rares.

Christine Colmont

Grâce à sa technologie unique, Kyowa Kirin est parvenu à réaliser plusieurs innovations de rupture. Focus sur sa recherche avec Kevin Rodriguez, directeur de la division Maladies rares de Kyowa Kirin Pharma.

## Missions → VAINCRE LES MALADIES RARES ET AIDER LES MALADES

Née d'une volonté conjointe des acteurs impliqués dans la recherche et des représentants des associations de malades (AFM-Téléthon et l'Alliance Maladies rares), la Fondation Maladies Rares est une fondation de coopération scientifique qui a pour vocation d'accélérer la recherche.

« LE THÈME, cette année, de la Journée internationale des maladies rares, "Vivre avec une maladie rare", rejoint nos missions », explique Daniel Scherman, le directeur de la Fondation. A commencer par l'errance diagnostique, qui s'explique souvent par la complexité de la maladie. « Plusieurs années s'écoulaient avant que la famille d'un enfant malade n'en connaisse la cause, laquelle est à 80 % génétique », regrette le Pr Scherman. La Fondation Maladies Rares, par ses appels à projets annuels, finance des projets de recherche scientifique qui ont notamment permis l'identification de 90 gènes impliqués dans ces maladies.

Une autre épreuve pour les personnes atteintes d'une maladie rare est l'absence de solution thérapeutique. Il est donc urgent que la recherche accélère. En plus de sa politique scientifique active, la Fondation Maladies Rares offre aux médecins et aux chercheurs une proximité sans équivalent grâce à un réseau de sept

responsables régionaux déployés au cœur des interrégions hospitalo-universitaires.

Souffrir d'une maladie rare est au quotidien un véritable combat. Depuis sa création, en 2012, la Fondation Maladies Rares développe aussi des actions majeures de soutiens à des

**« Plusieurs années s'écoulaient avant que la famille d'un enfant malade n'en connaisse la cause, laquelle est à 80 % génétique. »**

Pr Daniel Scherman

projets de recherche en sciences humaines et sociales pour aider les personnes concernées à vivre avec leur pathologie. Ces projets sont toujours menés en collaboration avec des psychologues ou des sociologues, des services hospitaliers et des associations de patients.

Concernant l'annonce du diagnostic, par exemple, la Fondation a financé un travail de recherche qui a abouti

à l'élaboration d'un protocole d'annonce de la maladie aux familles pour aider à amortir le choc psychologique. Autre exemple : pour faciliter le quotidien des enfants atteints de maladies rares, des travaux de recherche sont menés afin d'encourager leur réussite scolaire en améliorant l'attitude des enseignants et de réduire les craintes. La Fondation Maladies Rares « accélérateur de la recherche » s'inscrit dans la révolution numérique qui bouleverse la santé et le système de soins. Elle favorise les échanges et les débats d'idées en e-santé et s'implique également auprès des porteurs d'initiatives.

Enfin, sur le plan économique, par exemple, une étude pilotée par la Fondation a permis d'établir le reste à charge pour les familles et ainsi d'obtenir un meilleur remboursement des soins. C. C.

La Fondation organise un colloque scientifique le 7 mai prochain au Collège de France, à Paris, sur le thème : « L'avancée de la recherche dans les maladies rares ». Pour en savoir plus : [www.fondation-maladiesrares.org](http://www.fondation-maladiesrares.org)



Pr Daniel Scherman

## Hémoglobinurie paroxystique nocturne

### PARCOURS DE SOINS : LE RETOUR À UNE VIE QUASI NORMALE

La qualité de vie des patients atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) s'est considérablement améliorée au cours des dernières années.

UNE ANÉMIE PAR DESTRUCTION DES GLOBULES ROUGES, une thrombose et la disparition des plaquettes et des globules blancs sont les trois symptômes de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN). Ils peuvent être présents simultanément, de manière successive ou encore de manière décalée, explique le Pr Régis Peffault de Latour, du service d'Hématologie-Greffe de l'hôpital Saint-Louis, à Paris. Cette maladie extrêmement rare (ses taux d'incidence et de prévalence sont mal évalués) n'est pas génétique mais acquise. L'âge médian au moment du diagnostic se situe au début de la trentaine. Le système immunitaire devient trop présent et se met à détruire les cellules. D'où une très grande fatigue des patients touchés. Longtemps, le pronostic de l'HPN a été très mauvais. Mais l'arrivée d'un premier traitement a permis le retour à une vie quasi normale (avec une anémie limitée et l'absence de thromboses), à tel point que certaines patientes peuvent désormais fonder une famille sans craindre des complications graves, voire mortelles au moment de l'accouchement. Aujourd'hui, les malades voient leur parcours de soins facilité grâce à l'excellente organisation du réseau\* : un centre de référence situé à l'hôpital Saint-Louis, relayé en régions par des centres de compétence et par une antenne pédiatrique à Robert-Debré (Paris). Pour le Pr Régis Peffault de Latour, les complications de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne sont maintenant contrôlées. L'enjeu consiste désormais à guérir cette maladie. C. C. \* [www.aplasiemedullaire.com](http://www.aplasiemedullaire.com)



Pr Régis Peffault de Latour

## Association Française Contre l'Amylose

### « SOUTENIR LES PATIENTS ET PORTER LEUR VOIX »



MALADIE RARE, COMPLEXE, l'amylose peut rester localisée ou toucher plusieurs systèmes. Grave et invalidante, difficile à diagnostiquer, elle concerne environ 10 000 personnes en France.

Aux symptômes s'ajoute pour les patients la souffrance morale due à un isolement total face à cette maladie peu connue des soignants, des institutions et de leur entourage. « Notre association s'est donné pour objectifs de briser la solitude des malades, d'accélérer le diagnostic et d'encourager la recherche, d'améliorer le parcours de soins et la prise en charge sociale, d'agir

pour un accès rapide et égalitaire aux traitements », explique Françoise Pelcot, son directeur. Créée en 1994, l'association est aujourd'hui présente dans quatre centres de référence, dans quatre filières de santé. Elle a initié et préside la toute nouvelle Alliance internationale d'associations de patients destinée à mutualiser les bonnes pratiques et à stimuler la recherche.

Avec l'arrivée de nouveaux médicaments, 2018 a été un tournant majeur. Désormais, des traitements existent pour les formes les plus fréquentes. De nouveaux essais sont en cours : la recherche est très active. Ce n'est pas

le moment de désarmer, l'Association Française Contre l'Amylose travaille sur l'élaboration d'une plateforme innovante de prédiagnostic, crée un troisième prix annuel, étudie des applications et des outils numériques pour favoriser l'autonomisation des malades, lance au printemps prochain un site pour faciliter les démarches administratives. Les résultats de l'enquête en cours « Impact de l'amylose au quotidien » sont attendus pour doper les actions. Déterminée et dynamique, l'association fourmille de projets. C. C. [www.amylose.asso.fr](http://www.amylose.asso.fr)