



Communiqué de presse

16 juin 2010

Prix Galien 2010

Amgen récompensé pour la mise à disposition d'une biothérapie innovante dans la prise en charge d'une maladie hématologique orpheline

Amgen a reçu aujourd'hui le prix Galien dans la catégorie des « médicaments destinés aux maladies rares » pour le premier facteur de croissance issu des biotechnologies qui stimule la production des plaquettes du sang. Ce prix récompense à la fois un mode d'action unique et une avancée thérapeutique significative dans la prise en charge du purpura thrombopénique immunologique (PTI), une maladie hématologique rare.

Depuis 30 ans, Amgen apporte des solutions thérapeutiques à des maladies graves ou invalidantes, pour lesquelles les besoins médicaux restent importants. L'entreprise accueille ce Prix Galien comme une nouvelle reconnaissance de sa capacité à innover en médecine.

Une approche thérapeutique innovante au service d'une maladie rare

Le médicament a pour propriété de **stimuler la production des plaquettes dans la moelle osseuse**. Avec son mode d'action original et unique, il offre une nouvelle approche thérapeutique au traitement du **purpura thrombopénique immunologique (PTI)**, une maladie auto-immune orpheline qui se caractérise par un taux de plaquettes faible pouvant conduire à de graves complications hémorragiques.

Comment les chercheurs d'Amgen sont-ils parvenus à concevoir cette nouvelle biothérapie ?

La production des plaquettes du sang est sous le contrôle de la thrombopoïétine, une protéine qui active un récepteur identifié à la surface des cellules de la moelle osseuse dans les années 90, grâce aux travaux de chercheurs de l'Inserm. La recherche d'agents pouvant se substituer à la thrombopoïétine pour mimer son effet a débuté dès 1994 mais c'est en développant une **approche inédite reposant sur un nouveau type de biothérapie**, (appelé peptibody) qu'Amgen est parvenu à concevoir un médicament ciblé capable de

stimuler la production plaquettaire.

Un **peptibody** est une molécule biologique hybride composée d'une petite protéine (peptide), capable de reconnaître et d'activer un récepteur ciblé, fusionnée à la partie constante d'un anticorps, qui augmente la demi-vie du médicament dans le plasma sanguin.

Lors des essais cliniques, auxquels la France a largement participé¹, le médicament a permis d'obtenir **une augmentation significative du taux de plaquettes, avec en corollaire un impact positif sur la qualité de vie des patients atteints de PTI.**

Une illustration exemplaire des engagements d'Amgen en R&D

«Nous sommes particulièrement honorés de recevoir le prix Galien 2010, cette biothérapie apporte une nouvelle alternative thérapeutique aux patients souffrant de PTI» a déclaré Gilles Marrache, le président d'Amgen France. «Au travers de ce prix, c'est aussi notre engagement dans une recherche fondamentale et clinique fondée sur la science et l'innovation qui est récompensé». Il ajoute « ce peptibody est la parfaite illustration de cette façon si particulière à Amgen de découvrir de nouveaux médicaments».

Amgen conçoit ses thérapies de façon extrêmement ouverte, en prenant comme point de départ l'étude approfondie des mécanismes physiopathologiques de la maladie, ce qui lui permet d'identifier une cible d'action thérapeutique prioritaire. Les chercheurs s'attachent ensuite à concevoir la molécule adaptée pour agir sur cette cible en assurant le meilleur équilibre entre efficacité et tolérance, qu'il s'agisse de protéines recombinantes, d'anticorps monoclonaux, de peptibody ou de petites molécules... Amgen maîtrise donc la conception, le développement et la production d'une large gamme de médicaments, **offrant ainsi à ses scientifiques une grande latitude d'innovation.**

Dans le cas du PTI, les traitements classiques tentent de limiter la destruction des plaquettes, mais l'étude plus fine des mécanismes physiopathologiques de la maladie a permis de définir une nouvelle approche thérapeutique fondée sur l'augmentation de la production plaquettaire.

Pionnier des biothérapies, Amgen s'est illustré dès les années 80 en développant **deux des plus importantes avancées thérapeutiques apportées par les biotechnologies** : la première érythropoïétine (EPO) recombinante pour stimuler la production des globules rouges en cas d'anémie et le premier G-CSF recombinant pour stimuler la production de certains globules blancs (les granulocytes) dont le nombre peut chuter suite aux chimiothérapies anticancéreuses. **Quelques années plus tard, Amgen proposait deux nouveaux facteurs de croissance aux modalités d'action optimisées.** *« Historiquement, Amgen a été le premier à concevoir les facteurs de croissance hématopoïétique. Depuis de nombreuses années, nos chercheurs avaient à cœur d'être les premiers à mettre au point le facteur de croissance de cette troisième composante du sang que sont les plaquettes »* rappelle Gilles Marrache. C'est désormais chose faite, confirmant ainsi la place de leader qu'occupe Amgen **dans le développement des biothérapies en hématologie.**

¹ Trente-quatre patients français ont participé aux essais cliniques testant la molécule. Un chiffre important au regard du caractère rare de la maladie et du faible nombre de personnes atteintes.

A propos du prix Galien

Le prix Galien récompense chaque année des innovations thérapeutiques récentes mises à la disposition du public ainsi que des travaux de recherche pharmaceutique effectués en France. Il contribue à promouvoir et à dynamiser la recherche en matière de médicament et à encourager les laboratoires et les équipes qui la font avancer.

Contact presse :

Eric Milbergue

Tél. : 01 40 88 27 49