

PRODUITS EN DÉVELOPPEMENT | CONCENTRÉS DE FACTEURS (LE 22 FÉVRIER 2018)

NOM	ENTREPRISE	TYPE	ESSAIS CLINIQUES	DESCRIPTION
<b>Bax 111</b> (vonico $\alpha$ ) (Vonvendi aux É.-U.)	Shire	Facteur de von Willebrand recombinant	<p>En août 2015, Baxalta (maintenant membre du groupe Shire) a annoncé la publication des résultats de l'étude pivot de Phase III sur Bax 111 avec 37 patients souffrant de maladie de von Willebrand de type 3. Les saignements ont été traités avec succès chez tous les patients.</p> <p>En décembre 2015, la FDA des États-Unis a accordé à Baxalta un brevet pour agent biologique pour Vonvendi.</p> <p>En juin 2017, l'Agence européenne des médicaments a approuvé Vonvendi chez les adultes atteints de la maladie de von Willebrand.</p> <p>Au début de 2018, Shire a déposé une demande d'approbation auprès de Santé Canada</p>	Il s'agit d'un facteur de von Willebrand recombinant qui préserve les multimères d'ultra-haut poids moléculaire pour le traitement de la maladie de von Willebrand. Sa demi-vie moyenne est de 21,9 heures.
<b>N8-GP (turoctocog alfa pegol)</b>	Novo Nordisk	Facteur VIII recombinant	<p>L'étude de Phase III PathfinderT2 réalisée auprès de patients atteints d'hémophilie A de 12 ans et plus a été complétée en mars 2014; 175 patients ont été traités de façon prophylactique (50 UI/kg tous les quatre jours, donnant lieu à un taux de 8 % au moment du creux plasmatique) et 11 patients ont été traités à la demande.</p> <p>Sur les 186 patients traités, un a développé des inhibiteurs.</p>	Ce facteur VIII recombinant glycopégylé a démontré une demi-vie de 18,4 heures, environ 1,5 fois par rapport aux traitements les plus récents.
<b>BAY94-9027</b>	Bayer	Facteur VIII recombinant	<p>En février 2014, Bayer a annoncé des résultats positifs dans le cadre de son essai de phase III <i>Protect VIII</i> auprès de 134 adolescents et adultes, qui ont reçu du FVIII tous les 7, 5 ou 3,5 jours. L'étude a rencontré son objectif premier de protection contre les saignements avec moins de perfusions. Aucun inhibiteur n'a été rapporté.</p> <p>En octobre 2017, Bayer a soumis une demande de brevet pour agent biologique à la FDA des É.-U. La demande est en cours d'évaluation.</p>	Il s'agit d'un facteur VIII recombinant pégylé de pleine longueur et à action prolongée, sans plasma ni albumine. L'objectif est d'accroître la demi-vie et de réduire la fréquence des perfusions.
<b>BAX 826</b>	Shire	Facteur VIII recombinant	<p>En mars 2016, Baxalta (maintenant membre du groupe Shire) a publié un rapport sur l'administration du BAX 826 à un premier patient dans le cadre de son étude clinique de phase I.</p> <p>En mai 2017, Shire a annoncé que l'objectif posologique 1 x/sem prédéfini n'avait pas été atteint.</p>	Le BAX 826 utilise une technologie brevetée à base d'acide polysialique (PSA) pour prolonger sa demi-vie circulante.

NOM	ENTREPRISE	TYPE	ESSAIS CLINIQUES	DESCRIPTION
<b>CB2679d/ISU304</b>	Catalyst Biosciences, Inc. et ISU Abxis	Facteur IX recombinant	<p>En avril 2017, l'entreprise a annoncé qu'elle avait reçu l'approbation du ministère coréen de la Santé et de la Sécurité pour commencer des essais cliniques chez l'être humain sur son nouveau médicament expérimental. Elle espère débiter un essai de phase I/II au deuxième trimestre 2017.</p> <p>En septembre 2017, l'entreprise a fait état des résultats de son essai de la Phase I/II, qui ont révélé une puissance 22 fois supérieure à celle de Benefix en perfusion IV, et ont ainsi validé le concept.</p>	L'entreprise affirme que le CB 2679d/ISU304, une variante très puissante de facteur IX coagulant de nouvelle génération a démontré sa capacité de normaliser les taux de facteur IX humain avec une injection sous-cutanée quotidienne lors d'études précliniques.
<b>Coagadex (Facteur X)</b>	Bio Products Laboratory (BPL)	Un concentré de facteur X dérivé du plasma destiné au traitement de la déficience héréditaire en facteur X	<p>En avril 2015, BPL a annoncé les résultats de son étude pivot de phase III. La maîtrise des saignements a été excellente ou bonne pour 98 % des épisodes hémorragiques chez 16 patients. Aucun effet indésirable n'a forcé les sujets à quitter l'étude.</p> <p>En octobre 2015, La FDA des États-Unis a approuvé l'utilisation de Coagadex.</p> <p>En février 2016, l'Agence européenne des médicaments a recommandé l'autorisation de sa mise en marché.</p>	Le facteur X de la coagulation humaine est une protéine dérivée du plasma humain.