

Présentations d'entreprises

CELGENE

Celgene est un laboratoire biopharmaceutique spécialisé dans la recherche, le développement et la commercialisation de molécules innovantes dans des pathologies pour lesquelles les besoins médicaux sont non couverts, en particulier les maladies rares et agressives en hémato-oncologie.

Celgene est présent en Europe depuis 2006 avec 1 400 collaborateurs ; un tiers étant rattaché aux équipes de recherche clinique et médicale. Avec en moyenne 30 % du chiffre d'affaires réinvesti chaque année, le poids de la recherche et du développement est l'un des plus importants de l'industrie biopharmaceutique.

La participation de la France dans la recherche clinique de Celgene au niveau mondial est particulièrement importante, notamment grâce à une étroite collaboration avec des groupes coopérateurs. Ces partenariats permettent de bénéficier et de mettre en évidence les compétences des équipes françaises parmi les équipes les plus reconnues en matière de développement clinique dans le monde de l'hémato-oncologie. Cet important effort de recherche clinique et de partenariats de la part du groupe Celgene en France s'est traduit par la mise en place de plus de 30 essais cliniques sur le territoire national et ont permis la participation de plus de 5 000 patients français, depuis la création de la filiale en 2006. Celgene s'est tout d'abord investi dans les maladies rares hématologiques, et continue à renforcer son expertise dans ce domaine (myélome multiple, syndrome myélodysplasique, lymphome non hodgkinien à cellules T, leucémie lymphoïde chronique). Celgene a alors largement contribué à l'évolution de la prise en charge du myélome multiple et des syndromes myélodysplasiques ces dernières années, améliorant la survie globale des patients atteints de ces maladies rares.

Celgene se concentre également sur les tumeurs solides, et travaille activement au développement d'options thérapeutiques dans des cancers pour lesquels les patients sont en attente d'alternatives thérapeutiques (comme, par exemple, les cancers du pancréas et les mélanomes). Plus récemment, Celgene a élargi son centre d'expertise aux maladies immuno-inflammatoires (maladie de Behçet, arthrite psoriasique, psoriasis...). Enfin, nos équipes scientifiques continuent à développer nos molécules en étudiant les mécanismes d'action, afin de déterminer si elles peuvent répondre à d'autres besoins médicaux non couverts, dans l'espoir d'améliorer la vie des patients aujourd'hui en impasse thérapeutique. Nous nous engageons auprès des patients atteints de maladies rares, en faisant notre possible pour mettre à leur disposition des traitements innovants. En plus des études post-AMM et d'un suivi renforcé de pharmacovigilance, nous mettons l'accent sur des mesures d'information et d'éducation des patients et professionnels de santé, dans le cadre de nos plans de gestion des risques, assurant la sécurité des patients. De plus, nous nous engageons à délivrer une information scientifique de qualité favorisant le bon usage de nos médicaments.

DIVERCHIM

Créée en 2000, DIVERCHIM est devenue la première CRO chimique française pour les sciences du vivant. Les équipes de DIVERCHIM combinent expérience dans le « Drug Discovery », le développement de procédés, la chimie médicinale, la synthèse en parallèle, la synthèse à façon... Diverchim est un expert des synthèses multi-étapes complexes, des réactions à basse température, des réactions asymétriques, de la chimie des organométalliques, des cyclopropanes, des pyrrolidine, des (spiro) oxétanes... Enfin, Diverchim peut développer des procédés à des tailles de lots plus importantes ou développer un nouveau procédé pour des produits déjà existants. Diverchim fait de la synthèse à façon du mg jusqu'à plusieurs kilogrammes cGMP. Notre unité pilote possède deux réacteurs de 250 L afin de répondre aux besoins de production cGMP des sociétés développant des produits dans le domaine des maladies orphelines ou rares.

GENZYME

Entreprise pionnière en biotechnologies, Genzyme est depuis plus de 30 ans à la pointe de l'innovation. Notre mission est de découvrir et de favoriser l'accès à des thérapies qui transforment la vie des patients en attente de solutions médicales satisfaisantes. Genzyme a été la première entreprise à proposer un traitement par enzymothérapie substitutive pour le traitement des maladies rares. Avec quatre traitements commercialisés, Genzyme se caractérise par : un engagement fort auprès des patients et des communautés de patients des communautés de patients ; une recherche internationale focalisée sur les besoins médicaux non satisfaits ; des collaborateurs mobilisés et empreints d'humanité. Au-delà des traitements, Genzyme s'inscrit dans une démarche de concertation entre les différents acteurs afin que professionnels de santé, associations de patients, autorités de santé, responsables politiques, laboratoires œuvrent ensemble. La création de services personnalisés pour accompagner le quotidien des patients et des professionnels de santé est donc essentielle pour Genzyme : un service d'immunosurveillance met à disposition, dans le cadre du suivi régulier des anticorps recommandé par les autorités de santé, le matériel nécessaire au prélèvement, conditionnement et transport des échantillons sanguins, procède aux analyses et communique les résultats aux cliniciens. L'assistance à domicile offre un service global : formation des équipes soignantes, portage des traitements par une société habilitée, mise à disposition de mallettes isothermes dédiées au transport des traitements thermosensibles en vue de faciliter le traitement au domicile du patient.

L'assistance lors des déplacements (vacances, voyages d'affaires...) permet la continuité du traitement et le respect des dates de perfusion des patients en France et à l'étranger conformément à la prescription du médecin. Un service d'information médicale et pharmaceutique disponible 7 jours sur 7 assure un support bibliographique aux professionnels de santé. Les registres internationaux disponibles sur le site www.Isdregistry.com permettent d'améliorer les connaissances sur les maladies de Gaucher, Fabry, Pompe et la MPSI. Le centre de R&D de Genzyme abrite de nombreuses plates-formes technologiques. Ses programmes de développement sur les maladies de Parkinson et de Niemann-Pick, le lupus, la DMLA ou la mucoviscidose ont pour priorité de répondre aux besoins médicaux non satisfaits. Genzyme développe des médicaments et des services dans les maladies rares, la sclérose en plaques et le cancer de la thyroïde, commercialisés dans le monde entier. Genzyme, entreprise du groupe Sanofi, bénéficie du réseau et des ressources de l'un des plus grands groupes pharmaceutiques mondiaux autour du même engagement au service des patients.



LABORATOIRES CTRS

Depuis 2002, année de sa création, les laboratoires CTRS ont cherché à développer et à enregistrer des produits destinés à traiter des maladies rares et graves pour lesquelles les approches thérapeutiques étaient très insuffisantes, voire inexistantes. Dès le début, nous nous sommes tournés vers la mise en place de partenariats avec les structures académiques particulièrement riches en produits innovants. Ainsi, nous avons pu conclure en plus de dix ans des partenariats avec l'Assistance Publique-Hôpitaux de Paris et la Fondation Imagine. Nous avons pu enregistrer à l'Agence européenne du médicament (EMA), grâce au travail remarquable de l'équipe d'hépatologie pédiatrique de l'Hôpital Kremlin-Bicêtre, 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. La seule alternative avant la mise à disposition d'Orphacol® était la transplantation hépatique, avec toutes les conséquences que vous pouvez imaginer, surtout chez le très jeune enfant. De même, nous avons déposé en janvier 2013, en procédure centralisée, une demande d'enregistrement pour Neofordex, seule forme orale de dexaméthasone dosée à 40 mg et particulièrement adaptée à la prise en charge des patients atteints de myélome multiple. De nombreux pays attendent ce produit avec impatience en raison de l'absence de formes orales de dexaméthasone ou de forme trop faiblement dosées imposant aux patients la prise de plusieurs dizaines de comprimés chaque jour. Enfin, nous espérons pouvoir démarrer au début de l'année prochaine la phase clinique d'un programme de thérapie cellulaire afin d'améliorer très significativement la récupération immunitaire après greffes hématopoïétiques.

.....

LABORATOIRE PRENYL B

Quand la cosmétique finance le développement du médicament. En 2003, la mutation responsable de la Progeria a été découverte par l'équipe dirigée par les Professeurs Nicolas Lévy et Pierre Cau. La maladie provoque le vieillissement prématuré des enfants. La mutation conduit à la synthèse d'une protéine toxique, la progerine. En 2006, il a été montré que la progerine est synthétisée au cours du vieillissement physiologique, en l'absence de toute mutation, puis en 2007 qu'elle est un marqueur du vieillissement de la peau. La compréhension du mécanisme physiopathologique de la Progeria a conduit au développement en 2008 d'un traitement diminuant la toxicité de la progerine et combinant une statine et un aminobiphosphonate. Ces deux médicaments ont été utilisés lors d'un essai thérapeutique européen de la Progeria qui s'est déroulé d'octobre 2008 à avril 2013 à Marseille. Le Laboratoire PRENYL B a été créée en avril 2009 par Nicolas Lévy, Pierre Cau et Vincent Bonniol, pour exploiter les brevets pris avec pour objectifs : développer une galénique destinée au traitement de la Progeria ; développer un cosmétique contenant les mêmes actifs contre le vieillissement cutané et dont la commercialisation permettrait de financer le développement du médicament. Les premiers sérums NéoStem ont été vendus en juin 2011 dans un réseau de distribution national français de 70 parapharmacies. Six mois plus tard, 45 000 sérums ont été vendus sans publicité, mais grâce à une importante couverture presse intéressée par l'histoire et le concept. En 2012, la gamme NéoStem a permis de réaliser un chiffre d'affaires de 2,6 M€. Aujourd'hui, la société emploie 22 personnes, dont six scientifiques et techniciens qui travaillent sur la recherche de médicaments contre la Progeria et d'autres maladies du vieillissement accéléré et le développement de produits cosmétiques. Actuellement, Prenyl B se développe à l'export au Canada, au Royaume-Uni, en Suisse, au Maroc, en Suède et au Danemark et en Allemagne. Plus de 12 % du chiffre d'affaires de la société est utilisé pour financer la recherche et l'innovation sur les maladies du vieillissement, plus de 10 % pour assurer la délivrance des brevets, et plus de 6 % reversés aux institutions propriétaires des brevets. Ce modèle original de financement permet également de démontrer que la recherche sur une maladie extrêmement rare peut déboucher sur des applications commerciales qui concernent le plus grand nombre, et que le partenariat public privé est un ressort qui peut être efficace dans l'innovation.

.....

ORPHAN EUROPE

Orphan Europe (Recordati Group) fondé en 1990, avec pour objectif de fournir des traitements aux personnes atteintes de maladies rares, devient Orphan Europe groupe Recordati suite à son acquisition en 2007. Bénéficiant des ressources d'un groupe international, Orphan Europe Recordati Group est entièrement dédié à la recherche, au développement, à la fabrication et à la commercialisation de produits pharmaceutiques. Avec maintenant 24 années d'expérience, 7 produits sur le marché et d'autres en cours de développement, la motivation des 130 employés répartis dans 15 pays est chaque jour nourrie par la conviction que chaque patient atteint d'une maladie rare doit pouvoir bénéficier du meilleur traitement. Au fil des années, Orphan Europe Recordati Group s'est développé à travers le monde et s'est enrichi d'une expérience inégalée dans le développement de médicaments en très petit nombre dans les maladies rares, de la mise en place d'essais cliniques soumis aux exigences réglementaires et de production spécifiques jusqu'à sa distribution à travers le monde entier. Tout en contribuant activement au développement des registres, des associations de patients, d'échanges entre experts ou professionnels de santé, Orphan Europe Recordati Group s'engage également à fournir une offre de formation à travers des sessions pédagogiques (Orphan Europe Academy) ayant pour objectif d'aider à la connaissance et ainsi d'améliorer le diagnostic et la prise en charge des maladies rares.

.....

PRESTWICK CHEMICAL

La société Prestwick Chemical SAS, fondée par le Pr C.G. Wermuth, est un fournisseur d'excellence de services de chimie médicinale et de collections innovantes de molécules destinées au criblage. Nos produits et services s'adressent à l'industrie pharmaceutique, aux sociétés de biotechnologie, aussi bien qu'aux laboratoires de recherche publics. Chimiothèques de criblage : nos collections de molécules ont été conçues avec une diversité chimique maximale, permettant d'accéder à une nouvelle PI (propriété intellectuelle), tout en restant à la portée de criblage moyen et haut débit. Elles sont constamment mises à jour et améliorées. Il s'agit de collections « catalogue » et de chimiothèques à façon réalisées soit autour d'une structure chimique, soit à visée précise pour une activité donnée. La chimiothèque-phare de Prestwick est composée de 1 280 médicaments hors brevet, et est particulièrement indiquée pour trouver une nouvelle cible pour un ancien médicament. Ce

type d'approche dénommé « repositionnement » est entièrement indiqué dans le domaine des maladies pour lesquelles aucun traitement n'est connu. Contrats de recherche en chimie médicinale : validation de touches - optimisation de composé chef de file - profilage de ligand. Nos équipes de chimistes médicaux développent des stratégies novatrices de chimie en fonction des projets. Ils sont soutenus par le design de molécules fait par conception informatique, y compris le criblage virtuel à large échelle, et prennent en considération les propriétés ADME/Tox aussi bien que la sélectivité et la possibilité de déposer un brevet.

PROMETHERA BIOSCIENCES

Promethera Biosciences (PB) est une société pharmaceutique belge développant un produit de thérapie cellulaire pour le traitement de maladies hépatiques graves. L'histoire de PB commence avec les recherches menées par l'équipe du Professeur Sokal aux Cliniques Universitaires St Luc, Bruxelles. Ces recherches visaient à trouver de nouvelles techniques pour traiter certaines maladies du foie, et plus particulièrement des maladies métaboliques rares se manifestant chez les nouveau-nés. De telles maladies se traitent habituellement par transplantation d'organe, mais la technique présente des inconvénients majeurs : les organes disponibles sont rares et l'opération chirurgicale est invasive et irréversible. Au cours de ses recherches, le Professeur Sokal a découvert une cellule progénitrice, dont les propriétés permettraient de pallier à ces inconvénients. Cette cellule, baptisée HHALPC ('Heterologous human Adult Liver Progenitor Cells'), est une cellule adulte dite « progénitrice » (prédestinée à devenir une cellule du foie). Elle est étudiée pour une utilisation dite « allogénique », permettant de traiter une centaine de patients à partir d'un seul foie de donneur. Afin de développer et exploiter davantage ces recherches, Promethera Biosciences est créée en 2009 et met en place un processus de production robuste qui reçoit l'accréditation GMP par l'Agence belge du médicament. Aujourd'hui, PB emploie plus de 45 personnes et est en train de finaliser son premier essai clinique en Belgique, France, Angleterre, Italie et en Israël. Le produit composé d'HHALPC est appelé HepaStem et est développé dans un premier temps pour deux maladies métaboliques rares : le syndrome de Crigler-Najjar et les déficiences du cycle de l'urée. La société, qui a réalisé deux tours de financement depuis sa création pour un montant total de plus de 34 MPB, a récemment développé une unité mobile permettant de préparer les cellules dans le parking du site clinique. Cette unité mobile ou plus communément appelé « van » est un mini-camion qui a été construit de manière à mimer une salle blanche similaire à ce qu'on trouve dans une zone de production aseptique. Ce van est d'ailleurs considéré comme une extension des salles blanches de Promethera Biosciences. Le van est placé devant le site clinique et permet la livraison des cellules fraîchement formulées à l'investigateur dans les 6 heures. Le patient reçoit donc son traitement en HepaStem de la manière la plus optimale. À ce jour, quatre patients ont pu bénéficier de ce système unique qui a donné lieu à un dépôt de brevet.

SHIRE

Shire, laboratoire international présent dans plus de 50 pays, est un acteur incontournable des maladies rares avec sa division Rare Disease. Cette division, point fort de l'entreprise, a investi 52 % de son CA en R&D entre 2001 et 2011 et 26 % en 2011. Ces investissements importants ont notamment permis d'apporter des traitements innovants dans les maladies de surcharge lysosomale, telles que la maladie de Hunter avec le traitement Elaprase (AMM en janvier 2007), la maladie de Fabry avec le traitement Replagal (AMM en août 2001) ou encore la maladie de Gaucher avec le traitement VPRIV (AMM en août 2010). Outre les maladies de surcharge lysosomales, Shire Rare Disease commercialise également Firazyr depuis juillet 2008, traitement indiqué dans les angio-œdèmes héréditaires. Shire poursuit ses recherches dans ces domaines thérapeutiques (extension d'indication, administration intrathécale...), mais s'intéressent également à d'autres maladies orphelines telles que la leucodystrophie métachromatique ou encore la maladie de Sanfillippo. La recherche et les partenariats de Shire avec des entreprises nationales (INSERM, Enterome, DBV technologie...) ou internationales constituent une des clefs du succès de l'entreprise.

SWEDISH ORPHAN BIOVITRUM

Sobi est un laboratoire pharmaceutique européen d'origine suédoise spécialisé dans les thérapies innovantes et les services à apporter aux patients atteints de maladies rares pour améliorer leur qualité de vie. Ces domaines thérapeutiques de prédilection sont les maladies inflammatoires et génétiques, avec un développement soutenu dans l'hémophilie et la néonatalogie. Sobi a un portefeuille constitué aujourd'hui d'environ 45 produits commercialisés, avec un pipeline de produits en développement clinique à un stade avancé. Au-delà de l'exigence de qualité du travail en recherche & développement et en production, c'est l'accès des malades aux traitements les plus innovants qui constitue la préoccupation majeure de Sobi. Il bénéficie de la confiance des professionnels (experts, associations de patients) grâce à une relation nourrie d'écoute, de transparence et de réactivité. Sobi est présent depuis 2006 en France (Paris XVII^e). La filiale française comprend une vingtaine de collaborateurs possédant des expertises solides et diverses, afin de donner aux patients l'accès à nos traitements sur l'ensemble des territoires couverts par la filiale : France, Algérie, Égypte, Lybie, Maroc, Tunisie. Notre expertise et nos ressources sont mises au service de l'aide au diagnostic des maladies rares et de la prise en charge des patients au travers d'actions d'information ou de recherche mises en place en collaboration avec les sociétés savantes et les associations de patients ainsi que de la mise à disposition des médicaments sur les territoires couverts par un service dédié adapté aux situations d'urgence.

