

AMÉLIORER LA QUALITÉ DE VIE DES PATIENTS

ALLONGER LA DURÉE D'EFFICACITÉ DU TRAITEMENT

L'ENJEU

Les hémorragies articulaires fréquentes dans les formes sévères de l'hémophilie s'accompagnent de dépôts de produits de dégradation du sang qui finissent par léser les articulations. Depuis la fin des années 1990, un traitement prophylactique à base d'injections intraveineuses pluri-hebdomadaires de Facteur VIII ou IX à dose suffisante pour prévenir les hémorragies spontanées est systématiquement proposé dans l'hémophilie sévère. Si ce mode de traitement est efficace, la fréquence d'injection qu'il nécessite altère la qualité de vie du patient et est particulièrement compliqué chez les très jeunes patients et les patients âgés où l'accès veineux est difficile.

Le développement de stratégies qui permettraient de réduire la fréquence d'injection du traitement chez les hémophiles sévères est nécessaire.

LES AXES DE RECHERCHE

Plusieurs axes de recherche sont développés.

1. D'abord, il s'agit de modifier les Facteurs VIII ou IX pour allonger leur durée de vie dans le sang. Plusieurs approches sont en cours qui consistent à greffer sur les Facteurs IX et VIII des polymères comme le polyéthylène glycol ou des protéines comme l'albumine qui sont connues pour avoir des durées de vie allongée dans la circulation sanguine.
2. Une autre approche consiste à modifier les Facteurs VIII ou IX pour qu'ils s'associent à des molécules qui circulent dans le sang avec une durée de vie relativement longue.

3. Enfin, une dernière approche est de remplacer les Facteurs VIII ou IX par des molécules à durée de vie relativement allongée et qui ont la propriété de restaurer une coagulation normale chez les patients hémophiles.

LE DEGRÉ D'AVANCEMENT DE LA RECHERCHE

En ce qui concerne l'hémophilie B, les traitements sont en cours d'amélioration. Pour l'hémophilie A (qui représente 85% des cas), les progrès sont moins significatifs. Des nouvelles molécules de FVIII sont en développement et restent à tester dans des modèles in vivo. Pour la stratégie qui consiste à utiliser des molécules avec des durées de vies relativement allongées autres que les Facteurs VIII ou IX, des résultats significatifs ont été obtenus en utilisant diverses approches plus ou moins avancées, allant du stade de la recherche aux phases cliniques.

QUELS LABORATOIRES TRAVAILLENT SUR CE PROJET ?

Une dizaine d'équipes composées de 5 à 10 membres sont impliquées dans le monde, localisées principalement aux États-Unis, au Canada, au Japon et en Europe.

Les chercheurs ont besoin de votre soutien pour faire avancer ce projet



POUR EXEMPLE

Au sein de l'unité 1176 de l'Inserm, les chercheurs Olivier Christophe, Peter Lenting et Cécile Denis développent plusieurs projets permettant d'allonger la durée d'efficacité des traitements pour les patients hémophiles. Une première partie des projets consiste à modifier le FVIII pour qu'il se lie à des protéines qui ont des durées de vie relativement longues dans le sang. Dans la seconde partie des projets, l'unité 1176 développe des molécules qui ont des durées de vie allongée dans le sang et qui agissent spécifiquement sur le processus de coagulation pour le rétablir chez les personnes hémophiles.