

AMÉLIORER LA QUALITÉ DE VIE DES PATIENTS

RÉDUIRE LES COÛTS POUR TRAITER TOUS LES MALADES

L'ENJEU

Aujourd'hui, 75 % des hémophiles dans le monde n'ont pas accès au traitement en raison de son coût très onéreux. Sans traitement, les personnes atteinte d'hémophilie ont une espérance de vie de moins de 18 ans.

Pour autant, pour les malades ayant accès au traitement, la qualité des produits thérapeutiques développés augmente considérablement leur espérance de vie.

C'est donc un véritable challenge pour les médecins et les chercheurs de rendre les traitements accessibles à une plus large population de patients dans le monde.

LES AXES DE RECHERCHE

Actuellement deux axes sont suivis pour développer des thérapies qui soient moins onéreuses à produire.

1. Le premier axe consiste à réduire les coûts de production des produits actuels. Mais les progrès restent limités car les produits de substitution, les Facteurs VIII ou IX sont des protéines complexes à produire et à purifier.
2. L'autre axe de recherche est le développement de molécules qui agissent sur le déséquilibre de l'hémostase présent dans les pathologies hémorragiques, notamment chez les hémophiles

LE DEGRÉ D'AVANCEMENT DE LA RECHERCHE

L'axe de recherche qui consiste à restaurer une hémostase normale chez les patients hémophiles est particulièrement prometteur car il permet d'utiliser des molécules beaucoup moins onéreuses à produire que les Facteurs VIII ou IX. De nombreuses molécules de natures différentes sont actuellement testées en phases précliniques avec succès et les plus avancées sont déjà en phases cliniques.

QUELS LABORATOIRES TRAVAILLENT SUR CE PROJET ?

Plus d'une dizaine d'équipes dans le monde, notamment en Amérique du Nord, en Europe et au Japon, sont impliquées dans le développement de ces nouvelles molécules.

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

POUR EXEMPLE

Au sein de l'unité 1176 de l'Inserm, l'équipe des chercheurs Peter Lenting, Olivier Christophe et Cécile Denis ont développé une plate-forme qui leur permet de produire à partir de microorganismes, des fragments d'anticorps en grande quantité et donc à coût très significativement réduit par rapport à la production des facteurs VIII ou IX de la coagulation. Ces fragments d'anticorps, dirigés contre des acteurs de l'hémostase ont montré qu'ils pouvaient dans des modèles expérimentaux corriger un défaut hémorragique, notamment l'hémophilie.



Cet enfant souffre d'un trouble de la coagulation, sans traitement.

Lui aussi, avec traitement.