

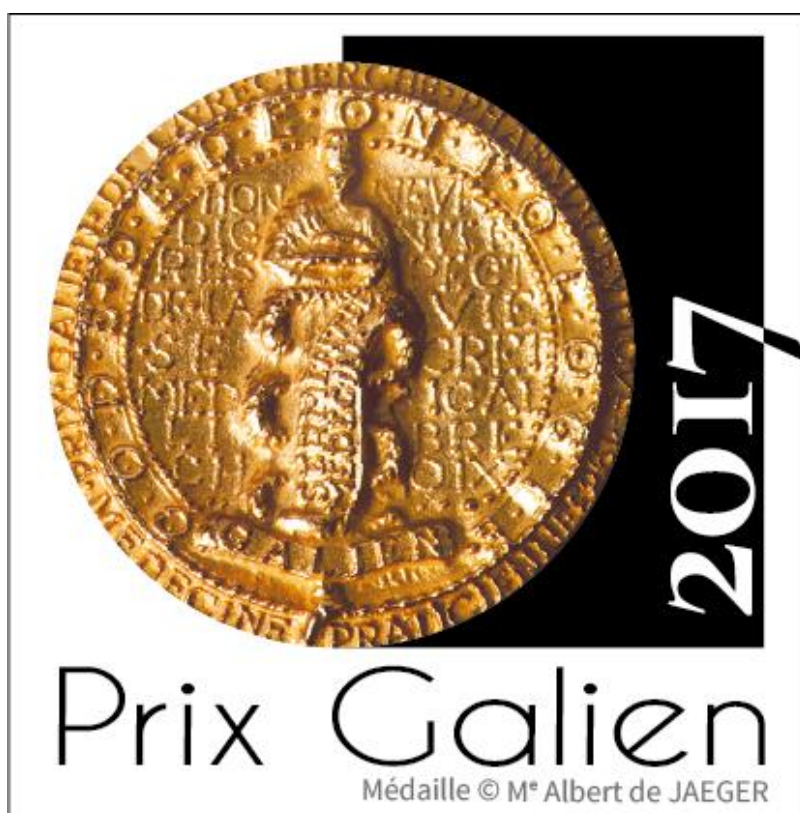
# Innovation



# & Galien

Médaille © M<sup>e</sup> Albert de JAEGER

## COMMUNIQUÉ DE PRESSE



Mercredi 6 décembre 2017

Pavillon d'Armenonville, Paris

Contact presse :

Maud PILLOUD, Responsable opération Innovation & Galien  
Groupe Profession Santé - 1, rue Augustine Variot – 92 Malakoff  
01 73 28 16 19 – [maud.pilloud@gpsante.fr](mailto:maud.pilloud@gpsante.fr)

<b>Volet</b>	<b>Lauréat</b>	<b>Contact</b>
<b>Volet e-santé</b>	<b>Mon Carnet AVK</b> Faculté de Pharmacie d'Angers	Sébastien FAURE 02 41 22 67 40 / 06 63 02 81 50 sebastien.faure@univ-angers.fr
<b>Volet accompagnement du patient</b>	<b>Cheer Up</b>  Fédération Cheer Up	Romain ESPITAILLE 07 86 13 68 01 respodemarchage@cheer-up.fr
<b>Volet dispositif médical</b>	<b>EOS®</b>  EOS imaging	Alice ACHACHE 01 55 25 61 27 aachache@eos-imaging.com
<b>Volet dermocosmétique et dermatologie esthétique</b> - <i>Catégorie produits</i>	<b>Clairial Serum</b>  SVR	Alexa ANDRE 06 80 81 50 38 alexandra.andre@labo-svr.com
<b>Volet dermocosmétique et dermatologie esthétique</b> - <i>Catégorie travaux de recherche</i>	<b>Travaux sur le rôle de la micro vascularisation cutanée dans la pigmentation</b>  Pr Thierry PASSERON	Thierry PASSERON 04 92 03 64 88 passeron@unice.fr
<b>Volet médicament</b> - <i>Catégorie thérapeutique ambulatoire</i>	<b>Entresto®</b> (sacubitril, valsartan)  Laboratoire Novartis	Alain FRANCILLON 01 55 47 65 04 alain.francillon@novartis.com  Elodie CHARMAT 01 55 47 89 99 elodie.charmat@novartis.com

<p><b>Volet médicament</b> - <b>Catégorie thérapeutique hospitalière</b></p>	<p><b>Darzalex®</b> (daratumumab)  Laboratoire Janssen</p>	<p>Alain MIARA 01 55 00 45 30 / 06 07 14 38 35 amiara@its.jnj.com  Brigitte BAIS 01 55 00 32 68 / 06 08 69 33 13 BBais@its.jnj.com</p>
<p><b>Volet médicament</b> - <b>Catégorie maladies rares/orphelines</b></p>	<p><b>Revestive®</b> (teduglutide)  Laboratoire Shire</p>	<p>Thierry MARQUET 07 63 04 73 35 tmarquet0@shire.com  Hélène HUY-ORLANDO 01 40 67 32 50 / 06 79 63 64 01 helene.huy.orlando@shire.com</p>

## GALIEN d'HONNEUR

Depuis 47 ans, le prix Galien récompense chaque année un médicament innovant.

Le Galien d'honneur, un prix décerné par les professionnels de santé.

Cette année c'est l'un des lauréats des années 1980 qu'ils honorent.

**Amoxicilline/acide clavulanique  
(Augmentin®)**

**Prix Galien 1986**

## Mon Carnet AVK

### **Mon carnet AVK : une appli mobile pour les patients traités par AVK**

Plus d'un million de personnes sont traitées en France par un anticoagulant de la famille des anti-vitamines K (AVK). Bénéfiques et indispensables pour les traitements préventifs et curatifs de nombreuses maladies thrombogènes, les AVK sont souvent difficiles à gérer quotidiennement par les patients.

Depuis 2012, dans le cadre de leurs nouvelles missions, les pharmaciens assurent des entretiens destinés aux patients traités par AVK afin d'améliorer leur prise en charge et, notamment, de réduire les risques d'hémorragie : une première initiative encourageante.

Pour aller encore plus loin et accompagner la « révolution numérique », le département pharmacie de l'université d'Angers, en partenariat avec la société Observia, lance une application smartphone dédiée au suivi du traitement des patients traités par AVK : Mon carnet AVK, laquelle est téléchargeable gratuitement sur tablette et téléphone mobile.

### **Mon carnet AVK : des fonctionnalités pour faciliter le quotidien des patients**

L'appli « Mon carnet AVK » permet :

- de saisir de manière très intuitive les résultats d'INR en fonction des doses d'anticoagulants ;
- de réaliser des tableaux et des graphiques en fonction des données du patient (conservation d'une trace numérisée) ;
- d'enregistrer les numéros de téléphone des professionnels de santé qui accompagnent le patient ;
- de gérer les rappels automatiques pour les dates de réalisation de l'INR et les heures de prise de l'anticoagulant, avec les doses correspondantes ;
- de rappeler « les 7 règles d'or » du traitement, ainsi que les informations nécessaires en cas d'urgence (nom du médicament, médecin traitant, INR cible).

L'accès aux données est sécurisé par un mot de passe et les données hébergées uniquement en local sur la tablette ou le téléphone mobile de l'utilisateur.

L'application « Mon carnet AVK » s'avère, pour le jury du prix Galien, être un outil très pertinent et sérieux pour faciliter le quotidien des patients sous AVK et leur suivi par les médecins qui les accompagnent.

# Volet accompagnement du patient

---

## Cheer Up

### **Cheer Up : se projeter dans l'avenir pour les jeunes atteints de cancer**

Environ 4 000 adolescents et adultes jeunes (AJA) sont touchés par le cancer en France chaque année. Ils sont trop souvent isolés dans des systèmes de soins qui ne correspondent, souvent, ni à leurs besoins, ni à leurs attentes. Cheer Up, créé en 2003 par Pierre Janicot, lui-même atteint d'un cancer, a pour objectif d'accompagner ces AJA dans la réalisation de leurs projets.

### **Cheer Up : des bénévoles du même âge**

La fédération Cheer Up a pour projet de suivre l'ensemble des AJA atteints de cancer, mais aussi de sensibiliser le grand public à l'importance de la lutte contre le cancer dans cette tranche d'âge (15-29 ans).

Tous les bénévoles sont recrutés au niveau des grandes écoles et des universités, formés (environ 350 chaque année) et suivis psychologiquement. Ils se rendent en visite quotidiennement au sein des 28 hôpitaux labellisés afin d'intervenir auprès des AJA et les accompagnent dans la réalisation de leurs projets.

### **Un développement numérique en phase avec les changements sociétaux**

La majorité des AJA reçoivent actuellement leur traitement en ambulatoire, ce qui ne résout en rien leur problème d'isolement. Dans ce contexte, Cheer Up a testé les visites à distance par les nouveaux moyens de communication tels que Facebook, Skype... Devant le succès remporté, cette action va être développée.

Par ailleurs, une « équipe Projet 2.0 » vient d'être créée pour suivre les AJA atteints de cancer dans les hôpitaux où l'association n'intervient pas, *via* les réseaux sociaux.

Enfin, la création d'une application Cheer Up, en cours de construction, permettra aux bénévoles et aux AJA d'être en relation directe et le suivi des projets sera plus pertinent. En outre, le grand public pourra être informé en temps réel des projets en cours.

Une initiative originale qui tient compte de la spécificité de l'adolescence dans la prise en charge du cancer et un projet motivant, qui mérite d'être reconnu et soutenu.

# Volet dispositif médical

---

EOS®

## **EOS® : imagerie basse dose et données 2D/3D du squelette en position fonctionnelle**

EOS® est une solution unique et innovante d'imagerie médicale dédiée aux pathologies ostéoarticulaires et à l'orthopédie, associée à des solutions logicielles de planification chirurgicale 3D en ligne.

### **La plateforme EOS® : une retombée des travaux de Georges Charpak**

EOS® permet d'acquérir simultanément deux images stéréo-radiographiques du corps entier d'un patient, en position fonctionnelle (debout, assis). EOS® intègre un principe de détection par balayage fondé sur les travaux de Georges Charpak, prix Nobel de physique en 1992, qui permet une réduction de la dose reçue au patient de 50 à 85 % vis-à-vis des systèmes standard de radiologie, et l'abaisse à l'équivalent d'une semaine de rayonnement naturel sur terre pour les examens de suivi pédiatrique. L'examen peut être réalisé en moins de 4 minutes, la durée de prise de vues étant elle-même de moins de 20 secondes. Il est complété par la modélisation 3D du squelette du patient à partir des deux vues stéréo-radiographiques, qui permet d'obtenir automatiquement tous les paramètres cliniques du patient.

### **Une réelle innovation dans le domaine de l'orthopédie**

Les techniques d'imagerie standard de l'os, tomodensitométrie et radiographie, sont limitées par leur niveau d'irradiation, par la position couchée pendant l'examen dans le cas de la tomodensitométrie, et par les biais de projection 2D dans le cas de la radiographie. EOS® est la seule modalité qui permet de visualiser en 2D et 3D, à dose d'irradiation très réduite, la globalité du squelette en position fonctionnelle, et d'extraire du modèle 3D personnalisé du patient toutes les informations nécessaires au diagnostic, à la planification chirurgicale et au contrôle postopératoire. À cette fin, EOS imaging a développé les EOSapps, une suite logicielle en ligne pour la simulation, la planification chirurgicale et le contrôle, en 3D, de la chirurgie de la hanche, du genou et du rachis.

### **EOS imaging : une *success story* française**

La société EOS imaging, dont le siège est basé à Paris, dispose de 5 filiales dans le monde (France, États-Unis, Canada, Allemagne et Singapour). Elle employait, au 31 décembre 2016, 132 collaborateurs, dont 43 en recherche et développement, et poursuit une forte croissance. Le système EOS® a bénéficié d'une coopération étroite de ses équipes avec la recherche académique, en particulier de l'ENSAM à Paris et de l'ETS à Montréal. Il est aujourd'hui commercialisé dans 51 pays, avec plus de 230 installations dans des centres prestigieux en Europe, aux États-Unis et en Asie.

Le Prix Galien attribué au dispositif EOS® a voulu récompenser à la fois son apport dans les pratiques de la chirurgie orthopédique, où il est devenu un standard de référence, et la *success story* française, qui illustre la réussite d'une coopération entre recherche fondamentale, recherche clinique et expertise industrielle, ainsi que la réussite du déploiement clinique et commercial d'une innovation.

# Volet dermocosmétique et dermatologie esthétique

*Catégorie produits*

---

## Clairial Serum

### **Clairial Sérum : un nouveau correcteur anti-taches intégral éclat**

La formulation de Clairial Sérum a été inspirée par les deux dernières découvertes physiopathologiques dans l'hyperpigmentation. Son efficacité anti-taches, dès le 14<sup>e</sup> jour de traitement, a été démontrée cliniquement sur tous les phototypes et sur les principaux types de troubles pigmentaires, les lentigos et les mélasmas.

#### **Deux découvertes scientifiques majeures dans la pigmentation**

Dans l'hyperpigmentation, interviennent deux phénomènes physiopathologiques récemment découverts :

- Le rôle de la protéine DKK-1 (*Dickkopf-1*) dans la blancheur palmo-plantaire : il s'agit d'un messager intracellulaire, qui inhibe la prolifération et la différenciation des mélanocytes en mélanocytes actifs, ainsi que le transfert de la mélanine vers les kératinocytes.
- Le rôle de la vascularisation dans le développement et les récurrences des mélasmas : les zones sujettes au mélasma sont beaucoup plus vascularisées et des travaux ont montré l'implication de l'endothéline-1 (EDN-1) sur la stimulation de la mélanogenèse.

#### **Quatre actifs sélectionnés pour agir sur les nouvelles voies de la mélanogenèse**

Ces actifs présentent une action dépigmentante complémentaire, permettant une régulation inédite des voies fibroblastique (DKK-1) et vasculaire (EDN-1).

- **Actif mimétique de la blancheur palmo-plantaire : dérivé de férulate**

Le dérivé du férulate n'agit pas directement sur le mélanocyte, mais sur le fibroblaste : *in vitro*, son efficacité a été prouvée par une augmentation significative de l'expression du gène codant pour la DKK-1, de la production de DKK-1 par le fibroblaste et par une réduction de la production de mélanine.

- **Actif agissant sur la pigmentation et la vascularisation : micro-organisme marin**

Ce micro-organisme marin, un extrait du plancton, agit à différentes étapes de la mélanogenèse (régulation de la mélanogenèse, notamment sur la voie vasculaire) pour réduire le dépôt de mélanine dans l'épiderme, permettant ainsi d'éclaircir le teint et de réduire les taches hyperpigmentées.

- **Complexe Duowhite**

Ce complexe est formé de diacétyl boldine (DAB) et d'undécylénoyl phénylalanine.

Le DAB diminue la synthèse de la mélanine, tandis que l'undécylénoyl phénylalanine agit en amont de la mélanogenèse sur toutes les étapes de la cascade pigmentaire.

- **Uniformité du teint et éclat immédiat : vitamine C stabilisée**

Ce dérivé liposoluble stabilisé de la vitamine C possède de nombreuses propriétés comme activateur d'éclat, stimulateur de la synthèse de collagène, inhibiteur de la tyrosinase. Il est, par ailleurs, un antioxydant et photoprotecteur aussi puissant que l'acide L-ascorbique.

### **Une efficacité démontrée dans une étude clinique convaincante**

La tolérance, l'acceptabilité et l'efficacité de Clairial Sérums ont été évaluées après une application quotidienne de 12 semaines sur 3 groupes de 20 volontaires sains de 3 phototypes différents (caucasien, asiatique, métisse ou nord-africain), âgés de 32 à 68 ans et présentant des taches pigmentaires sur le visage (25 % avec mélasma et 100 % avec lentigo ou défaut pigmentaire).

Les résultats de l'étude montrent :

- une diminution significative de la surface (- 29 %), de l'intensité et de la densité (- 30 %) des taches ;
- une stabilité de la teinte, de la luminosité et de l'homogénéité du teint 3 semaines après l'arrêt du traitement ;
- une action durable de l'efficacité anti-taches 3 semaines après l'arrêt du traitement.

L'originalité du produit tient surtout de l'utilisation d'un actif mimétique de la blancheur palmo-plantaire. Il suscite l'intérêt par son efficacité dans les pigmentations du visage, qu'il serait souhaitable de confirmer par des études complémentaires.



# Volet dermocosmétique et dermatologie esthétique

*Catégorie travaux de recherche*

---

Pr Thierry Passeron

Pour le rôle de la microvascularisation dans la pigmentation cutanée

## **Rôle de la microvascularisation cutanée dans la pigmentation**

La pigmentation est un processus biologique complexe. Le principal gène impliqué MIFT (*microphthalmia-associated transcription factor*) contrôle plusieurs mécanismes dans le mélanocyte et de nombreux autres facteurs agissent sur la régulation de la production de mélanine, dans lesquels interviennent les kératinocytes et les fibroblastes, qui stimulent les mélanocytes.

### **Mélasma, hypervascularisation et hyperpigmentation mélanique**

Le mélasma est une dermatose très fréquente, qui peut toucher plus de 30 % des femmes en âge de procréer dans certains pays. Il est caractérisé par une pigmentation du visage, sous forme de plaques au sein desquelles on observe une hyperpigmentation.

Il en est de même dans d'autres lésions vasculaires bénignes comme les angiomes rubis, les télangiectasies, les botriomycomes... au niveau desquelles une augmentation de la pigmentation mélanique en regard des vaisseaux a été notée et confirmée par l'histologie et la microscopie confocale.

### **Endothéline 1 et récepteur EDNRB au cœur de la découverte**

La culture de mélanocytes avec des cellules endothéliales de la microvascularisation cutanée montre que ces dernières sont capables de stimuler la mélanogenèse et que ce phénomène passe par la production d'endothéline 1 sécrétée par les cellules endothéliales : l'endothéline se fixe sur un récepteur spécifique EDNRB (*endothelin receptor B*) à la surface des mélanocytes, pour ensuite activer la tyrosinase et le DCT (*dopachrome tautomerase*) afin de produire de la mélanine.

L'analyse histologique des lésions vasculaires confirme la production d'endothéline-1 en regard de la pigmentation et, plus intéressant encore, ces différentes études montrent que la microvascularisation cutanée est capable de stimuler la pigmentation et que ce processus peut être bloqué en inhibant le récepteur spécifique EDNRB.

### **De nouvelles perspectives thérapeutiques pour les hyperpigmentations**

Pour la première fois, le rôle de la vascularisation dans la régulation de la pigmentation cutanée est démontré. En outre, la possibilité de bloquer ce phénomène en inhibant le récepteur situé sur les mélanocytes ouvre la voie d'un traitement des troubles pigmentaires, au premier rang desquels le mélasma (mais aussi les hyperpigmentations post-inflammatoires), par des inhibiteurs topiques de l'EDNRB.

Une étude novatrice et une avancée majeure qui permettent d'entrevoir de nouvelles perspectives thérapeutiques.

# Volet médicament

*Catégorie thérapeutique ambulatoire*

---

## Entresto® (sacubitril, valsartan)

### **Entresto® : un progrès avéré dans le traitement de l'insuffisance cardiaque sévère**

L'insuffisance cardiaque (IC) est une maladie chronique grave, émaillée de décompensations aiguës répétées conduisant à des hospitalisations itératives et à une augmentation significative du risque de décès prématurés (environ 40 % des patients hospitalisés pour IC seront réhospitalisés ou décéderont dans l'année). Dans ce contexte, Entresto® représente un progrès thérapeutique majeur chez les patients ayant une IC chronique symptomatique à fraction d'éjection réduite, du fait de son mécanisme d'action innovant, de son efficacité et, vraisemblablement, de son impact en termes de santé publique.

En France, la prévalence de l'IC dans la population adulte est estimée à 2,3 %, soit plus d'un million de personnes, dépassant 15 % des personnes de 85 ans ou plus <sup>(1)</sup>. Les objectifs de son traitement sont multiples : améliorer la qualité de vie, prévenir les épisodes de décompensation aiguë et réduire la durée des hospitalisations ; enfin, ralentir la progression de la maladie et réduire la mortalité. Mais, malgré l'arsenal thérapeutique actuellement disponible, la morbi-mortalité des patients atteints d'IC reste encore très élevée.

### **Entresto® : un mécanisme d'action innovant, des bénéfices cliniques prouvés**

Le mécanisme d'action d'Entresto® résulte de l'association de deux molécules agissant sur deux systèmes différents dont l'un jamais ciblé à ce jour :

- Le sacubitril, un nouvel inhibiteur de la néprilysine, qui agit en diminuant la dégradation des peptides natriurétiques, favorisant ainsi leurs effets cardiovasculaires bénéfiques.
- Le valsartan, un antagoniste des récepteurs à l'angiotensine II du système rénine-angiotensine-aldostérone.

Dans l'étude pivot de phase III (PARADIGM-HF) chez 8 400 patients, Entresto® a été comparé au traitement de référence, l'énalapril.

Les résultats de cette étude multicentrique, randomisée en double aveugle, contrôlée, montrent, chez les patients traités par Entresto® :

- une réduction de 20 % du risque de mortalité cardiovasculaire ou d'hospitalisation pour IC ;
- une réduction de 16 % du risque de mortalité toutes causes confondues ;
- une diminution significative des symptômes et des limitations à l'activité physique.

Par ailleurs, le profil de tolérance du médicament est favorable et comparable à celui de l'énalapril. Entresto® est indiqué chez les patients atteints d'IC de classe II ou III, selon la classification NYHA, avec une fraction d'éjection du ventricule gauche inférieure à 35 %, patients réfractaires ou traités préalablement par IEC ou sartan.

Entresto®, du fait de son mécanisme d'action innovant et de son efficacité, peut donc être considéré comme un progrès manifeste dans la prise en charge de l'IC.

**Référence :**

1. de Peretti C, Pérel C, Tuppin P *et al.* Prévalences et statut fonctionnel des cardiopathies ischémiques et de l'insuffisance cardiaque dans la population adulte en France : apports des enquêtes déclaratives « Handicap-Santé ». *BHE*. 2014;9-10:172-81.

# Volet médicament

*Catégorie thérapeutique hospitalière*

---

## Darzalex® (daratumumab)

### **Darzalex® : 1<sup>er</sup> anticorps anti-CD38 développé dans le traitement du myélome multiple**

#### **Une réelle innovation dans la prise en charge du myélome multiple**

Darzalex® (daratumumab) est le premier anticorps à avoir montré une efficacité en monothérapie et se distingue des autres médicaments par son mécanisme d'action qui en fait une thérapie ciblée. Le daratumumab est un anticorps monoclonal recombinant qui cible la protéine CD38, exprimée en grande quantité à la surface des cellules du myélome multiple. Il induit la mort cellulaire par des mécanismes d'action directs et indirects.

#### **Une efficacité thérapeutique en monothérapie évaluée dans deux essais cliniques**

Les deux essais (MMY-2002 et GEN-501) ont inclus 148 patients atteints de myélome multiple en rechute ou réfractaires qui avaient, pour beaucoup, épuisé tous les traitements efficaces disponibles : alkylants, autogreffes, inhibiteurs de protéasome (bortézomib, carfilzomib) ou immunomodulateurs (lénalidomide, pomalidomide).

Avec un traitement par 16 mg/kg de Darzalex® en monothérapie :

- Le taux de réponse globale complète + partielle est de 29 % dans l'étude MMY-2002 et de 36 % dans l'étude GEN-501.
- Les réponses ont été durables, avec une médiane de durée de réponse de 7,4 mois dans l'étude MMY-2002 et une absence de progression à 6 mois chez 78 % de répondants dans l'étude GEN-501.

***Au vu des résultats de ces études, le daratumumab a obtenu son autorisation de mise sur le marché aux États-Unis en novembre 2015 et en Europe le 20 mai 2016, en monothérapie pour le traitement des patients adultes atteints d'un myélome multiple en rechute et réfractaires, pour lesquels les traitements antérieurs incluaient un inhibiteur du protéasome et un immunomodulateur et dont la maladie a progressé lors du dernier traitement.***

#### **Deux études de phase III : en association dès la première rechute**

Les études CASTOR (498 patients) et POLLUX (569 patients) ont évalué l'association daratumumab avec respectivement :

- Bortézomib/dexaméthasone à faible dose.
- Lénalidomide/dexaméthasone à faible dose.

À l'analyse intermédiaire de ces études, la médiane de survie sans progression n'est pas atteinte pour le daratumumab + bortézomib/dexaméthasone faible dose vs 7,2 mois pour l'association bortézomib/dexaméthasone à faible dose ; elle n'était pas atteinte non plus pour le bras daratumumab + lénalidomide/dexaméthasone à faible dose vs 18,4 mois pour l'association lénalidomide/dexaméthasone.

Par ailleurs, l'ajout de l'anticorps aux standards de traitement permet d'obtenir une réponse profonde chez un plus grand nombre de patients au point que la maladie résiduelle ne peut plus être détectée, même dans les formes à haut risque.

En avril 2017, l'indication a été étendue aux associations daratumumab, lénalidomide et dexaméthasone, ou bortézomide et dexaméthasone chez les patients ayant reçu au moins une ligne de traitement.

**Un programme de développement à la hauteur de l'innovation**

Le daratumumab est actuellement étudié sur toutes les lignes de traitement du myélome multiple, y compris en 1<sup>re</sup> ligne. Pour plus de simplicité et de confort, son administration en sous-cutané (actuellement en IV) est également en cours d'étude.

Les premiers essais positifs et les nouvelles études en cours ne font que renforcer l'intérêt du Darzalex<sup>®</sup> et son caractère innovant dans la prise en charge du myélome.

# Volet médicament

*Catégorie maladie rare/orpheline*

---

## Revestive® (teduglutide)

### Syndrome de grêle court

#### Revestive® : pour les adultes et maintenant aussi pour les enfants

Revestive® (teduglutide) est un analogue du GLP-2 (*glucagon-like peptide 2*) humain qui a reçu son AMM chez l'adulte ayant un syndrome de grêle court (SGC) en 2012 et chez l'enfant âgé de plus de 1 an en 2016.

#### SGC : épidémiologie, causes et conséquences

Le SGC est une maladie rare qui touche, en France, environ 300 adultes et 70 enfants dépendants à la nutrition parentérale.

Les causes à l'origine de ce syndrome sont très hétérogènes : chez l'adulte, c'est essentiellement l'infarctus mésentérique qui est la cause la plus fréquente de résection de l'intestin grêle, alors que chez l'enfant, les plus fréquentes sont les anomalies congénitales et l'entérocolite ulcéro-nécrosante du prématuré.

Le SGC est à l'origine d'une malabsorption intestinale sévère, nécessitant parfois un support nutritionnel et hydroélectrolytique en nutrition parentérale (NP) pendant des années, voire à vie. Il s'agit d'un traitement très invalidant, associé à un risque infectieux important et souvent incompatible avec une vie professionnelle, familiale et sociale normale.

De plus, chez l'enfant, la malabsorption intestinale peut conduire à une cassure de la courbe staturo-pondérale et à des troubles du développement, voire engager le pronostic vital.

#### Revestive® : l'efficacité clinique démontrée chez l'adulte et l'enfant

Chez l'adulte, Revestive® a fait l'objet d'un programme de développement clinique important, avec notamment deux études cliniques de phase III (004 et 020), randomisées en double aveugle vs placebo et groupes parallèles chez des patients avec un SGC et dépendant d'une NP. Ces deux études ont été complétées par des extensions non contrôlées sur une durée de 6 mois (étude 005) et 2 ans (étude 021).

Dans cette dernière étude (37 patients initialement traités par Revestive® et 39 par placebo dans l'étude initiale), les patients traités par Revestive® bénéficient, non seulement du maintien de la réponse initiale, mais également de son amplification : 93 % de répondeurs en fin d'étude d'extension vs 63 % en fin d'étude initiale). En outre, 27 % des patients ont pu être totalement sevrés de NP vs 7 % pour le groupe traité initialement par placebo suivi de Revestive®.

Les résultats de l'étude clinique menée chez l'enfant permettent de penser qu'un sevrage total de la NP pourrait être obtenu encore plus rapidement que chez l'adulte : 2 enfants traités par Revestive® ont pu être sevrés totalement de la NP après seulement 3 mois de traitement.

L'efficacité de Revestive® est donc indéniable dans les SGC dépendant de la NP, dans l'objectif de réduire les besoins en perfusions.

**En pratique**

Revestive® est indiqué dans le traitement des patients âgés d'un an et plus présentant un syndrome de grêle court (SGC). Les patients doivent être en état stable après la période d'adaptation intestinale ayant suivi l'intervention chirurgicale. Il pourrait être particulièrement utile chez les patients ayant un niveau de dépendance relativement modéré dans l'espoir d'obtenir un sevrage de la NP.

Il est important de noter que Revestive® bénéficie d'un statut de médicament orphelin mais, singulièrement, d'une distribution en circuit « ville » depuis juillet 2016, facilitant ainsi l'accès équitable au traitement pour tous les patients.

Revestive® représente donc une avancée majeure et innovante dans la prise en charge des SGC dépendant d'une NP continue, affection rare, mais sévère.

