Aegerion Pharmaceuticals

FDA Advisory Committee Recommends Approval of Lomitapide for Treatment of Homozygous Familial Hypercholesterolemia HoFH

October 30 - Aegerion Pharmaceuticals, Inc. , une récente start-up de biotech pharmaceutique, dédiée au développement d'un nouveau traitement de l'hypercholestérolémie familiale homozygote (HoFH), maladie rare très invalidante et souvent mortelle , annonce que l 'EMDAC, le Comité consultatif de la FDA pour les médicaments endocrinologiques et métaboliques, a considéré (par un vote de 13 contre 2) qu'Aegerion avait présenté des données d'efficacité et d 'innocuité suffisantes pour autoriser la mise sur le marché du L omitapide, pour le tr ai t e ment des patients atteints de cette maladie, en association à un régime pauvre en graisses et aux traitements hypo - cholestérolémiants classiques .

Marc Beer, Président (CEO) d'Aegerion Pharmaceuticals, a ensuite confirmé que sa compagnie allait se rapprocher de la FDA pour compléter la revue des indications du Lomitapide, " pour permettre très rapidement aux patients atteints par la HoFH de bénéficier de ce nouveau médicament capable de baisser très significativement leur taux de LDL-cholestérol ".

La FDA a fixé au 29 décembre 2012 la date limite pour la mise en place d'un PDFUA (Prescription Drug User Fee Act), qui est une notification officielle des indications spécifiques aux médicaments, pour le Lomitapide. Le comité consultatif (EMDAC) est un organe indépendant de la FDA, qui n'est pas liée par ses avis

mais qui
les intègre dans ses propres recommandations.

L'absorbtion des graisses : un mécanisme complexe... et vital

Les lipides jouent un rôle indispensable dans la fourniture d'énergie au corps humain, dans la composition des cellules, en parti culier les cellules nerveuses, la composition des hormones, etc.... Ingérés dans le
bol alimentaire,
les
acides gras et
le cholestérol
sont absorbés au niveau intestinal, initiant ainsi la voie exogène de transport des lipides
.
Un grand nombre de
protéines
cellulaires distinctes peuvent influencer, de manière positive ou négative, l'absorption intestinale des acides gras et du cholestérol alimentaire. Parmi elles, les
MTP
(Microsomal Triglyceride Transfer Protein)
présentes dans le foie et les intestins,
jouent un rôle essentiel dans l'assemblage et la sécrétion des
lipoprotéines
riches en triglycérides, qu'il s'agisse des chylomicrons dans les entérocytes (au niveau de l'intestin), ou des cholestérols (LDL
, VLDL
) dans les hépatocytes
,
au niveau du foie.

Le Lomitapide

Le Lomitapide, lui, est une MTP-I, petite molécule inhibitrice de ces protéines MTP, qu'Aegerion a développé pour un traitement par voie orale, une fois par jour, des patients atteints par la HoFH et les chylomicronémies familiales (FC).

Le Lomitapide a été évalué dans quatorze essais cliniques de Phase I et huit essais de Phase II, ainsi que dans une étude pivot de phase III pour la HoFH achevée en 2011. Une étude pour évaluer la sécurité à long terme est en cours. Plus de 900 patients

ont été traités avec
L
omitapide
dans le cadre de
ces essais cliniques
.

Aujourd'hui, il n'existe pas encore d'inhibiteur des MTP sur le marché.

Au sujet de la HoFH (hypercholestérolémie familiale homozygote)

L'hypercholestérolémie familiale homozygote est une maladie génétique très rare (environ 75 personnes en France)
causée
par une
altération des
gè
nes codant pour les récepteurs des

LDL
.
Le
récepteur de LDL
est
une
protéine
située
à la surface
de
s
cellules qui
est
responsable de la liaison
puis d
u transfert
dans le
sang
.
Une perte de
fonction du récepteur
des LDL
aboutit à
l'accumulation
de
LDL- C
holestérol
dans le sang
et
à d
es taux extrêmement élevés (
typi
quement entre
400 mg/dL and 1
000 mg/dL
,
pour une cible thérapeutique inférieure à 10
0 mg/dL
).
Les patients qui en sont affectés ont donc des risques très élevés d'atteintes cardiovasculaires graves avant 20 ans
!
Et beaucoup de patients atteints décèdent avant 30 ans.

Aegerion

Aegerion Pharmaceuticals, Inc. est une récente start-up de biotech pharmaceutique, dédiée au développement et à la commercialisation de nouveaux traitements vitaux pour traiter des maladies rares . Aujourd'hui, le produit phare d'Aegerion est un "candidat-médicament", le Lomitapide, qui se trouve dans les dernières étapes de son enregistr
ement.