



Paris, le 3 mai 2010

---

## COMMUNIQUÉ DE PRESSE

---

### **Collaboration AP-HP/AFM : Autorisation européenne de mise sur le marché d'un médicament pour une maladie rare**

L'expertise et le savoir-faire des équipes de l'Assistance Publique - Hôpitaux de Paris et la collaboration de l'Association Française contre les Myopathies (AFM) ont permis d'obtenir une Autorisation européenne de Mise sur le Marché pour le produit dénommé Firdapse® (Amifampridine) utilisé pour le syndrome de Lambert-Eaton.

Décrit en 1956<sup>[1]</sup>, le Syndrome de Lambert-Eaton est une maladie rare neuromusculaire causée par un dysfonctionnement de la jonction neuro-musculaire dont le type le plus répandu est la Myasthénie auto-immune. Fréquemment associé au cancer du poumon à petites cellules, ce syndrome est caractérisé par une faiblesse musculaire et une fatigabilité des muscles des membres, surtout des membres inférieurs et du tronc. L'atteinte oculaire est présente dans 70 % des cas. Cette pathologie affecte actuellement 2000 à 5000 patients en Europe et 1200 à 3000 aux Etats-Unis.

Une équipe de l'Agence Générale des Equipements et Produits de Santé (AGEPS) de l'AP-HP a développé un comprimé sécable contenant 10 mg de 3,4 diaminopyridine (3,4- DAP). L'Office de Transfert de Technologie et de Partenariats Industriels de l'AP-HP (OTT&PI) a par la suite obtenu un brevet pour l'utilisation de la substance active dans le traitement de diverses pathologies, dont le syndrome de Lambert-Eaton.

Pour le développer et le commercialiser, l'AP-HP a conclu deux partenariats. L'un financier, avec l'Association Française contre les Myopathies (AFM) dans le cadre des études de toxicité complémentaires sur les animaux, l'autre industriel avec OPi-EUSA/Huxley-Biomarin, dans le cadre d'un accord de licence mondiale.

La collaboration de l'AP-HP et de l'AFM a permis de concrétiser cette mise sur le marché d'autant plus remarquable que seules 50 AMM européennes pour des médicaments d'indication orpheline ont été délivrées entre 2001 et 2008.

#### ***A propos de L'AP-HP***

L'AGEPS, structure pharmaceutique de l'AP-HP, par son pôle Etablissement Pharmaceutique des Hôpitaux de Paris (EP-HP), a pour mission originale de développer, produire, contrôler et mettre sur le marché des médicaments répondant à des besoins de santé publique non pourvus par l'industrie pharmaceutique. L'EP-HP est un outil de

recherche et de développement pharmaceutique qui travaille en lien avec les universités, les établissements publics à caractère scientifique et techniques, des partenaires publics et privés et l'OTT&PI.

Il contribue notamment à la mise au point de nouveaux médicaments qui permettront la prise en charge de pathologies jusqu'à présent non traitées ou insuffisamment traitées.

L'OTT&PI protège et valorise les innovations issues de recherches effectuées à l'AP-HP. Il couvre les domaines du diagnostic, des thérapies innovantes, de la thérapie génique et cellulaire, de la prise en charge des maladies rares, de la découverte de nouveaux médicaments, et des dispositifs médicaux. Il assure à travers la mise en place des partenariats académiques et industriels (transferts de technologies, accords de licence, contrats de collaboration de recherche) la valorisation des projets développés par des équipes de l'AP-HP mais aussi le développement et la diffusion des innovations galéniques issues de l'AGEPS.

### ***A propos de L'AFM***

L'AFM est une association de malades et parents de malades touchés par les maladies neuromusculaires, des maladies génétiques rares qui tuent muscle après muscle. Grâce aux dons du Téléthon français (95 millions d'euros en 2009), elle est devenue un acteur majeur de la recherche biomédicale pour les maladies rares en France et dans le monde. Actuellement, l'AFM soutient **34 essais cliniques pour 30 maladies différentes** (maladies génétiques de la vue, du sang, du cerveau, du système immunitaire, du muscle...), **et à horizon 2012, 43 projets pour le développement de médicaments pour les maladies rares** en France ou à l'étranger.

---

#### **Contacts presse :**

AFM - Axelle de Chaillé –Tél. : 01 69 47 28 28 [presse@afm.genethon.fr](mailto:presse@afm.genethon.fr) Plus d'informations sur [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)

APHP – Eve Aulong - Florence Dauchy – Aude Chaboissier Tél. : 01 40 27 37 22 [service.presse@sap.aphp.fr](mailto:service.presse@sap.aphp.fr)  
Plus d'informations sur [www.aphp.fr](http://www.aphp.fr)