

# L'Observateur des **MÉDICAMENTS ÉMERGENTS** **2022**

**SNIUMP**

Système national  
d'information sur l'utilisation  
des médicaments prescrits



Conseil d'examen  
du prix des médicaments  
brevetés

Patented  
Medicine Prices  
Review Board

Canada

Publié par le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB)  
Juin 2023

*L'Observateur des médicaments émergents 2022* est disponible en format électronique sur le site Web du CEPMB.  
This document is also available in English under the title: *Meds Pipeline Monitor 2022*.

Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés  
Centre Standard Life  
Case postale L40  
333, avenue Laurier Ouest  
Bureau 1400  
Ottawa (Ontario) K1P 1C1

Téléphone : 1-877-861-2350  
ATS : 613-288-9654

Courriel : [PMPRB.Information-Renseignements.CEPMB@pmprb-cepmb.gc.ca](mailto:PMPRB.Information-Renseignements.CEPMB@pmprb-cepmb.gc.ca)  
Site Web : <http://www.pmprb-cepmb.gc.ca/fr/accueil>

ISSN 2292-3144  
N° de cat. : H79-5F-PDF

Citation suggérée : Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés. (2023). *L'Observateur des médicaments émergents 2022*.  
Ottawa : CEPMB.

© Sa Majesté le Roi du chef du Canada, représenté par l'initiative du SNIUMP du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés, 2023

## Au sujet du CEPMB

Le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) est un organisme quasi judiciaire indépendant, créé par le Parlement en 1987. Il est investi d'un mandat double en matière de réglementation et de reddition de comptes : veiller à ce que les prix auxquels les titulaires de brevets vendent leurs médicaments brevetés au Canada ne soient pas excessifs et faire rapport sur les tendances en matière de prix de vente de tous les médicaments ainsi que sur les dépenses en recherche et développement des titulaires de brevets.

## Initiative du SNIUMP

Le Système national d'information sur l'utilisation des médicaments prescrits (SNIUMP) est une initiative de recherche mise sur pied par les ministres fédéral, provinciaux et territoriaux de la Santé en septembre 2001. Il s'agit d'un partenariat entre le CEPMB et l'Institut canadien d'information sur la santé (ICIS).

Conformément à l'article 90 de la *Loi sur les brevets*, le CEPMB a pour mandat de procéder à des analyses pour fournir aux décideurs des renseignements essentiels sur les tendances relatives aux prix, à l'utilisation et aux coûts des médicaments, et ce, afin que les responsables du système de santé canadien disposent de renseignements complets et exacts sur l'utilisation des médicaments et sur les facteurs à l'origine des pressions sur les coûts.

Les priorités et les méthodes de recherche propres au SNIUMP sont établies avec l'aide du Comité consultatif du SNIUMP et vont dans le sens des priorités des administrations participantes, comme définies dans le – [Programme de recherche](#) du SNIUMP. Le Comité consultatif est constitué de représentants des régimes publics d'assurance-médicaments de la Colombie-Britannique, de l'Alberta, de la Saskatchewan, du Manitoba, de l'Ontario, du Nouveau-Brunswick, de la Nouvelle-Écosse, de l'Île-du-Prince-Édouard, de Terre-Neuve-et-Labrador, du Yukon, du Programme des services de santé non assurés (SSNA) et de Santé Canada. Il comprend également des observateurs de l'ICIS, de l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTS), du ministère de la Santé et des Services sociaux du Québec (MSSS), de l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) et du Bureau de transition vers une Agence canadienne des médicaments.

## Remerciements

Le présent rapport a été rédigé par le CEPMB dans le cadre de l'initiative du SNIUMP.

Le CEPMB tient à remercier les membres du Comité consultatif du SNIUMP pour leur supervision et leurs conseils avisés au cours de la rédaction du rapport. Veuillez noter que les déclarations et les constatations se rapportant au présent rapport ne reflètent pas nécessairement celles des membres ou de leurs organisations.

Nous remercions sincèrement Patricia Carruthers-Czyzewski, B. Sc. (phm.), M. Sc., Sintera Inc., pour son expertise du domaine pharmaceutique et sa contribution à l'évaluation scientifique.

Nous remercions Allison Carey d'avoir dirigé le projet, ainsi que Tanya Potashnik et Kevin Pothier d'avoir supervisé la rédaction du rapport. Le CEPMB tient également à souligner la contribution de Shirin Paynter, membre de l'équipe rédactionnelle.

## Avis de non-responsabilité

Le SNIUMP est une initiative de recherche indépendante des activités de réglementation du CEPMB. Les priorités de recherche, les données, les déclarations et les opinions présentées ou reproduites dans les rapports du SNIUMP ne reflètent pas la position du CEPMB au sujet des questions réglementaires. Les rapports du SNIUMP ne contiennent pas d'information confidentielle ou protégée en vertu des articles 87 et 88 de la *Loi sur les brevets*, et la mention d'un médicament dans un rapport du SNIUMP ne revient pas à reconnaître ou à nier que le médicament fait l'objet d'une demande de brevet en vertu des articles 80, 81 ou 82 de la *Loi sur les brevets* ou encore que son prix est ou n'est pas excessif au sens de l'article 85 de la *Loi sur les brevets*.

Bien que ces renseignements soient en partie fondés sur des données obtenues avec l'autorisation de GlobalData et à partir de la base de données MIDAS©, propriété exclusive d'IQVIA Solutions Canada Inc. ou de ses sociétés affiliées (« IQVIA »), les déclarations, les résultats, les conclusions, les points de vue et les opinions exprimés dans le présent rapport sont exclusivement ceux du CEPMB et ne peuvent être attribués à GlobalData ou à IQVIA.

## SOMMAIRE

*L'Observateur des médicaments émergents* (OMÉ) est un rapport d'analyse prospective qui présente une sélection de nouveaux médicaments en cours d'évaluation clinique ou en attente d'homologation qui pourraient avoir une incidence sur la pratique clinique future ou sur les dépenses en médicaments au Canada.

Dans la présente édition, la portée de l'examen visant les médicaments candidats en essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation sélectionnés a été élargie et inclut désormais les médicaments en essais de phase II qui ont le même mécanisme d'action ou la même indication. Le fait de disposer de renseignements sur d'autres médicaments en cours d'évaluation (c.-à-d. en essais de phase II) peut aider à avoir une meilleure idée de la place que pourraient occuper ces médicaments candidats dans le traitement. Les médicaments en essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation sont sélectionnés pour être ajoutés, en tant que médicaments candidats, à la liste des « nouveaux médicaments » s'ils peuvent répondre à un besoin thérapeutique non comblé, offrir un mécanisme d'action nouveau ou un avantage thérapeutique par rapport aux traitements existants, ou traiter une affection grave. Les médicaments en essais de phase II sont également examinés en vue de déceler d'autres médicaments qui en sont à des phases antérieures du processus et qui présentent la même indication ou le même mécanisme d'action que les médicaments candidats sélectionnés.

Le rapport rassemble des données provenant de deux sources principales : la base de données GlobalData Healthcare, qui permet de relever les médicaments en cours d'évaluation clinique, et les listes des présentations de médicaments et de produits de santé en cours d'examen (PCE) de Santé Canada, qui fournissent de l'information sur les nouveaux médicaments en cours d'examen au Canada.

## Faits saillants relatifs aux médicaments émergents en 2022

- En 2022, les médicaments émergents comprenaient plus de 9 000 nouveaux médicaments à différentes étapes de développement clinique, comparativement à un peu moins de 8 500 l'année précédente. Le nombre de médicaments émergents augmente en moyenne de 11 % par année depuis 2018.
- L'oncologie a continué de dominer l'éventail thérapeutique en 2022, les traitements contre le cancer représentant près du tiers (30 %) des médicaments à toutes les phases des essais cliniques. Les traitements contre les maladies infectieuses ont occupé la deuxième place, représentant 15 % des médicaments émergents. Ces résultats s'expliquent par le nombre accru de médicaments pour le traitement de la COVID-19.
- Près du tiers (31 %) des médicaments en cours d'essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation avaient une désignation rapide de médicament orphelin approuvée par la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis ou par l'Agence européenne des médicaments (EMA), ce qui concorde avec la tendance à la hausse de la prévalence des médicaments orphelins entrant sur le marché pharmaceutique.
- Les tendances observées en 2022 pour ce qui a trait aux médicaments émergents comprennent un nombre croissant de nouveaux produits de thérapie génique et cellulaire qui sont étendus à des groupes élargis de patients (p. ex. myopathie de Duchenne). Les produits émergents biosimilaires s'étendent également à des domaines thérapeutiques comme l'asthme (omalizumab), la santé osseuse (dénozumab) et l'infarctus du myocarde (ténectéplase).
- Vingt-huit nouveaux médicaments, dont cinq nouveaux produits de thérapie génique et cellulaire, ont été sélectionnés pour être ajoutés à la liste des nouveaux médicaments de l'OMÉ 2022 en raison de leur incidence potentielle sur le système de soins de santé au Canada. Selon les prévisions, neuf des médicaments présentés dans le rapport de cette année devraient générer des revenus annuels mondiaux de plus d'un milliard de dollars américains d'ici 2028, et l'un d'eux a été approuvé par Santé Canada en février 2023.
- Sur les 42 médicaments nouveaux et conservés présentés dans l'édition 2021 de l'OMÉ, 6 ont obtenu une autorisation de mise en marché, 25 ont été maintenus sur la liste car ils répondaient toujours aux critères de sélection, et 11 ont été supprimés car leurs essais cliniques avaient été abandonnés ou ils ne répondaient plus aux critères de sélection.
- En date de septembre 2022, 550 vaccins et traitements étaient en cours d'évaluation clinique à l'échelle mondiale pour la prévention et le traitement de la COVID-19. Santé Canada examine 14 présentations de drogues nouvelles et suppléments à une présentation de drogue nouvelle pour la prévention et le traitement de la COVID-19.

# TABLE DES MATIÈRES

<b>SOMMAIRE</b> .....	<b>4</b>
<b>LISTE DE TERMES</b> .....	<b>6</b>
<b>INTRODUCTION</b> .....	<b>7</b>
<b>MÉTHODOLOGIE</b> .....	<b>8</b>
<b>LIMITES</b> .....	<b>12</b>
<b>Aperçu des médicaments émergents en 2022</b> .....	<b>13</b>
<b>Veille des tendances en 2022</b> .....	<b>17</b>
<b>L'Observateur des médicaments émergents 2022</b> .....	<b>18</b>
Tableau 4. Nouveaux médicaments sélectionnés en 2022 .....	<b>19</b>
Tableau 5. Mise à jour sur les médicaments émergents conservés de l'édition 2021 de l' <i>Observateur des médicaments émergents</i> .....	<b>33</b>
Tableau 6. Médicaments émergents de l'édition 2021 de l' <i>Observateur des médicaments émergents</i> ayant reçu une autorisation de mise en marché .....	<b>39</b>
<b>Pleins feux sur le Canada</b> .....	<b>41</b>
Tableau 7. Nouveaux médicaments sélectionnés en cours d'examen par Santé Canada, 2022 .....	<b>42</b>
<b>Traitements émergents contre la COVID-19</b> .....	<b>45</b>
Tableau 8. Traitements et vaccins contre la COVID-19 approuvés par Santé Canada, 2022 .....	<b>48</b>
Tableau 9. Traitements et vaccins contre la COVID-19 en cours d'examen par Santé Canada, en date de mars 2023 .....	<b>51</b>
<b>Annexe A</b> .....	<b>53</b>
Tableau A1. Produits biosimilaires en cours d'essais cliniques de phase III (d'après les données extraites en septembre 2022) .....	<b>53</b>
Tableau A2. Présentations de drogues nouvelles en cours d'examen par Santé Canada (février 2023) .....	<b>56</b>
Tableau A3. Médicaments en cours d'essais de phase II pour des indications ciblées par des médicaments candidats émergents .....	<b>56</b>
<b>Références</b> .....	<b>67</b>

# LISTE DE TERMES

Les termes suivants et leurs définitions s'appliquent aux fins du présent rapport.

## **Autorisation de mise en marché :**

Processus d'approbation de la commercialisation d'un médicament dans un pays donné. Au Canada, l'approbation de la commercialisation est accordée à la suite d'une évaluation scientifique approfondie de l'innocuité, de l'efficacité et de la qualité d'un produit, conformément aux exigences de la *Loi sur les aliments et drogues* et de son *Règlement*<sup>i</sup>.

## **Efficacité clinique :**

Réponse maximale possible d'un médicament en contexte de recherche médicale et capacité d'avoir un effet thérapeutique suffisant en contexte clinique<sup>ii</sup>.

## **En attente d'homologation :**

Un médicament est en attente d'homologation lorsque tous les essais cliniques nécessaires sont terminés et que l'homologation ou l'approbation de l'utilisation du médicament est en cours d'examen par un organisme de réglementation<sup>iii</sup>.

## **Ingrédient médicinal :**

Substance chimique ou biologique responsable de l'effet pharmacologique allégué d'un produit médicamenteux. Parfois appelé molécule, substance active ou ingrédient actif<sup>iv</sup>.

## **Médicament :**

Terme général englobant à la fois le produit médicamenteux final et les ingrédients médicinaux, notamment les substances actives et les produits biologiques fabriqués chimiquement, ainsi que les produits de thérapie génique. Les médicaments sont déclarés par ingrédients médicinaux et peuvent faire référence à un seul ingrédient ou à une combinaison unique d'ingrédients.

## **Médicament orphelin :**

Médicament utilisé pour traiter une maladie rare. Pour les besoins de la présente étude, les médicaments orphelins sont définis comme ayant une désignation de médicament orphelin accordée par la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis ou par l'Agence européenne des médicaments (EMA) pour l'indication concernée.

## **Nouveau médicament :**

Ingrédient médicinal dont la mise en marché n'a pas encore été autorisée par un organisme de réglementation<sup>iv</sup>.

## **Perpétuation des brevets :**

Pratique qui consiste à acquérir des brevets supplémentaires pour des modifications mineures apportées à un produit pharmaceutique existant dans le but de prolonger la durée de vie du brevet du produit (p. ex. nouveaux systèmes d'administration, nouvelles posologies, nouvelles utilisations, nouvelles combinaisons ou nouvelles formes)<sup>v</sup>.

## **Thérapie cellulaire :**

La transplantation de cellules humaines pour remplacer ou réparer des tissus ou des cellules endommagés.

## **Thérapie génique :**

Technique utilisée pour traiter des maladies génétiques, qui consiste à remplacer un gène absent ou défectueux par un gène sain, selon la définition de Santé Canada<sup>vi</sup>.

## **PHASES DES ESSAIS CLINIQUES**

### **Phase I :**

Dans cette phase, le médicament expérimental est mis à l'essai pour la première fois auprès d'un petit groupe de personnes. L'objectif est d'examiner l'innocuité du médicament, de déterminer une gamme posologique sûre et de détecter les effets secondaires.

### **Phase II :**

Dans cette phase, le médicament est administré à un plus grand groupe de personnes (généralement 100 ou plus) en vue de recueillir des données sur son efficacité dans le traitement d'une maladie ou d'un trouble particulier, de vérifier son innocuité sur un plus grand nombre de personnes et de déterminer la meilleure dose<sup>vii</sup>.

### **Phase III :**

Dans cette phase, des essais, contrôlés ou non, sont effectués après que des données préliminaires qui permettent de penser que le médicament est efficace ont été obtenues. L'objectif est de recueillir des données supplémentaires afin de confirmer l'efficacité clinique et l'innocuité du médicament dans les conditions d'utilisation proposées<sup>ii</sup>. Les essais de phase III sont habituellement des essais randomisés à double insu menés auprès de plusieurs centaines ou milliers de patients.

<sup>i</sup> <https://www.canada.ca/fr/sante-canada/services/medicaments-produits-sante/medicaments.html>

<sup>ii</sup> Holford NHG, Sheiner LB. 1981. *Understanding the dose-effect relationship: Clinical application of pharmacokinetic-pharmacodynamic models*. Clin. Pharmacokinet. 6 (6): 429–453. doi: 10.2165/00003088-198106060-00002.

<sup>iii</sup> <http://www.appliedclinicaltrials.com/are-phase-labels-still-relevant>

<sup>iv</sup> <http://www.pmprb-cepmb.gc.ca/view.asp?ccid=1310&lang=fr>

<sup>v</sup> <https://academic.oup.com/jlb/article/5/3/590/5232981>, <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35543377/>

<sup>vi</sup> <https://www.canada.ca/fr/sante-canada/services/medicaments-produits-sante/medicaments/base-donnees-essais-cliniques-sante-canada/glossaire.html>

<sup>vii</sup> <https://www.canada.ca/fr/sante-canada/services/essais-cliniques.html>

# INTRODUCTION

Cette édition de l'*Observateur des médicaments émergents* (OMÉ) présente une sélection de nouveaux médicaments en cours d'essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation qui peuvent avoir une incidence sur la pratique clinique ou les dépenses en médicaments au Canada.

La méthodologie, qui est décrite en détail dans la section suivante, utilise un ensemble précis de critères pour dresser la liste des nouveaux médicaments tirés de la base de données GlobalData Healthcare, ainsi que la liste des médicaments en cours d'examen selon les listes des présentations de médicaments et de produits de santé en cours d'examen (PCE) de Santé Canada. Les nouveaux médicaments indiqués dans le présent rapport sont sélectionnés d'après une revue de la littérature scientifique et les résultats des essais cliniques en vue de déterminer si le médicament peut avoir une incidence sur le système de santé canadien en répondant à un besoin thérapeutique non comblé, en offrant un mécanisme d'action nouveau ou un avantage thérapeutique par rapport aux traitements existants, ou en traitant une affection grave. Les médicaments mentionnés dans les éditions précédentes de l'OMÉ sont également passés en revue et mis à jour dans le présent rapport, qui propose aussi une mise à jour sur les médicaments de l'édition précédente qui ont reçu depuis une autorisation de mise en marché de la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis, de l'Agence européenne des médicaments (EMA) ou de Santé Canada. De même, les nouveaux médicaments figurant dans le présent rapport feront l'objet d'un suivi dans les prochaines éditions de l'OMÉ afin de relever ceux qui réussissent à faire leur entrée sur le marché.

Pour mettre en contexte la sélection des médicaments, l'OMÉ comprend un aperçu du nombre de médicaments à chaque phase des essais cliniques portant sur les médicaments émergents d'année en année (2018-2023) et une ventilation des données par domaine thérapeutique pour chaque phase de développement clinique. La présente édition du rapport met également en lumière certains vaccins et autres médicaments faisant l'objet d'essais cliniques pour le traitement et la prévention de la COVID-19 dans les marchés mondiaux ainsi qu'au Canada. Les médicaments évalués pour cette partie de l'analyse comprennent de nouveaux traitements ainsi que des traitements commercialisés pour d'autres indications qui ont été repositionnés pour le traitement de la COVID-19.

L'*Observateur des médicaments émergents* est une publication complémentaire à la *Veille des médicaments mis en marché*, qui analyse les tendances relatives au lancement sur le marché des médicaments nouvellement approuvés au Canada et à l'étranger. Ensemble, ces deux rapports du CEPMB permettent de surveiller le continuum de commercialisation des médicaments émergents aux dernières étapes de développement et des nouveaux médicaments approuvés, en plus de fournir de l'information sur les médicaments émergents et les pressions changeantes sur les coûts aux décideurs, aux chercheurs, aux patients, aux cliniciens et à d'autres intervenants.

# MÉTHODOLOGIE

## Aperçu des médicaments émergents

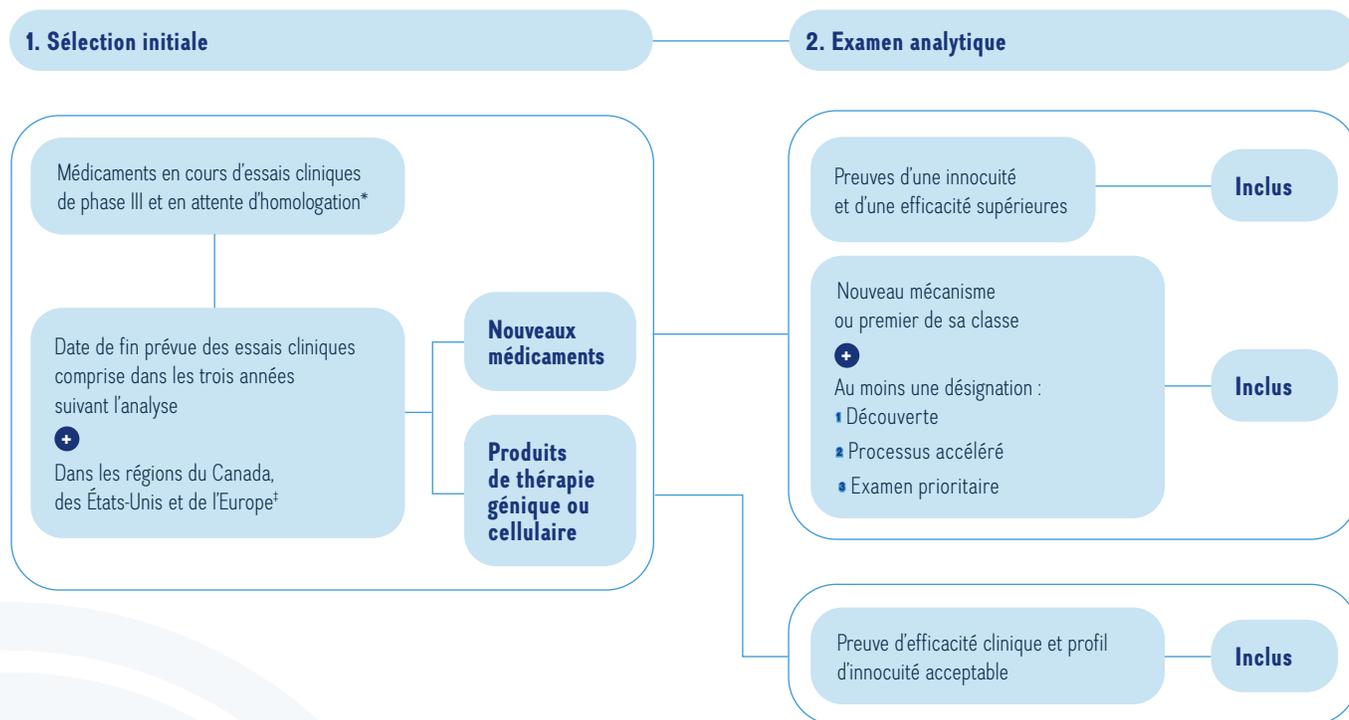
L'aperçu des médicaments émergents en 2022 présente la composition des médicaments qui en sont aux diverses étapes de développement clinique. Aux fins de l'analyse, une liste complète des médicaments émergents a été extraite de la base de données GlobalData Healthcare en septembre 2022. Les médicaments candidats sélectionnés pour le rapport de cette année ont été validés au 30 mars 2023.

Les nouveaux ingrédients médicinaux sont ceux qui n'ont pas été approuvés antérieurement par la FDA des États-Unis, par l'EMA ou par Santé Canada. La répartition des nouveaux médicaments par domaine thérapeutique correspond à l'indication en cours d'évaluation, selon les données de GlobalData. Il convient de préciser qu'un même médicament nouveau peut faire l'objet de plusieurs essais cliniques portant sur des indications distinctes.

## L'Observateur des médicaments émergents

L'OMÉ retient les nouveaux médicaments qui sont en cours d'essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation au Canada, aux États-Unis et en Europe. De nombreux médicaments candidats sont premiers de leur classe ou offrent des mécanismes nouveaux pour le traitement dans un domaine thérapeutique précis. Pour cette raison, ce rapport comporte un examen supplémentaire de médicaments qui font l'objet d'essais cliniques de phase II et qui ont la même indication ou le même mécanisme d'action aux étapes précédentes (phase II). La sélection des médicaments émergents repose sur un processus en deux étapes (figure 1). À l'étape de la sélection initiale, les médicaments choisis en sont aux dernières étapes de l'évaluation clinique, tandis qu'à l'étape de l'examen analytique, une évaluation plus rigoureuse de chaque médicament potentiel est effectuée pour déterminer les médicaments qui pourraient avoir une incidence clinique ou budgétaire importante.

**FIGURE 1**  
Processus de sélection des médicaments présentés dans l'OMÉ



\* En attente d'homologation par la FDA des États-Unis.

† Essais cliniques de phase III menés au Canada, aux États-Unis ou sur le continent européen (à l'exclusion de la Russie et de la Turquie).

## Étape 1. Sélection initiale

On utilise la base de données GlobalData Healthcare pour dresser une liste de médicaments en cours d'essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation. Ces médicaments servent de fondement à l'étape de la sélection initiale.

La géographie des médicaments, qui s'entend de la région géographique ou du pays où le médicament est commercialisé ou en développement, se limite au Canada et à d'autres pays ayant des processus de réglementation et d'approbation semblables, soit les États-Unis et le continent européen (à l'exclusion de la Russie et de la Turquie). Seuls les nouveaux ingrédients médicinaux dont l'innocuité et l'efficacité accrues démontrées dans les essais cliniques sont établies par des données adéquates peuvent être considérés pour la sélection.

Les médicaments approuvés ou vendus au Canada, aux États-Unis ou en Europe pour toute autre indication ou dans toute autre concentration ou formulation sont exclus du processus de sélection, tout comme les médicaments dont les essais cliniques sont inactifs, suspendus, retirés ou terminés.

## Étape 2. Examen analytique

### Critères de sélection

La seconde étape du processus tient compte d'un certain nombre de critères de sélection qui permettent de déterminer la liste finale des médicaments émergents. Ces critères sont exposés en détail dans le tableau 1.

Les étapes précédentes (c.-à-d. phase II) sont également examinées pour déterminer s'il existe d'autres médicaments ayant la même indication ou le même mécanisme d'action que les médicaments candidats en essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation sélectionnés. Il est ainsi possible d'obtenir des renseignements supplémentaires sur le nombre de médicaments nouveaux, premiers de leur classe, qui font l'objet d'essais cliniques de phase II et qui pourraient avoir une incidence sur l'importance thérapeutique des médicaments candidats en essais de phase III ou en attente d'homologation sélectionnés.

**TABEAU 1**  
Critères de sélection de l'OMÉ

Critères de sélection	
	<b>Amélioration de l'innocuité ou de l'efficacité démontrée dans les essais cliniques :</b> médicament qui est associé à une innocuité accrue, à de nouvelles mesures des résultats, à une espérance de vie accrue ou à une meilleure qualité de vie.
	<b>Nouveau mécanisme/premier de sa classe :</b> médicament qui utilise un nouveau mécanisme d'interaction biochimique pour produire un effet médical, ou médicament qui est le premier de sa classe thérapeutique.  De plus, <b>le médicament doit correspondre à l'une ou à plusieurs des trois désignations suivantes de la FDA</b> pour le développement et l'examen accélérés :
	<b>Découverte :</b> médicament qui est destiné à traiter un problème de santé grave et pour lequel des données cliniques préliminaires indiquent qu'il peut améliorer considérablement un ou plusieurs paramètres cliniquement significatifs par rapport au traitement disponible.
	<b>Processus accéléré :</b> médicament qui est destiné à traiter un problème de santé grave et à répondre à un besoin médical non comblé.
	<b>Examen prioritaire :</b> médicament qui améliorerait considérablement l'innocuité ou l'efficacité du traitement, du diagnostic ou de la prévention d'un problème de santé grave par rapport aux applications standards.
	<b>Thérapie génique ou cellulaire :</b> technique utilisée pour traiter une maladie génétique, qui consiste à remplacer un gène absent ou défectueux par un gène sain, ou la transplantation de cellules humaines pour remplacer ou réparer des tissus ou des cellules endommagés.

## Renseignements descriptifs supplémentaires

Le profil de chaque médicament candidat retenu est fourni, ce qui comprend l'indication et le mécanisme d'action, ainsi qu'un résumé des résultats publiés pertinents provenant des essais cliniques. Les attributs particuliers qui peuvent influencer sur l'adoption éventuelle ou le coût de chaque médicament sont également énoncés. Le tableau 2 fournit une description détaillée de ces principaux attributs.

**TABLEAU 2**  
Principaux attributs des nouveaux médicaments sélectionnés pour l'OMÉ

Attribut		Pertinence	Source des données
	<b>Essais cliniques au Canada</b>	Les médicaments mis à l'essai au Canada sont susceptibles d'intéresser les Canadiens.	GlobalData Healthcare; base de données sur les essais cliniques de Santé Canada; listes des présentations de médicaments et de produits de santé en cours d'examen de Santé Canada; registre des essais cliniques des National Institutes of Health (NIH)
	<b>Désignation de médicament rare ou orphelin</b>	Les médicaments utilisés dans le traitement de maladies ou de problèmes de santé rares ont généralement des coûts de traitement élevés et peuvent entraîner des dépenses importantes.	GlobalData Healthcare
	<b>Produit biologique</b>	Ces molécules complexes produites par des organismes vivants devraient avoir des coûts élevés et entraîner ainsi des dépenses importantes.	
	<b>Traitement d'appoint</b>	Les médicaments conçus pour être utilisés en association avec des médicaments existants peuvent augmenter les coûts de traitement et contribuer à une augmentation des dépenses.	
	<b>Perpétuation possible</b>	Formes modifiées du même produit afin de prolonger la durée de vie du brevet (p. ex. nouveaux systèmes d'administration, nouvelles posologies, nouvelles utilisations, nouvelles combinaisons ou nouvelles formes).	GlobalData Healthcare

Le profil précise également les répercussions possibles sur les coûts, le cas échéant, y compris les revenus mondiaux prévus déclarés par GlobalData.

Les indications et les domaines thérapeutiques des médicaments présentés sont ceux visés par le stade d'essais cliniques de phase III ou d'attente d'homologation. Un même essai clinique peut évaluer plusieurs indications dans le même domaine thérapeutique. Ces médicaments peuvent avoir d'autres indications à divers stades de l'évaluation clinique qui ne sont pas mentionnées dans le présent rapport. La description scientifique et les principaux attributs présentés portent sur l'indication ou les indications précisées pour les médicaments sélectionnés.

Les médicaments mentionnés pour une année donnée sont réévalués à chaque édition de l'OMÉ. Ils peuvent être conservés sur la liste de l'OMÉ s'ils répondent toujours aux critères de sélection. Les médicaments qui font l'objet d'essais cliniques ayant été interrompus ou qui ne répondent plus aux critères de sélection ne sont pas mentionnés dans les éditions suivantes.

## Pleins feux sur le Canada

Les listes des PCE de Santé Canada sont évaluées selon une approche modifiée des critères de sélection en vue d'établir une liste de médicaments susceptibles d'avoir une incidence sur la pratique clinique ou sur les dépenses en médicaments au Canada.

Les médicaments inscrits sur les listes des PCE comprennent les présentations de drogues nouvelles contenant des ingrédients médicinaux qui n'ont pas été approuvés au Canada, quelle que soit l'indication, la concentration ou la formulation. Contrairement aux médicaments sélectionnés dans les listes de médicaments émergents, les médicaments inscrits sur les listes des PCE peuvent avoir déjà reçu une autorisation de mise en marché par la FDA des États-Unis ou par l'EMA.

### Critères de sélection

Après la sélection initiale, le médicament doit satisfaire à au moins un des trois critères de sélection pour figurer dans le rapport. Ces critères sont présentés dans le tableau 3.

#### TABLEAU 3

#### Critères de sélection pour la liste des médicaments en cours d'examen par Santé Canada

Critères de sélection	
	<b>Amélioration de l'innocuité ou de l'efficacité démontrée dans les essais cliniques :</b> médicament qui est associé à une innocuité accrue, à de nouvelles mesures des résultats, à une espérance de vie accrue ou à une meilleure qualité de vie.
	<b>Nouveau mécanisme/premier de sa classe :</b> médicament qui utilise un nouveau mécanisme d'interaction biochimique pour produire un effet médical, ou médicament qui est le premier de sa classe thérapeutique.
	<b>Thérapie génique ou cellulaire :</b> technique utilisée pour traiter une maladie génétique, qui consiste à remplacer un gène absent ou défectueux par un gène sain, ou la transplantation de cellules humaines pour remplacer ou réparer des tissus ou des cellules endommagés.

### Renseignements descriptifs supplémentaires

Le profil de chaque médicament en cours d'examen comprend les principaux attributs énoncés au tableau 2, l'indication et le mécanisme d'action, ainsi qu'un résumé des résultats publiés pertinents provenant des essais cliniques. Les attributs particuliers qui peuvent influencer sur l'adoption éventuelle ou le coût de chaque médicament sont également énoncés, tout comme les répercussions possibles sur les coûts, le cas échéant, y compris les revenus mondiaux prévus déclarés par GlobalData.

Bien que les désignations de la FDA pour le développement et l'examen accélérés ne constituent pas des critères de sélection pour cette liste, les désignations pertinentes (découverte, processus accéléré et examen prioritaire) sont mentionnées lorsqu'elles sont disponibles. Ces désignations sont décrites au tableau 1.

Les indications et les domaines thérapeutiques correspondent aux renseignements fournis par GlobalData. La description scientifique et les principaux attributs présentés portent sur l'indication précisée pour le médicament en question. Dans le cas des médicaments dont l'examen porte sur plusieurs indications, c'est l'indication principale qui est retenue.

## Traitements émergents contre la COVID-19

Les vaccins et les médicaments en cours de développement dans le monde entier qui comportent une indication relative à la COVID-19 ont été extraits pour cette section du rapport, en fonction de l'état d'avancement dans les essais cliniques de phase I, II ou III, ou de l'attente d'homologation. Tous ces médicaments ont été évalués pour la présente analyse, qu'ils soient nouveaux ou existants. Les nouveaux médicaments sont ceux qui n'ont pas encore été commercialisés pour une quelconque indication, tandis que les médicaments existants comprennent les traitements commercialisés antérieurement qui sont en cours d'évaluation pour de nouvelles indications liées à la prévention et au traitement de la COVID-19.

Cette section met également en évidence les médicaments contre la COVID-19 qui ont été approuvés, ainsi que les médicaments qui font actuellement l'objet d'un processus d'examen accéléré par Santé Canada.

## Sources de données

La base de données GlobalData Healthcare est la principale source de données pour le repérage des médicaments émergents et des renseignements cliniques correspondants. GlobalData Healthcare permet de suivre les médicaments de leur découverte préclinique jusqu'au lancement sur le marché et aux ventes subséquentes, en passant par les essais cliniques. La base de données est une ressource complète qui répertorie les médicaments à divers stades de développement clinique. Les fonctions de recherche permettent une sélection contrôlée d'attributs particuliers, notamment la phase de développement clinique, le domaine thérapeutique, le type de molécule, l'indication, la géographie du médicament, le mécanisme d'action et les désignations réglementaires.

Les listes des PCE de Santé Canada sont utilisées pour déterminer la sélection présentée des nouveaux médicaments en cours d'examen par Santé Canada. Elles constituent un ensemble de listes accessibles au public énumérant les présentations de produits pharmaceutiques et biologiques qui contiennent de nouveaux ingrédients médicinaux, lesquels n'ont pas encore été approuvés au Canada, et qui ont été acceptées pour examen le 1<sup>er</sup> avril 2015 ou après cette date.

Étant donné que la sélection se limite aux nouveaux médicaments, d'autres sources d'information sont comparées pour confirmer que les médicaments candidats n'ont jamais été approuvés ou vendus dans le passé. Ces sources comprennent les données de vente enregistrées de la base de données MIDAS<sup>®</sup> d'IQVIA (tous droits réservés), les dossiers d'approbation réglementaire des National Institutes of Health (NIH), de la FDA des États-Unis, de l'EMA et de Santé Canada, et des renseignements issus de la base de données sur les essais cliniques de Santé Canada et du site [ClinicalTrials.org](https://ClinicalTrials.org).

## LIMITES

La présente analyse offre un aperçu des médicaments émergents sur une période donnée. Bien qu'il soit censé être représentatif de la composition des médicaments au cours de l'année complète, l'ensemble des médicaments émergents est assez dynamique, et la part des médicaments dans un domaine thérapeutique particulier peut varier.

L'évaluation se limite aux médicaments en développement destinés à la commercialisation au Canada et dans d'autres pays ayant des processus de réglementation et d'approbation semblables, soit les États-Unis et l'Europe (à l'exclusion de la Russie et de la Turquie). Les médicaments qui n'ont pas encore reçu d'autorisation de mise en marché dans ces pays ont été considérés comme des médicaments candidats potentiels, même s'ils ont été approuvés ailleurs dans le monde.

Certains des médicaments sélectionnés peuvent faire l'objet d'essais cliniques pour d'autres indications; la présente analyse ne fait état que des indications aux derniers stades de développement, c'est-à-dire lors des essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation par la FDA des États-Unis, qui répondent aux critères de sélection énoncés dans la méthodologie.

Pour chaque médicament émergent sélectionné, les principaux fabricants et le nom commercial, le cas échéant, sont précisés avec l'indication. Dans certains cas, d'autres fabricants, y compris des filiales, peuvent également participer au développement du médicament avec les principales entreprises, ou d'autres fabricants peuvent mettre au point le même médicament pour d'autres indications.

Bien que le présent rapport tente de répertorier les médicaments émergents les plus importants, la sélection n'est pas exhaustive, et certains médicaments qui ne sont pas inclus dans cette sélection peuvent avoir une incidence importante sur la pratique clinique future ou sur les dépenses en médicaments au Canada.

Sauf indication contraire, les listes présentées rendent compte de la composition des médicaments émergents en date de septembre 2022, et elles ont été validées à la fin mars 2023. En raison de la nature imprévisible et rapide de l'entrée sur le marché des médicaments émergents, certains des médicaments énumérés dans la présente édition peuvent avoir été approuvés ou commercialisés au Canada, aux États-Unis ou en Europe après cette date. Les médicaments émergents qui n'ont pas été inclus dans le rapport en raison du moment où la sélection a eu lieu peuvent actuellement répondre aux critères de sélection; ces médicaments, ainsi que le reste de la liste des médicaments émergents, seront pris en considération dans la prochaine édition du rapport.

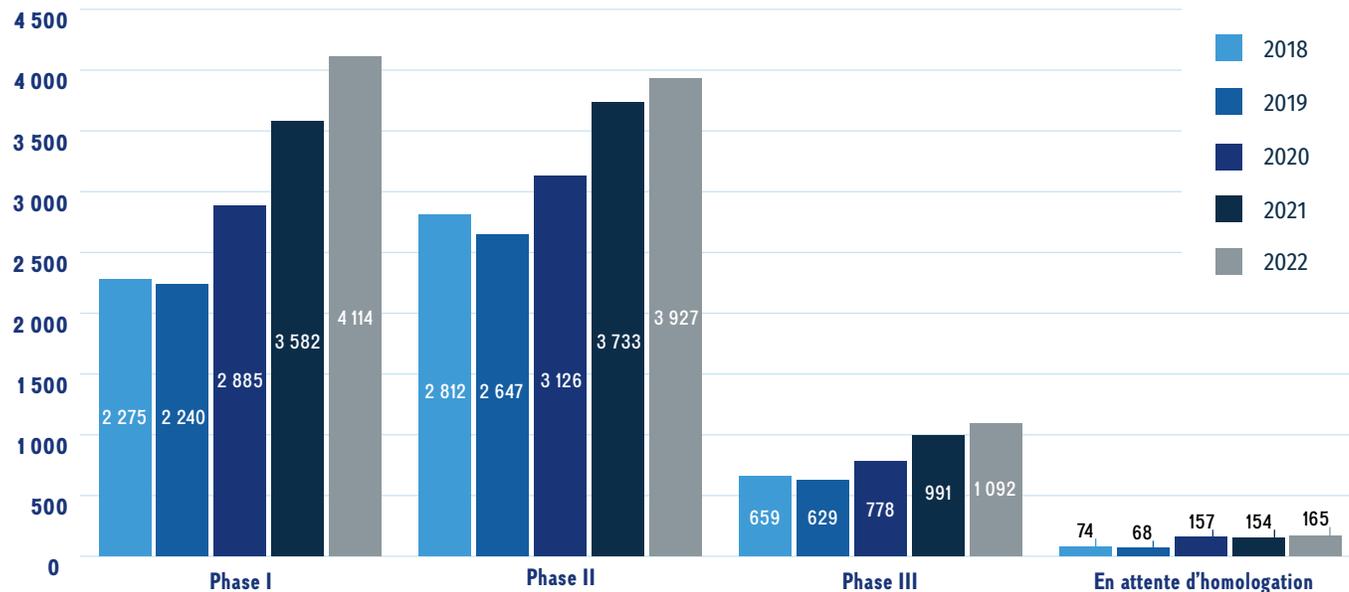
# APERÇU DES MÉDICAMENTS ÉMERGENTS EN 2022

Le nombre de produits pharmaceutiques émergents augmente d'année en année. En 2022, plus de 9 000 nouveaux médicaments ont fait l'objet d'une évaluation clinique, ce qui représente une augmentation moyenne de 11 % par année depuis 2018.

La figure 2 donne un aperçu des médicaments émergents; on y présente le nombre de nouveaux ingrédients médicinaux pour chaque phase de développement clinique au cours des cinq dernières années.

**FIGURE 2**

Nombre de nouveaux médicaments pour chaque phase d'évaluation clinique, de 2018 à 2022

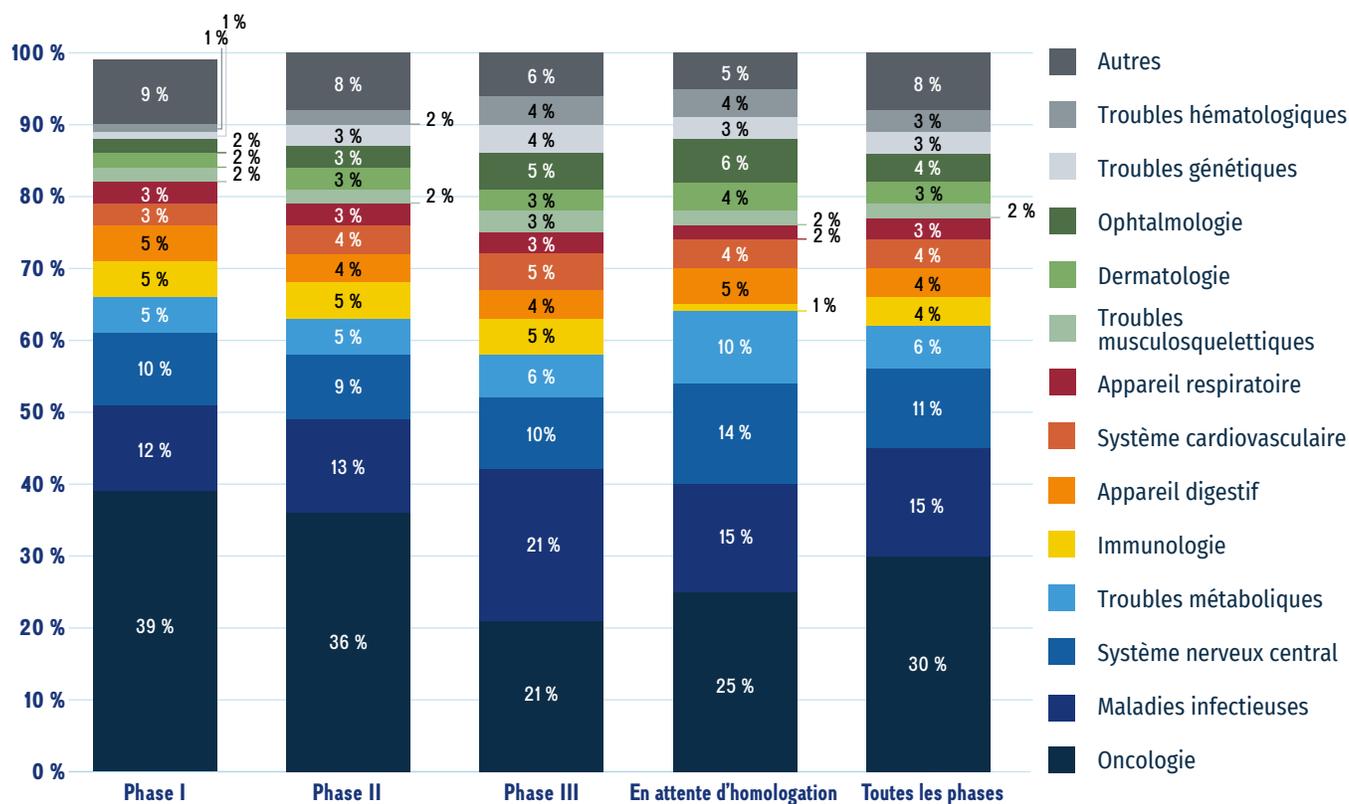


Sources de données : Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022); base de données MIDAS® d'IQVIA.

La figure 3a illustre la répartition des nouveaux médicaments par domaine thérapeutique, de la phase I à l'attente d'homologation. Bien que les résultats montrent que les médicaments émergents s'inscrivent dans un large éventail de domaines thérapeutiques en 2022, les traitements contre le cancer dominent la combinaison thérapeutique dans l'ensemble, représentant près du tiers (30 %) des médicaments à toutes les phases d'évaluation clinique. D'autres domaines thérapeutiques importants comprennent les traitements contre les maladies infectieuses (comme la COVID-19) et contre les maladies du système nerveux central.

La figure 3b illustre les principales indications et le nombre de médicaments en cours d'essais cliniques de phase II ou de phase III, ou en attente d'homologation dans les domaines thérapeutiques majeurs dans lesquels s'inscrivent les médicaments émergents en 2022.

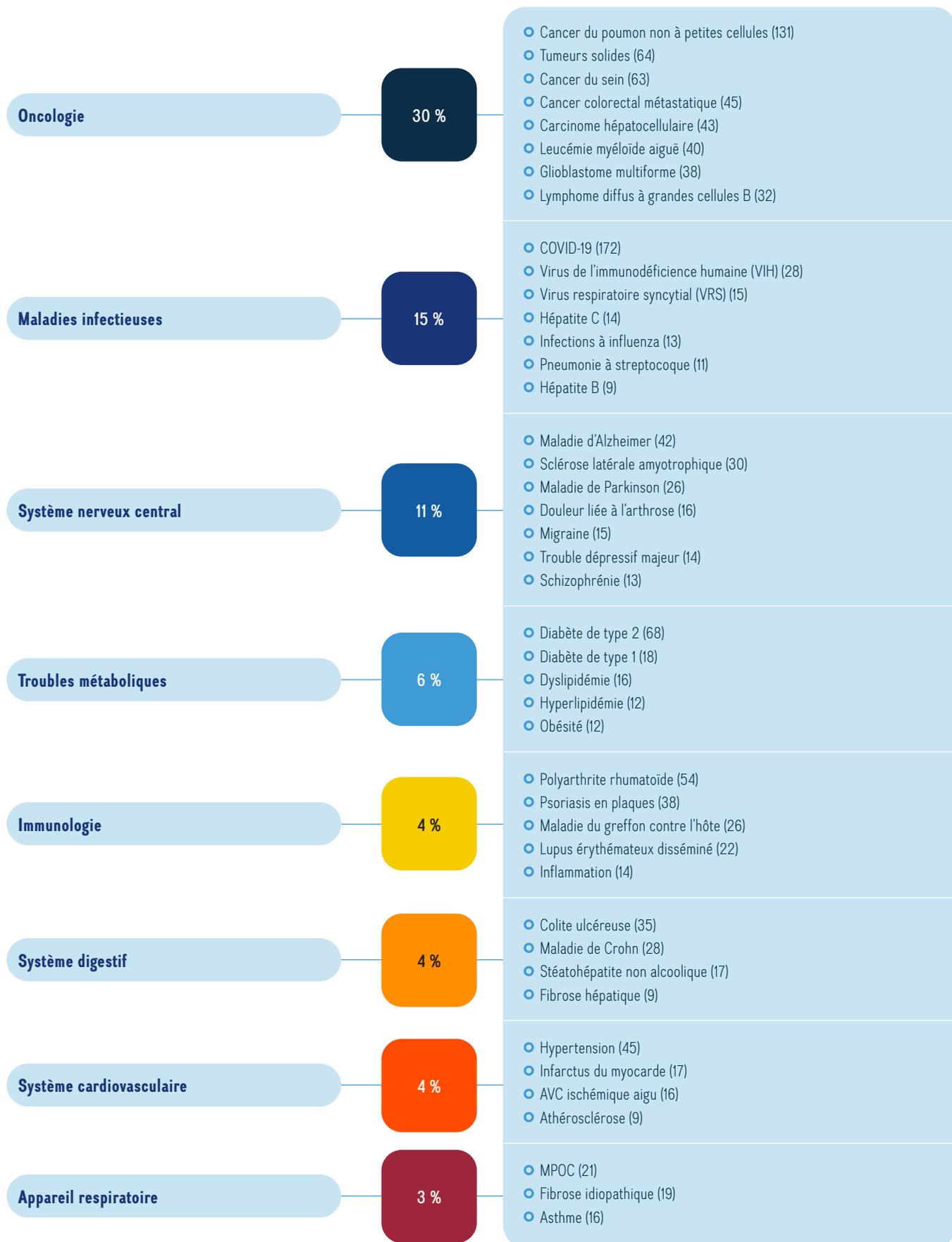
**FIGURE 3A**  
Répartition par classe thérapeutique des médicaments émergents à chaque phase d'évaluation clinique, 2022



Sources de données : Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022).

**FIGURE 3B**

Principales indications pour les domaines thérapeutiques majeurs dans lesquels s'inscrivent les médicaments émergents, 2022

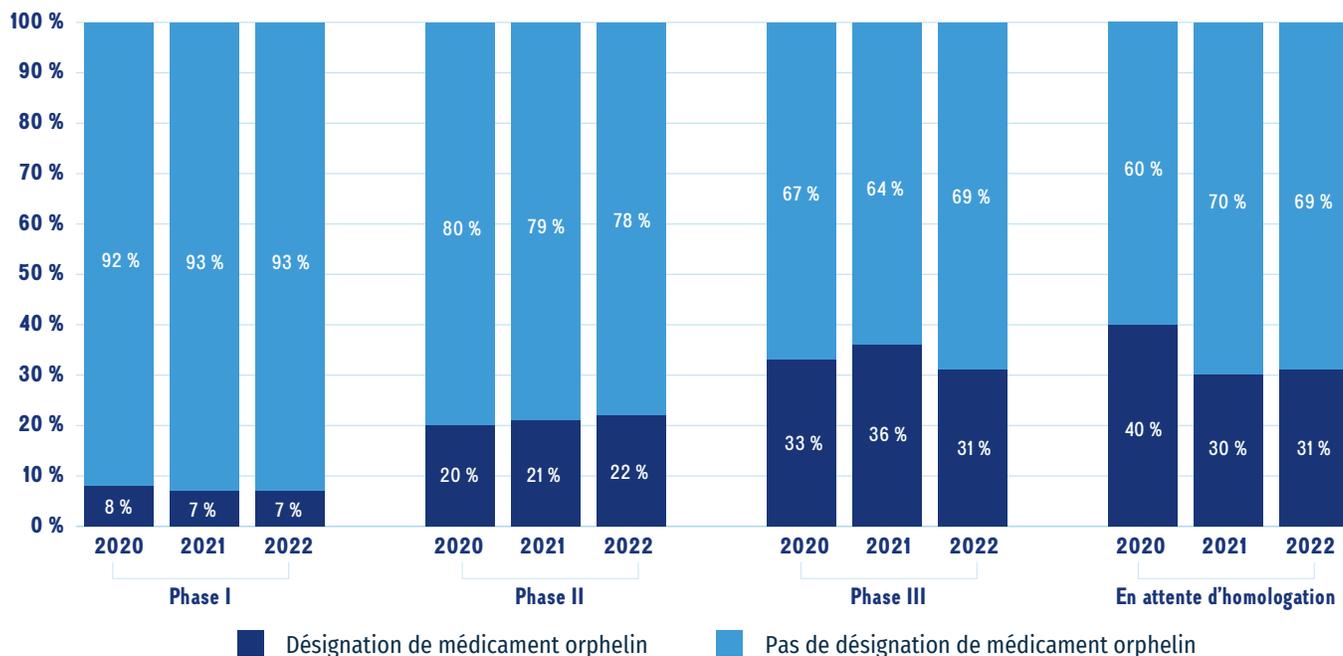


Les médicaments désignés orphelins par la FDA des États-Unis ou par l'EMA représentent une proportion considérable des médicaments émergents en 2022. La figure 4 illustre les parts des médicaments désignés orphelins à toutes les phases du processus, de 2020 à 2022. Les médicaments désignés orphelins comptent pour une plus grande

part des médicaments aux dernières étapes de l'évaluation clinique, représentant 7 % des médicaments émergents faisant l'objet d'essais de phase I contre 31 % des médicaments en attente d'homologation en 2022. Cette tendance est constante depuis 2020.

#### FIGURE 4

Part des médicaments orphelins en cours de développement selon la dernière phase d'évaluation clinique atteinte, de 2020 à 2022



Remarque : Comprend tous les médicaments émergents ayant atteint les essais de phase I jusqu'à l'attente d'homologation, mis au point pour le marché du Canada, des États-Unis ou du continent européen (à l'exclusion de la Russie et de la Turquie). Les médicaments orphelins ont été définis comme des médicaments émergents qui ont reçu une désignation de médicament orphelin par la FDA des États-Unis ou par l'EMA.

Source des données : Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022).

# VEILLE DES TENDANCES EN 2022

Le paysage du développement de médicaments évolue depuis quelques années; alors que, auparavant, les efforts étaient axés sur les médicaments vedettes mis au point à l'interne par de grandes entreprises pharmaceutiques, on se concentre maintenant sur les marchés à créneaux et sur la « médecine personnalisée<sup>viii</sup> », qui englobent les médicaments orphelins pour le traitement des maladies rares, les produits de thérapie génique et cellulaire (qui s'étendent à divers domaines thérapeutiques) et les produits biosimilaires émergents (qui sont en pleine croissance).

## Médicaments orphelins approuvés

Le nombre de médicaments spécialisés approuvés continue d'augmenter, les médicaments désignés orphelins représentant 58 % (29) des médicaments approuvés en 2020 au Canada<sup>ix</sup>. Cette tendance à la hausse se poursuit : en effet, près de la moitié (49 %) des nouveaux médicaments spécialisés sont indiqués pour des maladies orphelines. Lorsqu'on tient compte des médicaments orphelins contre le cancer, les estimations indiquent que 80 % des médicaments spécialisés en développement en 2022 étaient destinés à traiter des maladies orphelines<sup>xi</sup>. Mis à part les médicaments contre le cancer, les nouveaux médicaments anti-inflammatoires, notamment les inhibiteurs du facteur de nécrose tumorale et les antirhumatismeaux modificateurs de la maladie (ARMM) synthétiques ciblés<sup>xii</sup>, constituent une autre grande classe de médicaments spécialisés émergents.

## Produits de thérapie génique et cellulaire

Les produits de thérapie génique et cellulaire émergents connaissent une croissance rapide; en effet, on comptait plus de 600 produits du genre à diverses phases de développement en 2022<sup>x</sup>. Selon les prévisions des analyses de marché de GlobalData, la thérapie génique représentera un marché d'une valeur de 25 milliards de dollars par année d'ici 2034<sup>xii</sup>. Parmi les nombreux produits en cours d'évaluation clinique, mentionnons les médicaments destinés à traiter la myopathie de Duchenne (six médicaments en essais de phase III et un médicament en attente d'homologation), l'épidermolyse bulleuse (trois médicaments en phase d'évaluation préclinique, un médicament en essais de phase II et un médicament en attente d'homologation) et la bêta-thalassémie/drépanocytose (dix médicaments en phase d'évaluation préclinique et de découverte)<sup>xiii</sup>.

## Produits biosimilaires émergents

Les produits biosimilaires peuvent offrir aux patients et aux médecins des options de traitement plus abordables, qui peuvent se traduire par des économies et contribuer à la durabilité de la couverture des médicaments. En date de mars 2023, on comptait 51 produits biosimilaires correspondant à 16 produits de référence novateurs approuvés au Canada. À titre de comparaison, le nombre de produits biosimilaires approuvés par la FDA des États-Unis est de 40, et le nombre de produits biosimilaires approuvés par l'EMA, de 69<sup>xiii</sup>. On constate une augmentation des produits biosimilaires émergents à l'échelle mondiale, avec plus de 140 produits faisant l'objet d'essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation, notamment dans de nouveaux domaines thérapeutiques comme les hormones de croissance, l'infertilité, la santé osseuse et l'immunosuppression. En date de mars 2023, huit produits biosimilaires étaient à l'étude par Santé Canada; pour deux de ces produits (l'éculizumab et l'ustékinumab), il s'agit de la première présentation d'un produit biosimilaire pour le produit de référence.

<sup>viii</sup> <https://www.law.utoronto.ca/blog/faculty/pharmaceutical-industry-s-shift-towards-niche-markets-and-personalized-medicine-new>

<sup>ix</sup> Veille des médicaments mis en marché, 6<sup>e</sup> édition

<sup>x, ix</sup> Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022)

<sup>xi, ix</sup> Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022)

<sup>xii</sup> <https://www.ajmc.com/view/biosimilars-orphan-drugs-headline-market-trends-to-watch-in-specialty-drug-pipeline>

<sup>xiii</sup> <https://www.smartbiggar.ca/insights/publication/update-on-biosimilars-in-canada-june-2022>

# L'OBSERVATEUR DES MÉDICAMENTS ÉMERGENTS 2022

Les tableaux ci-après présentent la sélection de nouveaux médicaments candidats pour 2022 (tableau 4), les médicaments conservés des éditions précédentes de l'*Observateur des médicaments émergents* (tableau 5) et les médicaments figurant dans des éditions précédentes qui ont reçu depuis une autorisation de mise en marché (tableau 6).

Les médicaments en essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation sont considérés pour la sélection aux fins d'inclusion dans l'*Observateur des médicaments émergents* (OMÉ) s'ils sont susceptibles d'avoir une incidence sur la pratique clinique future ou sur les dépenses en médicaments au Canada (p. ex. en répondant à un besoin thérapeutique non comblé, en offrant un mécanisme d'action nouveau ou un avantage thérapeutique par rapport aux traitements existants, ou en traitant une affection grave).

## Sélection des nouveaux médicaments candidats

Parmi les 1 257 médicaments émergents en cours d'essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation en 2022, 28 nouveaux médicaments ont été retenus pour être ajoutés à la liste des nouveaux médicaments (tableau 4). De nombreux médicaments candidats sont premiers de leur classe ou offrent des mécanismes nouveaux pour le traitement dans des domaines thérapeutiques précis. Le fait de disposer de renseignements sur d'autres médicaments en cours d'évaluation (c.-à-d. en essais de phase II) peut aider à avoir une meilleure idée de la place que pourraient occuper ces médicaments candidats dans le traitement. Les médicaments en essais de phase II ont été examinés en vue de déceler d'autres médicaments émergents qui présentent la même indication ou le même mécanisme d'action que ceux énumérés dans la liste des nouveaux médicaments de 2022. La description de chaque médicament figurant dans la liste des nouveaux médicaments de 2022 comprend un énoncé indiquant s'il existe des médicaments en cours d'essais de phase II qui présentent la même indication ou le même mécanisme d'action. L'annexe A (tableau A3) fournit des renseignements supplémentaires sur les médicaments en cours d'essais de phase II répertoriés pour les indications ciblées par les médicaments candidats. Il est important de souligner que les médicaments en essais de phase II ne passeront pas tous aux essais de phase III. Selon une analyse de l'industrie, ce sont les programmes cliniques de phase II qui connaissent le taux de réussite le plus faible des phases de développement, avec seulement 30,7 % des médicaments candidats en développement passant à la phase III<sup>1</sup>.

Parmi les nouveaux médicaments présentés dans les rapports précédents, 25 ont été retenus, car ils satisfont toujours aux critères de sélection, et des données récentes continuent d'appuyer d'éventuels bienfaits cliniques prometteurs (tableau 5). Au 30 mars 2023, six des médicaments émergents de 2021 avaient reçu une autorisation de mise en marché aux États-Unis, en Europe ou au Canada (tableau 6), tandis que 11 ont été retirés de la liste parce que les essais cliniques dont ils faisaient l'objet ont été interrompus ou parce qu'ils ne remplissaient plus les critères de sélection.

## Sélection des produits biosimilaires

Les produits biosimilaires sont différents des médicaments candidats émergents, car ce sont des produits dont l'efficacité et l'innocuité sont semblables à celles du médicament biologique d'origine. Toutefois, leur entrée sur le marché peut avoir une incidence considérable sur les dépenses en médicaments dans des domaines thérapeutiques précis. Sur les 21 produits biosimilaires en cours d'essais de phase III répertoriés en 2022, 14 (67 %) seraient, s'ils sont approuvés, les premiers produits biosimilaires commercialisés pour le médicament biologique d'origine correspondant. Parmi les exemples, mentionnons le cétuximab (pour le traitement de certains cancers), le dénosumab (pour le traitement de l'ostéoporose postménopausique), l'éculizumab (pour le traitement de l'hémogloburie paroxystique nocturne), l'ocrélizumab (pour le traitement de la sclérose en plaques récurrente-rémittente), l'omalizumab (pour le traitement de l'urticaire), le romiplostim (pour le traitement du purpura thrombopénique idiopathique), la ténecteplase (pour le traitement de l'infarctus du myocarde) et l'ustékinumab (pour le traitement du psoriasis en plaques).

L'accès à ces produits biosimilaires pourrait avoir une incidence de taille sur les coûts dans un large éventail de domaines thérapeutiques. Il convient de préciser qu'au 30 mars 2023, un produit biosimilaire de l'éculizumab et un produit biosimilaire de l'ustékinumab étaient en cours d'examen par Santé Canada<sup>2</sup>. L'annexe A (tableau A1) fournit une liste des produits biosimilaires en essais cliniques de phase III répertoriés et indique s'il existe actuellement un produit biosimilaire pour le médicament biologique d'origine.

**TABEAU 4**

Nouveaux médicaments sélectionnés en 2022

Critères de sélection			Principaux attributs		
 Innocuité et efficacité accrues	 Nouveau mécanisme	 Thérapie génique ou cellulaire	 Essais cliniques au Canada	 Désignation de médicament rare ou orphelin	 Perpétuation possible
 Découverte	 Processus accéléré	 Examen prioritaire	 Produit biologiques	 Traitement d'appoint	

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<b>SYSTÈME CARDIOVASCULAIRE</b>		
<p><b>Abélacimab</b> Anthos Therapeutics Inc.</p> 	<p>Thrombose veineuse profonde (TVP); embolie pulmonaire; fibrillation auriculaire</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Anticorps monoclonal entièrement humain à double action, administré une fois par mois, ciblant le facteur XI et facteur XIa avec une affinité et une sélectivité élevées<sup>3</sup>.</li> <li>○ Administré par voie sous-cutanée et par voie intraveineuse.</li> <li>○ L'administration d'une seule dose par voie intraveineuse après une arthroplastie totale du genou a été efficace pour prévenir la thrombo-embolie veineuse et était associée à un faible risque d'hémorragie<sup>4</sup>.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les données d'essais cliniques ont démontré que les inhibiteurs du facteur XI comme l'abélacimab sont aussi efficaces que l'énoxaparine et l'apixaban pour prévenir les TVP, mais qu'ils sont associés à une fréquence d'hémorragie nettement inférieure. Comme ils peuvent être administrés chaque jour ou chaque mois, l'intervalle de surveillance peut être plus long<sup>5,6</sup>.</li> <li>○ Deux essais de phase III portant sur les thromboses associées au cancer sont en cours<sup>7,8</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n = 1), mais aucun n'a le même mécanisme d'action que l'abélacimab<sup>9</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<p><b>Aprocitentan</b> Idorsia Pharmaceutical Ltd</p> 	<p>Hypertension réfractaire</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>Antagoniste mixte des récepteurs de l'endothéline (ERA). Il inhibe la liaison de l'endothéline-1 aux récepteurs ETA et ETB. En bloquant l'activation des récepteurs de l'endothéline, il entraîne l'inhibition de l'activité de l'endothéline-1 et cause une vasodilatation.</li> <li>Administré par voie orale.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Le médicament a démontré [traduction] « une tolérabilité et un profil d'innocuité plus favorables dans le cadre des premiers essais cliniques par comparaison à d'autres antagonistes des récepteurs de l'endothéline étudiés<sup>10</sup> ». [Remarque : La voie de l'endothéline a été décrite comme étant impliquée dans la pathogenèse de l'hypertension, mais elle n'est pas ciblée par des médicaments à l'heure actuelle<sup>11</sup>.]</li> <li>L'aprocitentan présente un faible potentiel d'interaction médicamenteuse<sup>12</sup> et peut permettre d'élargir les options de traitement de l'hypertension réfractaire<sup>13</sup>.</li> <li>Une demande de drogue nouvelle a été présentée à la FDA des États-Unis<sup>14</sup>.</li> <li>Un essai clinique de phase III a été retiré<sup>15</sup>, et un autre a été mené à bien<sup>16</sup>.</li> <li>Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n = 3), mais aucun n'a le même mécanisme d'action que l'aprocitentan<sup>17</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 219 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<p><b>Étripamil</b> Milestone Pharmaceuticals Inc. Canada</p> 	<p>Tachycardie paroxystique supraventriculaire (TPSV)</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>Nouvelle voie d'administration intranasale sous forme de vaporisateur nasal.</li> <li>Inhibiteur des canaux calciques à action rapide.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Au cours des essais de phase II, des doses modérées à élevées du médicament ont démontré une efficacité comparable au traitement standard (administré dans un établissement médical). Le temps moyen entre l'administration du médicament et la conversion en rythme sinusal était de trois minutes<sup>18</sup>.</li> <li>Le médicament répond à un besoin médical non comblé puisqu'il n'existe pas de produit pour traiter les patients atteints de TPSV à l'extérieur de l'hôpital à l'heure actuelle. Le seul traitement pharmacologique d'urgence actuellement offert est un traitement (adénosine ou inhibiteurs des canaux calciques) administré par voie intraveineuse dans un milieu hospitalier ou sous surveillance médicale. Un produit auto-administré permettrait d'offrir aux patients atteints de TPSV la possibilité de mettre fin sans danger aux épisodes aigus de TPSV sans avoir à se rendre à l'hôpital et à peut-être être hospitalisés<sup>19</sup>.</li> <li>Une analyse combinant les données de l'essai RAPID et de l'étude NODE-301 a indiqué que le vaporisateur nasal avait permis de réduire considérablement le nombre d'interventions médicales et de visites au service des urgences<sup>20</sup>.</li> <li>Le médicament a le potentiel d'améliorer la qualité de vie de nombreux patients atteints de TPSV, de réduire le fardeau pour le système de santé et de modifier le paradigme de prise en charge actuel<sup>21</sup>.</li> <li>Un essai clinique de phase III a été mené à bien<sup>22</sup> et d'autres sont en cours<sup>23, 24, 25</sup>, dont une étude de prolongation ouverte avec recrutement sur invitation<sup>26</sup>.</li> <li>Aucun médicament en cours d'essais de phase II n'a été trouvé pour cette indication pour le moment<sup>27</sup>.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 470 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<p><b>Obicétrapib</b> NewAmsterdam Pharma BV</p> 	<p>Dyslipidémie; hypercholestérolémie familiale hétérozygote (HFHe); athérosclérose</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Inhibiteur de la protéine de transfert des esters de cholestérol (CETP). Il a pour effet d'augmenter le cholestérol HDL et de réduire le cholestérol LDL.</li> <li>○ Administré par voie orale une fois par jour.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Le médicament a permis de réduire considérablement (jusqu'à 45 %) le taux de cholestérol LDL. Il pourrait devenir le premier inhibiteur de la CETP utilisé comme traitement d'appoint chez les patients qui n'atteignent pas les valeurs cibles de cholestérol LDL recommandées<sup>28</sup>.</li> <li>○ Il a le potentiel d'offrir une option de traitement à faible dose et à prise quotidienne aux personnes qui ont de la difficulté à réduire leurs objectifs de réduction des taux de lipides avec les traitements classiques<sup>29</sup>. Les données obtenues à ce jour démontrent que l'obicétrapib se distingue des inhibiteurs de la CETP précédents et qu'il pourrait venir à bout des problèmes d'innocuité et d'efficacité qui ont, par le passé, limité le potentiel de la classe de médicaments<sup>30</sup>.</li> <li>○ Plusieurs essais de phase III sont en cours<sup>31, 32, 33</sup>.</li> <li>○ D'autres inhibiteurs de la CETP (dalcétrapib, évacétrapib et anacétrapib) ont été étudiés pour cette maladie, mais aucun n'est commercialisé au Canada ou en cours d'examen par Santé Canada.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n = 9), mais aucun n'a le même mécanisme d'action que l'obicétrapib<sup>34</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 222 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<p><b>Sotatercept</b> Accelaron Pharma Inc.</p> 	<p>Hypertension artérielle pulmonaire (HAP)</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Protéine de fusion ActRIIA-Fc (récepteur de l'activine de type IIA et fragment Fc) qui augmente le taux d'hémoglobine et le nombre de globules rouges<sup>35, 36</sup>.</li> <li>○ Administré par voie sous-cutanée et par voie intraveineuse.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Dans l'essai de phase III STELLAR, lorsque le médicament a été ajouté au traitement de fond, il a entraîné un effet cliniquement significatif sur le paramètre d'efficacité primaire, à savoir la mesure de l'amélioration au résultat au test de marche de six minutes à la semaine 24 par rapport au résultat du début de l'étude<sup>37</sup>.</li> <li>○ Malgré quelques obstacles (comme la faible adhésion, attribuable au fait que les cinq premières doses doivent être administrées par voie sous-cutanée tous les 21 jours dans des infrastructures spécialisées, infrastructures dont ne sont pas dotés les centres communautaires), les leaders d'opinion clés sont d'avis que le sotatercept pourrait devenir un traitement de pointe sur le marché des médicaments contre l'HAP en raison de sa grande efficacité et des données cliniques solides à l'appui, et qu'il pourrait constituer, en tant que premier traitement modificateur de la maladie, une avancée considérable pour les patients atteints d'HAP<sup>38</sup>.</li> <li>○ Plusieurs essais de phase III sont en cours<sup>39, 40, 41, 42</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n = 8), mais aucun n'a le même mécanisme d'action que le sotatercept<sup>43</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 1,8 milliard de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<b>SYSTÈME NERVEUX CENTRAL</b>		
<p><b>Évobrutinib</b> Merck KGaA</p> 	<p>Sclérose en plaques récurrente-rémittente (SEP-RR); sclérose en plaques progressive secondaire (SPPS)</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Immunomodulateur sélectif pénétrant dans le système nerveux central (SNC) qui bloque de façon irréversible la tyrosine kinase de Bruton (BTK), supprimant ainsi l'auto-immunité associée à la maladie.</li> <li>○ Administré par voie orale.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Aucune hémorragie n'a été signalée dans les essais cliniques à ce jour (sur la sclérose en plaques [SEP])<sup>44</sup>.</li> <li>○ Certaines données indiquent que le médicament franchit la barrière hémato-encéphalique et pourrait avoir une efficacité supérieure à celle des traitements modificateurs de la maladie actuels pour ce qui est de freiner les processus neuro-inflammatoires chroniques compartimentés dans le SNC qui contribuent à l'aggravation progressive de l'état des personnes atteintes de SEP<sup>45</sup>.</li> <li>○ Le médicament a le potentiel de devenir une option de traitement sûre et hautement efficace pour les patients atteints de SEP-RR, car il lutte à la fois contre les moteurs centraux et contre les moteurs périphériques de l'inflammation par l'inhibition de la BTK. Son approche à double effet pourrait permettre un meilleur contrôle de l'évolution silencieuse de la maladie entre les poussées, de même qu'un excellent contrôle des récurrences chez les personnes atteintes de SEP-RR<sup>46</sup>.</li> <li>○ Deux essais de phase III ont été menés à bien<sup>47,48</sup> et deux autres sont toujours en cours<sup>49,50</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n = 9), mais aucun n'a le même mécanisme d'action que l'évobrutinib<sup>51</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 798 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<p><b>Reldésémiv</b> Cytokinetics Inc.</p> 	<p>Sclérose latérale amyotrophique (SLA)</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Activateur de la troponine des muscles squelettiques rapides qui ralentit la libération de calcium du complexe régulateur des troponines dans les fibres des muscles squelettiques rapides, entraînant une hausse de la contractilité des muscles squelettiques<sup>52,53</sup>.</li> <li>○ Administré par voie orale.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Bien que l'analyse de l'efficacité primaire réalisée dans le cadre d'une étude de phase II n'ait pas permis de démontrer de signification statistique, certaines tendances favorables sont ressorties, dont des tailles d'effet généralement perçues comme étant d'importance cliniques<sup>54,55</sup>.</li> <li>○ Selon des analyses supplémentaires, les personnes dont la durée de la maladie est inférieure et dont la progression de la maladie est modérée ou rapide au début de l'étude sont celles qui pourraient bénéficier le plus du reldésémiv<sup>56,57</sup>.</li> <li>○ Les résultats tendent à indiquer que les patients atteints de SLA qui reçoivent du reldésémiv pourraient être moins susceptibles d'avoir besoin d'équipement médical durable lié à l'altération de la mobilité, de la respiration, de la déglutition ou de l'élocution ou pourraient en avoir besoin plus tard que les patients atteints de SLA qui ne reçoivent pas de reldésémiv; ce besoin qui se présente plus tard cadre avec d'autres mesures indiquant que la progression de la maladie est retardée<sup>58</sup>.</li> <li>○ Des essais de phase III sont en cours<sup>59,60</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n &gt; 10), mais aucun n'a le même mécanisme d'action que le reldésémiv<sup>61</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 215 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<p><b>Soticlestat</b> Takeda Pharmaceutical Co Ltd</p> 	<p>Syndrome de Lennox-Gastaut; syndrome de Dravet (épilepsie myoclonique sévère du nourrisson)</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>Le médicament inhibe l'activité de l'enzyme cholestérol 24-hydroxylase, l'une des enzymes responsables du catabolisme du cholestérol. L'inhibition de l'enzyme fait baisser le taux de 24S-hydroxycholestérol, un métabolite spécifique au cerveau qui module une large variété de récepteurs et de canaux ioniques, dont le récepteur N-méthyl- D-aspartate (NMDA)<sup>62</sup>.</li> <li>Administré par voie orale.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Le médicament peut améliorer les symptômes convulsifs grâce à un mécanisme distinct de celui des médicaments anticonvulsifs classiques<sup>63</sup>.</li> <li>Dans un essai de phase II, le traitement a permis de réduire de façon statistiquement et cliniquement significative soit la fréquence médiane des crises convulsives, soit la fréquence des crises convulsives, par rapport à la fréquence observée au début de l'essai<sup>64</sup>.</li> <li>Des essais de phase III sont en cours<sup>65, 66, 67</sup>.</li> <li>Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n = 2), mais aucun n'a le même mécanisme d'action que le soticlestat<sup>68</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 241 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<p><b>Ulotaront (SEP-363856)</b> Sunovion Pharmaceuticals Inc</p> 	<p>Schizophrénie</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Agoniste des récepteurs de la sérotonine 5-HT<sub>1A</sub> et du récepteur 1 associé aux amines traces (TAAR1).</li> <li>Administré par voie orale.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Dans une étude de phase II, le médicament a apporté une amélioration durable des symptômes négatifs d'anhédonie et d'aboulie chez des patients âgés de 18 à 40 ans atteints de schizophrénie. Chez les patients qui ont participé à l'étude de prolongation ouverte de 26 semaines, on a observé une réduction du score total à l'échelle PANSS (Positive and Negative Syndrome Scale)<sup>69</sup>.</li> <li>Le médicament ne semble pas induire de prise de poids, de problèmes métaboliques ou de symptômes extrapyramidaux associés aux antipsychotiques classiques<sup>70</sup>.</li> <li>Il n'est pas susceptible de poser de risque d'usage récréatif et pourrait avoir une utilité thérapeutique dans le traitement des troubles liés à la consommation de substances<sup>71</sup>.</li> <li>Plusieurs essais de phase III sont en cours<sup>72, 73, 74, 75, 76, 77, 78</sup>.</li> <li>Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n = 9), dont un qui a le même mécanisme d'action que l'ulotaront<sup>79</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 507 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<b>DERMATOLOGIE</b>		
<p><b>Béremagène géperpavec</b> Krystal Biotech Inc.</p> 	<p>Épidermolyse bulleuse</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>Produit de thérapie génique composé d'un vecteur viral non intégratif à réplication déficiente, mis au point pour introduire des gènes humains COL7A1 fonctionnels<sup>80</sup>.</li> <li>Administré sous forme de gel topique.</li> <li>Il n'existe pas de traitement approuvé pour cette maladie grave.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les résultats d'un essai de phase III<sup>81</sup> ont démontré que l'utilisation du produit a permis d'améliorer la cicatrisation avec une bonne tolérabilité sur six mois, 67 % des plaies traitées ayant complètement cicatrisé à six mois, comparativement à 22 % des plaies traitées avec un gel placebo<sup>82, 83</sup>. L'essai était limité par un échantillon relativement petit (n = 31) et par l'utilisation de l'agent sur de petites plaies. Il manque aussi de données à long terme<sup>84</sup>.</li> <li>Un essai ouvert visant à évaluer l'innocuité du produit à long terme est en phase de recrutement<sup>85</sup>.</li> <li>Aucun médicament en cours d'essais de phase II n'a été trouvé pour cette indication pour le moment.</li> <li>Aucun essai clinique canadien ne figure actuellement dans la base de données sur les essais cliniques de Santé Canada.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 613 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>APPAREIL DIGESTIF</b>		
<p><b>Resmétirom</b> Madrigal Pharmaceuticals Inc.</p> 	<p>Stéatohépatite non alcoolique (NASH); stéatose hépatique non alcoolique (NAFLD)</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>Agoniste du récepteur bêta des hormones thyroïdiennes ciblant le foie.</li> <li>Administré par voie orale.</li> <li>Il n'existe pas de traitement spécifique approuvé pour la NASH/NAFLD<sup>86</sup>. De nombreux agents sont en cours d'étude.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Dans une étude de phase II, le médicament a permis d'améliorer de façon marquée la capacité physique fonctionnelle et les scores à l'échelle Sommaire de la composante physique (PCS). Chez les patients présentant une amélioration de la NASH et de la fibrose à la biopsie du foie, on a également observé une amélioration des composantes de la qualité de vie liée à la santé (QVLS)<sup>87</sup>.</li> <li>Les résultats non publiés de l'essai de phase IIIb MAESTRO-NAFLD-1 ont démontré que le médicament semble sûr et bien toléré, et qu'il pourrait apporter des améliorations statistiquement significatives aux principales mesures de la santé hépatique et cardiovasculaire<sup>88</sup>.</li> <li>Plusieurs essais de phase III sont en cours<sup>89, 90, 91, 92</sup>.</li> <li>Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n &gt;10), dont plusieurs ont le même mécanisme d'action que le resmétirom<sup>93</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 1,5 milliard de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<p><b>Séladelpar lysine</b> CymaBay Therapeutics Inc.</p> 	<p>Cholangite biliaire primitive (cirrhose biliaire primitive)</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Agoniste sélectif du récepteur delta activé par les proliférateurs des peroxysomes (PPARd).</li> <li>○ Administré par voie orale.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les options de traitement de la cholangite biliaire primitive sont limitées<sup>94</sup>.</li> <li>○ L'administration d'un traitement à base de séladelpar pendant un an a mené à une amélioration constante du fardeau des symptômes et de la réponse biochimique, ce qui donne à penser que le médicament pourrait être utilisé en monothérapie pour répondre aux principaux besoins non comblés des patients atteints de cholangite biliaire primitive<sup>95, 96</sup>.</li> <li>○ Le médicament semble sûr et bien toléré, et il n'a pas été associé à une augmentation du prurit<sup>97</sup>.</li> <li>○ Un essai de phase III a été mené à bien<sup>98</sup> et d'autres sont en cours<sup>99, 100</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n = 6), mais aucun n'a le même mécanisme d'action que le séladelpar<sup>101</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 704 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>TROUBLES GÉNÉTIQUES</b>		
<p><b>Délandistrogène moxéparovec</b> Sarepta Therapeutics Inc.</p> 	<p>Myopathie de Duchenne</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Gène de micro-dystrophine porté par un vecteur à base de virus adéno-associé recombinant de sérotype 74 (AAV74). Il agit par activation de la dystrophine<sup>102</sup>.</li> <li>○ Administré par voie intramusculaire et par voie intraveineuse.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Selon les résultats cliniques de plus de 80 patients traités, le produit a démontré des résultats positifs à différents moments, notamment un an, deux ans et jusqu'à quatre ans après le traitement, en plus de présenter un profil d'innocuité constant<sup>103</sup>.</li> <li>○ Un essai de phase III est en cours<sup>104</sup>.</li> <li>○ Aucun médicament en cours d'essais de phase II n'a été trouvé pour cette indication pour le moment.</li> <li>○ Aucun essai clinique canadien ne figure actuellement dans la base de données sur les essais cliniques de Santé Canada.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 2,9 milliards de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<p><b>REC-2282</b> Recursion Pharmaceuticals Inc.</p> 	<p>Méningiomes causés par la mutation du gène NF2 (neurofibromatose de type II)</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Pan-inhibiteur des histones désacétylases (HDAC). Il inhibe les protéines histones et non histones.</li> <li>○ Administré par voie orale.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Selon les études menées à ce jour, le médicament semble bien toléré, y compris chez les patients traités pendant plusieurs années<sup>105</sup>.</li> <li>○ Sa biodisponibilité orale, sa capacité de pénétration du SNC et sa toxicité cardiaque potentiellement réduite le différencient des autres inhibiteurs des HDAC (p. ex. vorinostat, romidepsine)<sup>106</sup>.</li> <li>○ Si le médicament donne de bons résultats aux essais de phase III, il pourrait devenir le premier traitement approuvé pour les méningiomes causés par la mutation du gène NF2<sup>107</sup>.</li> <li>○ Un essai de phase II/III est en cours<sup>108</sup>.</li> <li>○ Il y a un autre médicament en cours d'essais de phase II, mais il n'a pas le même mécanisme d'action que le médicament REC-2282<sup>109</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>
IMMUNOLOGIE		
<p><b>Garadacimab</b> CSL Ltd</p> 	<p>Angio-œdème héréditaire (AOH) (déficit en inhibiteur de la C1 estérase [C1INH])</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Anticorps monoclonal recombinant d'immunoglobuline G4 entièrement humain qui interfère avec la coagulation par le facteur XIIIa. En ciblant le facteur XIIIa, il inhibe la cascade de l'AOH à son origine, contrairement aux autres traitements de l'AOH qui ciblent les médiateurs en aval.</li> <li>○ Administré une fois par mois par injection sous-cutanée ou par voie intraveineuse.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Dans une étude de phase III, le médicament a permis de réduire le nombre de poussées sur une période allant jusqu'à six mois et a démontré une innocuité et une tolérabilité favorables<sup>110</sup>.</li> <li>○ Il pourrait devenir le premier traitement transformateur de sa classe pour les personnes atteintes d'AOH<sup>111</sup>.</li> <li>○ Un essai de phase III a été mené à bien<sup>112</sup> et un autre est en cours<sup>113</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n = 3)<sup>114</sup>, mais aucun n'a le même mécanisme d'action que le garadacimab. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<p><b>Omidubicel</b> Gamida Cell Ltd</p> 	<p>Transplantation de cellules souches hématopoïétiques</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>Produit de cellules progénitrices hématopoïétiques en culture d'expansion ex vivo et de cellules lymphoïdes et myéloïdes qui n'ont pas été soumises à une culture d'expansion issues d'une seule unité de sang de cordon ombilical<sup>115</sup>.</li> <li>Administré par perfusion.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>La transplantation de cellules souches avec de l'omidubicel permet d'accélérer la récupération hématopoïétique et de réduire les complications précoces liées à la transplantation en comparaison de la transplantation de cellules souches issues de sang de cordon ombilical classique<sup>116,117</sup>.</li> <li>Les données à un an après transplantation font état de bienfaits cliniques soutenus, comme en témoignent la réduction considérable des complications infectieuses, la diminution de la mortalité non liée à la rechute, l'absence de hausse significative des taux de rechute et l'absence de hausse des taux de maladie du greffon contre l'hôte<sup>118</sup>.</li> <li>Le médicament a le potentiel de devenir le traitement standard pour les patients adultes admissibles à la transplantation de cellules souches prélevées dans le sang de cordon ombilical<sup>119</sup>.</li> <li>Aucun médicament en cours d'essais de phase II n'a été trouvé pour cette indication pour le moment.</li> <li>Aucun essai clinique canadien ne figure actuellement dans la base de données sur les essais cliniques de Santé Canada.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 121 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>MALADIES INFECTIEUSES</b>		
<p><b>Posoleucel</b> AlloVir Inc.</p> 	<p>Infections à herpès virus</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>Traitement allogénique prêt à l'emploi à base de lymphocytes T spécifiques à plusieurs virus.</li> <li>Administré par injection intraveineuse et par perfusion.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Actuellement, il n'existe pas de traitement approuvé pour la plupart des infections virales survenant à la suite de la transplantation de cellules souches. Les traitements standards offrent une efficacité limitée et sont associés à une importante toxicité<sup>120</sup>.</li> <li>Les données d'essais de phase II ont démontré une réduction considérable du taux attendu de maladies ou d'infections virales cliniquement significatives dans la population de patients à risque élevé malgré les forts taux attendus de réactivation virale<sup>121</sup>.</li> <li>Aucun médicament en cours d'essais de phase II n'a été trouvé pour cette indication pour le moment.</li> <li>Des essais de phase III sont en cours<sup>122, 123, 124</sup>.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 1,4 milliard de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<p><b>Zoliflodacine</b> Entasis Therapeutics Holdings Inc.</p> 	<p>Gonorrhée urétrale et cervicale non compliquée</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Premier d'une nouvelle classe : les spiropyrimidinetriones. Inhibiteur de l'ADN gyrase et de la topoisomérase IV qui entraîne l'interruption de la synthèse de l'ADN et, par la suite, la mort cellulaire.</li> <li>○ Administré par voie orale, en une seule dose.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ L'innocuité cardiaque du médicament a été évaluée, et aucun effet cliniquement significatif n'a été observé sur la fréquence cardiaque, les intervalles PR et QRS, la morphologie électrocardiographique ou les paramètres biologiques, ce qui confirme que l'administration d'une seule dose est sûre et bien tolérée<sup>125</sup>.</li> <li>○ Le médicament a un mode unique d'inhibition des topoisomérases bactériennes de type II, avec des sites de liaison dans la gyrase bactérienne qui sont différents de ceux des fluoroquinolones. Il représente [traduction] « un nouveau traitement oral prometteur contre les infections à N. gonorrhoeae résistantes aux médicaments<sup>126</sup> ».</li> <li>○ Un essai de phase III est en cours<sup>127</sup>.</li> <li>○ Aucun médicament en cours d'essais de phase II n'a été trouvé pour cette indication pour le moment.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>
<b>TROUBLES MÉTABOLIQUES</b>		
<p><b>Insuline humaine, voie orale</b> (ORMD-0801) Oramed Pharmaceuticals Inc.</p> 	<p>Diabète de type 2</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Agoniste des récepteurs de l'insuline.</li> <li>○ Administré par voie orale.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Le médicament a le potentiel d'influer considérablement sur le traitement du diabète de type 2.</li> <li>○ Des essais de phase III sont en cours<sup>128, 129, 130</sup>.</li> <li>○ De l'insuline humaine pour inhalation est en cours d'essais de phase II, mais aucune insuline pour administration par voie orale en cours d'essais de phase II n'a été trouvée pour le moment.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 394 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<p><b>Insuline icodec</b> Novo Nordisk AS</p> 	<p>Diabète de type 1 (diabète insulino-dépendant); diabète de type 2</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Analogue de l'insuline basale à action prolongée.</li> <li>○ Administré par voie sous-cutanée une fois par semaine.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Dans un essai clinique de phase II, l'insuline icodec administrée une fois par semaine a permis une régulation sûre et efficace de la glycémie comparativement à l'insuline glargine administrée une fois par jour chez des patients atteints de diabète de type 2<sup>131, 132</sup>.</li> <li>○ Une réduction de la fréquence des injections d'insuline basale pourrait faciliter l'acceptation et le respect du traitement chez les patients atteints de diabète de type 2<sup>133</sup>.</li> <li>○ Plusieurs essais de type III ont été menés à bien<sup>134, 135, 136, 137</sup> et de nombreux autres sont en cours<sup>138, 139, 140, 141, 142</sup>.</li> <li>○ Aucune insuline administrée une fois par semaine en cours d'essais de phase II n'a été trouvée pour le moment.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 973 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<b>ONCOLOGIE</b>		
<p><b>Acétate de rusfertide</b> Protagonist Therapeutics Inc.</p> 	<p>Polycythémie vraie</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Mimétique synthétique de l'hepcidine, une hormone naturelle qui régule l'absorption, la distribution et le stockage du fer, contrôlant ainsi la production de globules rouges par l'organisme.</li> <li>○ Administré chaque semaine sous forme d'injection sous-cutanée.</li> <li>○ Il semblerait que le médicament a [traduction] « une activité, une stabilité et une solubilité plus grandes que l'hormone naturelle<sup>143</sup> ».</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Dans une étude de phase II, le médicament a constitué un traitement efficace pour les patients atteints de polycythémie vraie, lequel s'est traduit par une régulation rapide et durable de l'hématocrite et par une amélioration possible de la qualité de vie en leur permettant d'éviter essentiellement la phlébotomie pendant une période pouvant aller jusqu'à 18 mois<sup>144, 145</sup>.</li> <li>○ Le médicament a le potentiel d'offrir une option de traitement très efficace aux patients atteints de polycythémie vraie et de transformer radicalement la prise en charge de la maladie<sup>146, 147</sup>.</li> <li>○ Un essai de phase III est en cours.<sup>148</sup></li> <li>○ Aucun médicament en cours d'essais de phase II n'a été trouvé pour cette indication pour le moment<sup>149</sup>.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>
<p><b>Bémarituzumab</b> Amgen Inc.</p> 	<p>Adénocarcinome de la jonction œsophago-gastrique; cancer de l'estomac; cancer de la vessie; carcinome de la jonction œsophago-gastrique</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Anticorps monoclonal ciblé mis au point pour empêcher les facteurs de croissance des fibroblastes (FGF) de se lier au récepteur 2b du facteur de croissance des fibroblastes (FGFR2b) et de l'activer, inhibant plusieurs voies de signalisation pro-tumorales en aval et ralentissant potentiellement la progression du cancer.</li> <li>○ Administré par voie intraveineuse.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Dans l'essai de phase II FIGHT, l'ajout du médicament à la chimiothérapie a permis d'allonger la survie sans progression et la survie globale chez les patients atteints d'un cancer de l'estomac ou d'un cancer de la jonction œsophago-gastrique à FGFR2b positif à un stade avancé. Le médicament a aussi été associé à davantage d'effets secondaires, notamment des problèmes oculaires<sup>150</sup>.</li> <li>○ Des essais de phase III sont en cours<sup>151, 152</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n &gt; 10)<sup>153</sup>, dont un qui a un mécanisme d'action semblable à celui du bémarituzumab. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 639 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<p><b>Chlorhydrate d'iberdomide</b> Bristol-Myers Squibb Co.</p> 	<p>Myélome multiple réfractaire; myélome multiple récidivant</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Médicament imide immunomodulateur ciblant la protéine céréblon (CRBN) qui inhibe l'ubiquitination de la protéine CRBN et qui favorise la production de l'interleukine-2 (IL-2) par les lymphocytes T, mais qui inhibe la production d'immunoglobulines par les lymphocytes B.</li> <li>○ Administré par voie orale.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ L'association d'iberdomide et de dexaméthasone était généralement sûre et montrait une activité clinique considérable chez les patients atteints d'un myélome multiple qui avaient reçu des traitements intensifs, y compris chez les patients dont la maladie était réfractaire aux agents immunomodulateurs<sup>154</sup>.</li> <li>○ Des essais de phase III sont en cours<sup>155, 156</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n &gt; 10)<sup>157</sup>, dont deux qui ont un mécanisme d'action semblable à l'iberdomide. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 276 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<p><b>Dichlorhydrate de navitoclax</b> AbbVie Inc.</p> 	<p>Myélofibrose</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Antagoniste d'une sous-famille de la famille des protéines Bcl-2. Il se lie de façon sélective aux protéines anti-apoptotiques Bcl-2, Bcl-w et Bcl-XL, et les empêche de se lier aux protéines pro-apoptotiques Bax et Bak, ce qui pourrait déclencher l'apoptose des cellules tumorales surexprimant Bcl-2 et Bcl-XL.</li> <li>○ Administré par voie orale.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les données cliniques à ce jour, en particulier celles sur l'association synergique du médicament avec les inhibiteurs des Janus kinases 2 (JAK2) classiques, semblent prometteuses pour les personnes dont la maladie a récidivé ou s'est montrée réfractaire aux traitements antérieurs<sup>158</sup>.</li> <li>○ L'ajout du médicament au ruxolitinib chez les patients atteints d'une myélofibrose persistante ou évolutive a entraîné une réduction durable du volume de la rate, ainsi qu'une amélioration du score total des symptômes, de la réponse hémoglobinique et de la fibrose médullaire<sup>159</sup>.</li> <li>○ Des essais de phase III sont en cours<sup>160, 161</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n &gt; 10)<sup>162</sup>, mais aucun n'a le même mécanisme d'action que le navitoclax. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 611 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<p><b>Imételstat sodique</b> Geron Corp</p> 	<p>Syndrome myélodysplasique; myélofibrose secondaire à une thrombocythémie essentielle (MF postTE); myélofibrose secondaire à une polycythémie vraie (MF post-PV)</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Oligonucléotide conjugué à un lipide qui se lie directement, avec une haute affinité, à la région matrice du composant ARN de la télomérase humaine et qui inhibe l'activité enzymatique de la télomérase.</li> <li>○ Administré par perfusion intraveineuse.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Le médicament a démontré des bienfaits cliniques considérables, notamment un solide taux de réponse des symptômes et une possible amélioration de la survie globale, dans le cadre de l'essai IMbark, une étude de phase II menée chez des patients atteints d'une myélofibrose à haut risque ou à risque intermédiaire-2 qui connaissent une rechute après un traitement par un inhibiteur des Janus kinases ou qui y sont réfractaires<sup>163, 164</sup>.</li> <li>○ Des essais de phase III sont en cours<sup>165, 166</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n &gt; 10)<sup>167</sup>, mais aucun n'a le même mécanisme d'action que l'imételstat. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 945 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<p><b>Rélaacorilant</b> Corcept Therapeutics Inc.</p> 	<p>Cancer épithélial de l'ovaire</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Antagoniste sélectif du récepteur des glucocorticoïdes qui cible le récepteur des glucocorticoïdes II (GR-II).</li> <li>○ Administré par voie orale.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les résultats d'une étude de phase II ont démontré une amélioration de la survie sans progression, de la durée de réponse et de la survie globale sans augmentation du fardeau des effets indésirables<sup>168</sup>.</li> <li>○ Comme il n'existe pas de traitement approuvé ni de traitement standard efficace à l'heure actuelle pour les patientes atteintes d'un cancer de l'ovaire qui ont déjà subi des traitements intensifs à base d'un seul agent de chimiothérapie et/ou de bévacizumab, l'administration intermittente de rélaacorilant et de nab-paclitaxel pourrait entraîner une amélioration considérable sans augmentation de la toxicité comparativement à l'administration de nab-paclitaxel seul<sup>169</sup>.</li> <li>○ Si l'essai de phase III confirme ces résultats, [traduction] « l'association de rélaacorilant et de nab-paclitaxel a le potentiel de devenir le nouveau traitement standard<sup>170</sup> ».</li> <li>○ L'essai de phase III chez des patientes atteintes d'un cancer de l'ovaire est en cours<sup>171</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n &gt; 10)<sup>172</sup>, mais aucun n'a le même mécanisme d'action que le rélaacorilant. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 455 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Description et principaux attributs
<p><b>Zolbétuximab</b> Astellas Pharma Inc.</p> 	<p>Adénocarcinome de la jonction œsophago-gastrique; cancer de l'estomac</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Anticorps monoclonal qui cible la claudine 18.2 (CLDN18.2, une protéine transmembranaire) et se lie à elle.</li> <li>○ Administré par perfusion intraveineuse.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Le médicament a permis d'obtenir des résultats positifs avec peu d'événements indésirables de grade élevé; par conséquent, il a le potentiel de devenir un nouveau traitement efficace<sup>173</sup>.</li> <li>○ La claudine 18.2 (CLDN 18.2) est surexprimée dans au moins le tiers des adénocarcinomes de la jonction œsophago-gastrique. L'association du zolbétuximab et de la chimiothérapie permet une amélioration de la survie, corrélée avec l'intensité de l'expression de la CLDN 18.2<sup>174</sup>.</li> <li>○ Les résultats d'un essai de phase III ont démontré que le traitement à base de zolbétuximab et de FOLFOX6m permettait une amélioration significative de la survie sans progression et de la survie globale<sup>175</sup>.</li> <li>○ Des essais de phase III sont en cours<sup>176, 177</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II (n &gt; 10)<sup>178</sup>, dont deux qui ont un mécanisme d'action semblable à celui du zolbétuximab. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 622 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>OPHTALMOLOGIE</b>		
<p><b>Lénadogène nolparavec</b> GenSight Biologics SA</p> 	<p>Neuropathie optique héréditaire de Leber (atrophie optique de Leber)</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Vecteur à base de virus adéno-associé recombinant de sérotype 2 (AAV2) contenant le gène mitochondrial humain de type sauvage ND4 (vecteur rAAV2-ND4).</li> <li>○ Administré par voie intravitréenne.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ La neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) reste une maladie qui constitue un besoin médical important non comblé<sup>179</sup>.</li> <li>○ La capacité du médicament à améliorer avec efficacité l'acuité visuelle chez les patients atteints de NOHL a été confirmée au sein d'une vaste cohorte de patients traités unilatéralement<sup>180, 181, 182</sup>, par comparaison au déclin spontané selon l'évolution naturelle de la maladie<sup>183, 184</sup>.</li> <li>○ Le médicament présente un bon profil d'innocuité général et une excellente tolérabilité systémique, ce qui est compatible avec une biodistribution limitée<sup>185</sup>.</li> <li>○ On ne sait pas encore si l'injection bilatérale pourrait offrir des bienfaits supplémentaires comparativement à l'injection unilatérale. La FDA a demandé à l'entreprise de mener une étude supplémentaire<sup>186</sup>.</li> <li>○ Aucun médicament en cours d'essais de phase II n'a été trouvé pour cette indication pour le moment.</li> <li>○ Aucun essai clinique canadien ne figure actuellement dans la base de données sur les essais cliniques de Santé Canada.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>

\* Les prévisions consensuelles utilisées pour les données sur les revenus mondiaux ont été recueillies auprès de GlobalData (T4 de 2022) et sont présentées en dollars américains.

Source des données : Base de données GlobalData Healthcare.

**TABEAU 5**

Mise à jour sur les médicaments émergents conservés de l'édition 2021 de l'*Observateur des médicaments émergents*

Critères de sélection			Principaux attributs	
 <b>Innocuité et efficacité accrues</b>	 <b>Nouveau mécanisme</b>	 <b>Thérapie génique ou cellulaire</b>	 <b>Essais cliniques au Canada</b>	 <b>Désignation de médicament rare ou orphelin</b>
 <b>Découverte</b>	 <b>Processus accéléré</b>	 <b>Examen prioritaire</b>	 <b>Produit biologique</b>	 <b>Traitement d'appoint</b>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Mise à jour
<b>SYSTÈME CARDIOVASCULAIRE</b>		
<b>Apabétalone</b> Resverlogix Corp. 	Coronaropathie (cardiopathie ischémique)	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les résultats positifs provenant de l'essai de phase III ont été publiés<sup>187</sup>. Il n'y a pas d'information disponible pour le moment qui permettrait de confirmer qu'une demande a été présentée.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>
<b>CSL112</b> CSL Ltd 	Syndrome coronarien aigu (SCA)	<b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>L'essai de phase III est toujours en cours; il devrait être achevé en décembre 2023<sup>188</sup>.</li> <li>Selon le Memorial Care Heart and Vascular Institute, qui participe à l'essai de phase III, [traduction] « ce traitement par perfusion change la donne, parce que nous sommes capables d'administrer un traitement potentiellement salvateur par voie intraveineuse directement dans le sang peu après la survenue d'un événement cardiaque, ce qui nous permet d'éliminer le blocage à l'origine de la crise cardiaque<sup>189</sup> ».</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>
<b>SYSTÈME NERVEUX CENTRAL</b>		
<b>Latozinémab (anciennement AL-001)</b> Alector Inc. 	Démence frontotemporale (DFT)	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>L'essai de phase III est toujours en cours; il devrait être achevé en décembre 2023<sup>190</sup>.</li> <li>Revenus prévus</li> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 333 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Mise à jour
<b>Midomafétamine (MDMA)</b> Multidisciplinary Association for Psychedelic Studies 	Trouble de stress post-traumatique (TSPT)	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Selon un article de synthèse, la psychothérapie assistée par la MDMA serait un traitement efficace pour les patients atteints de TSPT, et le médicament présenterait un profil d'innocuité raisonnable<sup>191</sup>.</li> <li>Un autre essai de phase III a été mené à bien<sup>192</sup>; l'autre essai de phase III est en phase de recrutement par invitation jusqu'en mars 2023<sup>193</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 75 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>ND-0612</b> <b>(lévodopa-carbidopa pour perfusion sous-cutanée)</b> Mitsubishi Tanabe Pharma Corp. 	Maladie de Parkinson (MP)	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>L'essai de phase III est toujours en cours; il devrait être achevé en octobre 2023<sup>194</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>
<b>Valiltramiprosate</b> <b>(anciennement ALZ-801)</b> Alzheon Inc. 	Maladie d'Alzheimer (MA)	<b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>L'essai de phase III est toujours en cours; il devrait être achevé en juillet 2024<sup>195</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>
<b>APPAREIL DIGESTIF</b>		
<b>Brazikumab</b> AstraZeneca Plc 	Maladie de Crohn (entérite régionale)	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les essais de phase III sont toujours en cours<sup>196, 197</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 377 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>RBX-2660</b> Rebiotix Inc. 	Infections à <i>Clostridium difficile</i> (maladies associées à <i>C. difficile</i> )	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Un essai de phase III a été mené à bien<sup>198</sup>, et les résultats ont été publiés<sup>199</sup>. Selon ces résultats, [traduction] « le médicament RBX2660 est un traitement sûr et efficace permettant de réduire les infections récurrentes à <i>C. difficile</i> à la suite d'une antibiothérapie standard, et il présente une réponse durable sur 6 mois. Il s'agit du premier produit biothérapeutique vivant basé sur le microbiote à démontrer son efficacité dès la première récurrence d'infection à <i>C. difficile</i><sup>200</sup> ».</li> <li>Un autre essai de phase III est toujours en cours; il devrait être achevé en septembre 2023<sup>201</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Mise à jour
<b>SYSTÈME GÉNITO-URINAIRE ET HORMONES SEXUELLES</b>		
<b>Mésylate de gépotidacine</b> GlaxoSmithKline PLC 	Cystite; infections urinaires	<b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Le recrutement dans le cadre des essais pivots de phase III a pris fin rapidement pour le volet efficacité compte tenu d'une recommandation formulée par l'Independent Data Monitoring Committee<sup>202, 203</sup>. Cette décision est fondée sur les résultats d'une analyse provisoire prédéterminée des données sur l'efficacité et l'innocuité chez plus de 3 000 patients dans tous les essais. Le recrutement pour les essais EAGLE-2 et 3 est maintenant terminé, et les dernières visites d'étude et la collecte des données devraient avoir lieu lors du premier trimestre de 2023<sup>204, 205</sup>.</li> <li>L'entreprise prévoit présenter les documents réglementaires à la FDA des États-Unis au cours du premier semestre de 2023<sup>206</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 376 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>TROUBLES HÉMATOLOGIQUES</b>		
<b>Bentracimab</b> PhaseBio Pharmaceuticals Inc. 	Troubles du saignement et de la coagulation	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les résultats provisoires de l'essai de phase III sont positifs<sup>207</sup>.</li> <li>L'entreprise prévoit soumettre une demande d'homologation de produit biologique à la FDA des États-Unis vers la fin 2022<sup>208</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 436 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>Danicopan</b> Alexion Pharmaceuticals Inc. 	Hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN)	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Une analyse provisoire des données issues de l'essai de phase III a démontré des résultats généraux positifs chez les patients atteints d'HPN qui présentent une hémolyse extravasculaire cliniquement significative<sup>209</sup>.</li> <li>L'essai de phase III est toujours en cours; il devrait être achevé en décembre 2023<sup>210</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 109 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>Fidanacogène élaparvovec</b> Pfizer Inc. 	Hémophilie B (déficit en facteur IX)	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>La FDA des États-Unis a accepté une demande d'homologation de produit biologique en octobre 2022; une décision est attendue d'ici juin 2023<sup>211</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 364 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Mise à jour
<b>Fitusiran</b> Sanofi 	Hémophilie A; hémophilie B	 <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les résultats d'un essai de phase III sont positifs<sup>212</sup>. Une étude approfondie menée selon un protocole modifié prévoyant des doses réduites et une administration moins fréquente (tous les deux mois) est en cours<sup>213</sup>.</li> <li>Un essai de phase III à long terme est en cours jusqu'en octobre 2026<sup>214</sup>.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 415 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>TROUBLES HORMONAUX</b>		
<b>Palopegtériparatide</b> (TransCon PTH) Ascendis Pharma AS 	Hypoparathyroïdie	 <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les résultats de l'essai de phase III ont été publiés<sup>215</sup>.</li> <li>Une demande de drogue nouvelle a été présentée à la FDA des États-Unis et a reçu la désignation « Examen prioritaire »<sup>216</sup>.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 1,1 milliard de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>MALADIES INFECTIEUSES</b>		
<b>V-7</b> Immunitor Inc. 	Tuberculose (TB)	 <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Rien de nouveau à signaler.</li> <li>Il s'agit de l'un des nombreux médicaments émergents contre la tuberculose<sup>217</sup>.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>
<b>SANTÉ DES HOMMES</b>		
<b>Triflutate de fexapotide</b> Nymox Pharmaceutical Corp. 	Hypertrophie bénigne de la prostate (HBP)	 <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Une demande de drogue nouvelle a été présentée à la FDA des États-Unis<sup>218</sup>.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>
<b>TROUBLES MÉTABOLIQUES</b>		
<b>Birtamimab</b> Prothena Corp Plc 	Amylose systémique primaire	 <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les résultats de l'essai de phase III (AFFIRM-AL) vont être présentés<sup>219</sup>.</li> <li>L'essai de phase III est en cours; il devrait être achevé en juin 2024<sup>220</sup>.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 193 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Mise à jour
<b>Donislecel</b> (Lantidra) CellTrans Inc. 	Diabète de type 1 (DT1; diabète juvénile)	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Une demande d'homologation de produit biologique a été présentée à la FDA des États-Unis. À la question « Le donislecel administré par voie intraportale a-t-il un profil risques-avantages global favorable pour certains patients atteints de diabète de type 1? », les membres du comité consultatif de la FDA ont été douze à répondre « oui » et quatre à répondre « non » (une abstention)<sup>221</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>
<b>Pégunigalsidase alfa</b> Chiesi Farmaceutici SpA 	Maladie de Fabry	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>L'entreprise a rencontré les représentants de la FDA des États-Unis pour discuter des problèmes liés à la demande antérieure<sup>222</sup>, et elle a de nouveau transmis ses données<sup>223</sup>. Une demande est également en cours d'examen par l'EMA<sup>224</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>
<b>ONCOLOGIE</b>		
<b>Arfollitoxine</b> Isofol Medical AB 	Cancer colorectal métastatique	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>L'essai de phase III est toujours en cours; il devrait être achevé en janvier 2023<sup>225</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>
<b>SGX-301</b> (hypéricine synthétique) (HyBryte) Soligenix Inc. 	Lymphome T cutané (LTC)	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>L'essai de phase III a été mené à bien<sup>226</sup>, et les résultats ont été publiés<sup>227</sup>.</li> <li>L'entreprise a présenté une demande de drogue nouvelle; la FDA des États-Unis a émis une lettre de refus au motif que les données étaient insuffisantes pour permettre un examen approfondi<sup>228</sup>. L'entreprise prévoit rencontrer les représentants de la FDA.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 8 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>Ipatasertib</b> Genentech, Inc. 	Cancer de la prostate métastatique hormono-résistant (résistant à la castration, androgéno-indépendant)	 <b>Essais cliniques</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Un essai de phase III est toujours en cours; il devrait être achevé en octobre 2023<sup>229</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 424 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Mise à jour
<b>Motixafortide</b> (BL-8040; Aphexda) BioLineRx Ltd  	Myélome multiple (maladie de Kahler)	 <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ L'essai de phase III (GENESIS) a été mené à bien. Les résultats ont démontré que, chez près de 90 % des patients, il a été possible de prélever un nombre optimal de cellules pour transplantation à la suite d'une seule administration et d'une seule séance d'aphérèse<sup>230</sup>.</li> <li>○ Une demande de drogue nouvelle a été présentée à la FDA des États-Unis<sup>231</sup>.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 70 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>OPHTALMOLOGIE</b>		
<b>Avacincaptad pégol sodique</b> (Zimura) Iveric Bio Inc.  	Atrophie géographique	 <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ L'essai de phase III est toujours en cours; il devrait être achevé en juillet 2023<sup>232</sup>.</li> <li>○ L'entreprise a présenté une demande de drogue nouvelle à la FDA des États-Unis, qui l'a acceptée aux fins d'examen<sup>233</sup>.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 1,5 milliard de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>SANTÉ DES FEMMES</b>		
<b>Fézolinétant</b> Astellas Pharma Inc.  	Symptômes vasomoteurs de la ménopause (bouffées de chaleur)	 <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ L'entreprise a présenté une demande de drogue nouvelle à la FDA des États-Unis. La date cible d'examen était le 22 février 2023<sup>234</sup>. [Remarque : Les résultats d'un essai de phase III mené en Asie ne respectaient pas les critères de signification statistique<sup>235</sup>, ce qui pourrait avoir une incidence sur l'examen par la FDA.]</li> <li>○ La date de fin de l'examen par la FDA, qui avait été fixée au 22 février 2023, a été repoussée de trois mois<sup>236</sup>.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 1,8 milliard de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

\* Les prévisions consensuelles utilisées pour les données sur les revenus mondiaux ont été recueillies auprès de GlobalData (T4 de 2022) et sont présentées en dollars américains.

Source des données : Base de données GlobalData Healthcare.

**TABEAU 6**

Médicaments émergents de l'édition 2021 de l'*Observateur des médicaments émergents* ayant reçu une autorisation de mise en marché

Critères de sélection			Principaux attributs	
 <b>Innocuité et efficacité accrues</b>	 <b>Nouveau mécanisme</b>	 <b>Thérapie génique ou cellulaire</b>	 <b>Essais cliniques au Canada</b>	 <b>Désignation de médicament rare ou orphelin</b>
 <b>Découverte</b>	 <b>Processus accéléré</b>	 <b>Examen prioritaire</b>	 <b>Produit biologique</b>	 <b>Traitement d'appoint</b>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Statut d'approbation et principaux attributs
<b>SYSTÈME NERVEUX CENTRAL</b>		
<b>Lécanemab</b> (Leqembi) Eisai Co Ltd 	Maladie d'Alzheimer (MA)	 <b>Approbation</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Approuvé par la FDA des États-Unis (Leqembi; 6 janvier 2023)<sup>237</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 4,7 milliards de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>Ublituximab</b> (Briumvi) TG Therapeutics, Inc.; LFB S.A. 	Sclérose en plaques récurrente-rémittente (SEP-RR)	 <b>Approbation</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Approuvé par la FDA des États-Unis (Briumvi; 28 décembre 2022)<sup>238</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 826 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>TROUBLES HÉMATOLOGIQUES</b>		
<b>Étranacogène dezaparavec</b> (Hemgenix) CSL Ltd 	Hémophilie B (déficit en facteur IX)	 <b>Approbation</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Approuvé par la FDA des États-Unis (Hemgenix; 22 novembre 2022)<sup>239</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 386 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication	Statut d'approbation et principaux attributs
<b>MALADIES INFECTIEUSES</b>		
<b>Otéséconazole</b> (Vivjoa) Mycovia Pharmaceuticals Inc. 	Candidose vulvovaginale (CVV) récidivante	 <b>Approbation</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Approuvé par la FDA des États-Unis (Vivjoa; 26 avril 2022)<sup>240</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>
<b>TROUBLES MÉTABOLIQUES</b>		
<b>Téplizumab</b> (Tziel) Prevention Bio Inc. et Sanofi 	Diabète de type 1 (DT1; diabète juvénile)	 <b>Approbation</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Approuvé par la FDA des États-Unis (Tziel; 17 novembre 2022)<sup>241</sup>.</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 604 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>ONCOLOGIE</b>		
<b>Élacestrant</b> (Orserdu) Stemline Therapeutics, Inc. 	Cancer du sein négatif pour le récepteur 2 du facteur de croissance épidermique humain (cancer du sein HER2-); cancer du sein métastatique	<b>Approbation</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Approuvé par la FDA des États-Unis (Orserdu; 27 janvier 2023)<sup>242</sup>. [Remarque : L'entreprise américaine figure sous le nom de Stemline Therapeutics, Inc.]</li> </ul> <b>Revenus prévus</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 57 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

\* Les prévisions consensuelles utilisées pour les données sur les revenus mondiaux ont été recueillies auprès de GlobalData (T4 de 2022) et sont présentées en dollars américains.  
Source des données : Base de données GlobalData Healthcare.

## PLEINS FEUX SUR LE CANADA

Cette section comprend une liste de certains médicaments en cours d'examen par Santé Canada qui pourraient avoir une incidence importante sur la pratique clinique future et sur les dépenses en médicaments. Les médicaments figurant dans cette liste peuvent être nouveaux au Canada, mais avoir été approuvés dans d'autres pays.

Les produits biosimilaires sont inclus dans les listes des PCE de Santé Canada. Bien qu'ils n'offrent pas une innocuité et une efficacité accrues, leur accessibilité pourrait avoir une incidence sur les dépenses en médicaments. En date de septembre 2022, les produits biosimilaires en cours d'examen étaient les suivants : aflibercept, bévacizumab, éculizumab, énoxaparine, pegfilgrastim et trastuzumab. À ce jour, il n'y a pas de produits biosimilaires pour l'aflibercept ou l'éculizumab. Leur accessibilité pourrait avoir une incidence sur les dépenses réservées à l'utilisation de ces traitements dans les budgets de médicaments. L'annexe A (tableau A2) contient la liste des produits biosimilaires faisant actuellement l'objet d'un examen par Santé Canada.

Le tableau 7 présente cinq nouveaux médicaments actuellement inscrits sur les listes des PCE de Santé Canada qui ont un nouveau mécanisme d'action ou dont l'innocuité et l'efficacité ont été améliorées dans le cadre d'essais cliniques. Sur les quatre médicaments figurant dans l'édition 2021, tous ont depuis reçu une autorisation de mise en marché de Santé Canada.

Les listes des PCE constituent un ensemble de documents accessibles au public énumérant les présentations de produits pharmaceutiques et biologiques qui contiennent de nouveaux ingrédients médicinaux et qui ont été acceptés pour examen au Canada.

**TABEAU 7**

Nouveaux médicaments sélectionnés en cours d'examen par Santé Canada, 2022

Critères de sélection		
 Innocuité et efficacité accrues	 Nouveau mécanisme	 Thérapie génique ou cellulaire

Principaux attributs						
 Découverte	 Processus accéléré	 Examen prioritaire	 Essais cliniques au Canada	 Désignation de médicament rare ou orphelin	 Produit biologique	 Traitement d'appoint

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication <sup>†</sup>	Description et principaux attributs
<b>SYSTÈME NERVEUX CENTRAL</b>		
<b>Mésylate de masitinib</b> AB Science S.A. 	Sclérose latérale amyotrophique (SLA)	<div style="display: flex; align-items: center; gap: 10px;"> <span></span> <span></span> </div> <ul style="list-style-type: none"> <li><span style="color: #0070C0;">○</span> Inhibiteur sélectif de la tyrosine kinase.</li> <li><span style="color: #0070C0;">○</span> Administré par voie orale, en association avec le riluzole.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li><span style="color: #0070C0;">○</span> Dans une analyse de la survie de patients déjà répartis de façon aléatoire en vue d'une étude de phase III, on a constaté que le médicament prolongeait la survie de plus de deux ans, comparativement au placebo, chez les patients qui avaient commencé à être traités avant qu'il y ait une détérioration grave des capacités fonctionnelles<sup>243</sup>.</li> <li><span style="color: #0070C0;">○</span> Une demande d'autorisation conditionnelle a été présentée à l'EMA<sup>244</sup>. [Remarque : En 2018, l'EMA a refusé une demande d'autorisation pour la SLA (Alsitek; 18 avril 2018<sup>245</sup>), mais, selon les renseignements transmis par le fabricant, les problèmes cernés à l'époque par l'EMA ont été réglés.]</li> <li><span style="color: #0070C0;">○</span> Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II pour cette indication, mais aucun n'a le même mécanisme d'action que le masitinib<sup>246</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li><span style="color: #0070C0;">○</span> Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication <sup>†</sup>	Description et principaux attributs
<b>TROUBLES HÉMATOLOGIQUES</b>		
<p><b>Concizumab</b> Novo Nordisk Canada Inc.</p> 	Hémophilie B	 <ul style="list-style-type: none"> <li>Anticorps IgG4 monoclonal humanisé dirigé contre le domaine Kunitz-2 de l'inhibiteur de la voie du facteur tissulaire (TFPI)<sup>247</sup>.</li> <li>Administré une fois par jour, par voie sous-cutanée, sous forme de traitement prophylactique (traitement régulier visant à prévenir les saignements spontanés et prolongés) de l'hémophilie<sup>248</sup>.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les résultats de l'essai de phase III ont révélé une réduction de 86 % des saignements spontanés et traumatiques chez les patients traités par concizumab en prophylaxie, avec un taux de saignement annualisé moyen estimé de 1,7 comparativement à un taux de 11,8 sans prophylaxie<sup>249</sup>.</li> <li>Le médicament offre aux personnes atteintes d'hémophilie la possibilité de bénéficier d'une protection quotidienne et constitue un ajout potentiel important, en particulier pour la population atteinte d'hémophilie B avec inhibiteur, pour qui les options de traitement sont limitées à l'heure actuelle<sup>250</sup>.</li> <li>Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II pour cette indication, mais aucun n'a le même mécanisme d'action que le concizumab<sup>251</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 177 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<b>IMMUNOLOGIE</b>		
<p><b>Spésolimab</b> Boehringer Ingelheim (Canada) Ltée</p> 	Psoriasis pustuleux généralisé (PPG)	 <ul style="list-style-type: none"> <li>Anticorps monoclonal humanisé qui agit comme antagoniste du récepteur de l'interleukine-36 (IL-36R).</li> <li>Administré par voie intraveineuse.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Dans un essai clinique pivot de 12 semaines, le médicament s'est rapidement avéré efficace, soit dans la semaine suivant la première perfusion par intraveineuse, chez la majorité des patients atteints de psoriasis pustuleux généralisé<sup>252, 253</sup>.</li> <li>Le psoriasis pustuleux généralisé (PPG) est une maladie rare qui peut mettre en jeu le pronostic vital. Il n'existe pas d'options de traitement approuvées pour les poussées de PPG<sup>254, 255, 256</sup>.</li> <li>Approuvé par la FDA des États-Unis (SPEVIGO; 1<sup>er</sup> septembre 2022)<sup>257</sup> et approbation conditionnelle accordée par l'EMA (Spevigo; 13 octobre 2022)<sup>258</sup>.</li> <li>Aucun médicament en cours d'essais de phase II n'a été trouvé pour le moment<sup>259</sup>.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Revenus mondiaux annuels prévus inconnus.</li> </ul>

Médicament (Nom commercial) Entreprise	Indication <sup>†</sup>	Description et principaux attributs
<p><b>Ciltacabtagène autoleucel</b> (Carvykti) Janssen Inc.</p> 	<p>Myélome multiple en rechute ou réfractaire</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Santé Canada a approuvé le médicament, mais celui-ci n'était pas encore commercialisé en date du 9 février 2023.</li> <li>○ Thérapie par lymphocytes T à récepteur antigénique chimérique (CAR) qui cible l'antigène de maturation des lymphocytes B (BCMA) à la surface des cellules cancéreuses qui composent les tumeurs malignes associées aux lymphocytes B, comme le myélome multiple<sup>260</sup>.</li> <li>○ Administré par voie intraveineuse.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Dans le cadre d'un essai principal, une seule perfusion s'est révélée efficace pour éliminer les cellules cancéreuses chez les patients atteints d'un myélome multiple en rechute pour qui les trois traitements antérieurs (minimum) n'avaient pas eu d'effet. Après un an et demi, environ 84 % des patients (95 sur 113) présentaient une bonne réponse au traitement et, dans 69 % des cas (78 sur 113), les signes du cancer avaient disparu (réponse complète). Le médicament n'a pas été comparé à un autre traitement dans le cadre de l'étude. Ces résultats étaient meilleurs que ceux constatés dans d'autres études menées auprès de patients recevant des traitements standards contre le myélome multiple<sup>261</sup>.</li> <li>○ De façon générale, le médicament a eu des résultats supérieurs à l'idécabtagène vicleucel (Abecma) en matière d'efficacité contre le myélome multiple, mais les événements indésirables étaient comparables.<sup>262</sup></li> <li>○ Le médicament présentait une efficacité supérieure au traitement de choix des médecins, ce qui en fait une nouvelle option de traitement prometteuse pour les patients atteints d'un myélome multiple en rechute ou réfractaire qui ont été traités avec les trois principales classes de médicaments<sup>263</sup>.</li> <li>○ Approuvé par la FDA des États-Unis (Carvykti; 28 février 2022)<sup>264</sup> et par l'EMA (Carvykti; 17 juin 2022)<sup>265</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres produits de thérapie génique en cours d'essais de phase II pour cette indication<sup>266</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 4,8 milliards de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>
<p><b>Glofitamab</b> Hoffmann-La Roche Limitée</p> 	<p>Lymphome diffus à grandes cellules B</p>	 <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Anticorps bispécifique anti-CD20-CD3 de type IgG pleine longueur qui présente une configuration 2:1 unique, une demi-vie prolongée et une liaison supérieure à la protéine CD20<sup>267</sup>.</li> <li>○ Administré par voie intraveineuse.</li> </ul> <p><b>Essais cliniques</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ L'administration de glofitamab pour une durée fixe (et non jusqu'à la progression de la maladie) a produit un taux de réponse objective et un taux de rémission complète remarquables chez les patients atteints d'un lymphome à grandes cellules B hautement réfractaire qui ont subi des traitements intensifs<sup>268, 269</sup>.</li> <li>○ Le médicament semble être [traduction] « un ajout bienvenu aux options de traitement offertes aux patients atteints d'un lymphome à cellules B qui, autrement, disposeraient d'options de traitement limitées<sup>270</sup> ».</li> <li>○ En cours d'examen par l'EMA<sup>271</sup>.</li> <li>○ Il y a d'autres médicaments en cours d'essais de phase II pour cette indication, mais aucun n'a le même mécanisme d'action que le glofitamab<sup>272</sup>. Consulter l'annexe A pour plus de détails.</li> </ul> <p><b>Revenus prévus</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Les revenus mondiaux annuels devraient totaliser 634 millions de dollars d'ici 2028*.</li> </ul>

\* Les prévisions consensuelles utilisées pour les données sur les revenus mondiaux ont été recueillies auprès de GlobalData (T4 de 2022) et sont présentées en dollars américains.

<sup>†</sup> Les listes des présentations de médicaments et de produits de santé en cours d'examen (PCE) de Santé Canada précisent le domaine thérapeutique du médicament en cours d'examen, mais pas l'indication. L'indication présentée au tableau 7 est fondée sur les renseignements sur le médicament issus de la littérature ou des approbations accordées dans d'autres pays. Dans certains cas, lorsque le médicament a fait l'objet d'un examen harmonisé, l'indication a été vérifiée dans le rapport d'examen en vue du remboursement de l'ACMIS.

Source des données : Base de données GlobalData Healthcare.

# TRAITEMENTS ÉMERGENTS CONTRE LA COVID-19

Cette section de l'OMÉ comprend un aperçu des médicaments émergents, nouveaux et existants, qui sont en cours d'évaluation clinique pour des indications liées à la prévention et au traitement de la COVID-19. Une analyse des marchés mondiaux fournit de l'information sur les médicaments contre la COVID-19 à toutes les phases des essais cliniques ou en attente d'homologation.

## Marchés mondiaux

Le marché des médicaments émergents contre la COVID-19 s'est développé à un rythme sans précédent au cours des trois dernières années. Les données publiées visant à confirmer l'innocuité et l'efficacité des divers traitements contre la COVID-19 évoluent constamment.

En plus de la grande variété de vaccins en cours de mise au point, de nombreux médicaments nouveaux et repositionnés sont actuellement évalués dans le cadre d'essais cliniques pour voir s'ils pourraient être bénéfiques dans le traitement de la COVID-19. Ces médicaments comprennent des antiviraux, des anticorps monoclonaux, des peptides synthétiques et des produits de thérapie cellulaire<sup>273</sup>.

La figure 5 présente une ventilation des vaccins et des traitements émergents contre la COVID-19 en fonction de la phase d'évaluation clinique. Pour cet aperçu, on a extrait les données sur les médicaments indiqués dans le traitement de la COVID-19 en cours d'essais de phase I, II ou III, ou en attente d'homologation. Ces médicaments ont été regroupés dans trois catégories : les vaccins, qui sont utilisés pour prévenir l'infection causée par le nouveau coronavirus; les traitements (nouveaux médicaments), qui sont de nouveaux médicaments utilisés pour la prévention ou la réduction de certaines des complications associées à la COVID-19 (p. ex. pneumonie, complications respiratoires et hyperinflammation); et les traitements (médicaments existants), qui sont des médicaments déjà commercialisés repositionnés en vue de traiter la COVID-19 ou ses symptômes.

## Aperçu

Le marché des médicaments émergents contre la COVID-19 continue de prendre de l'ampleur, de nombreuses études cliniques étant menées sur les médicaments nouveaux et existants. Voici certaines des avancées les plus importantes de 2022 :

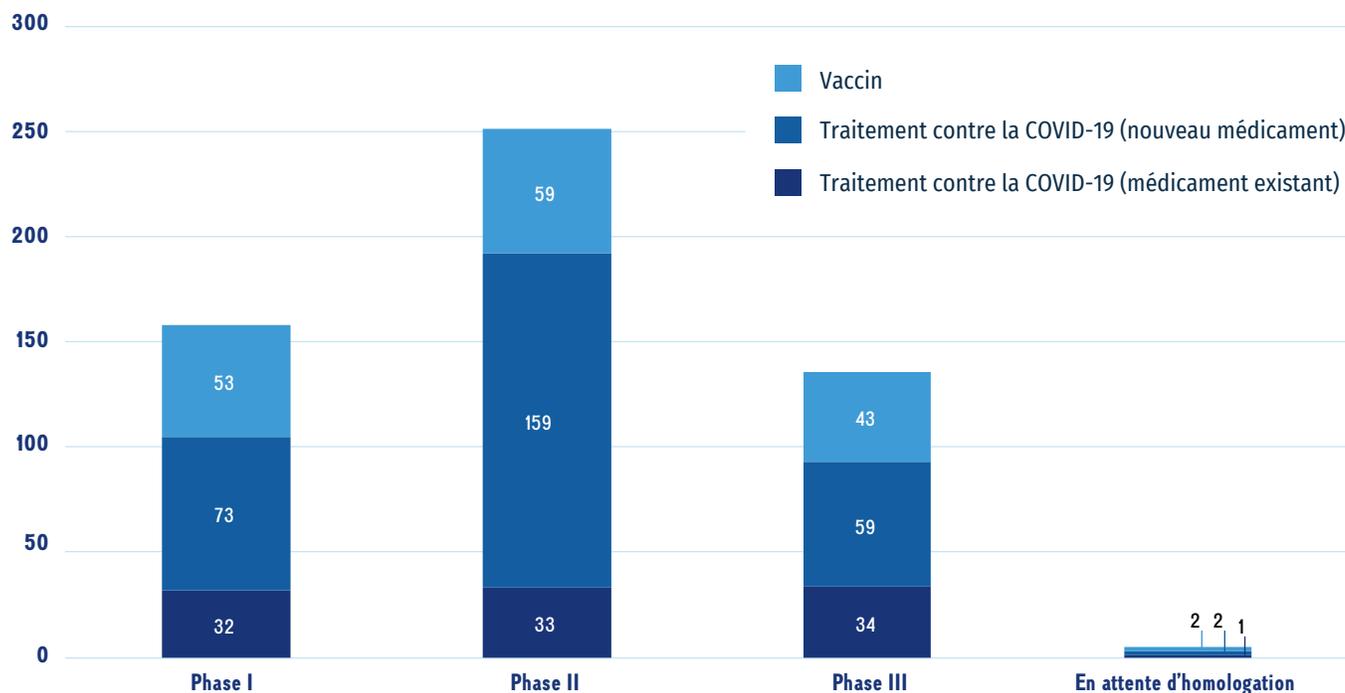
- En 2022, plus de 400 nouveaux médicaments ont fait l'objet d'une évaluation clinique en lien avec le traitement et la prévention de la COVID-19. Il s'agit d'une hausse de 10 % par rapport à l'année précédente.
- Les avancées dans la technologie des vaccins ont permis de mettre à jour et d'approuver rapidement des vaccins existants en vue de protéger la population contre les nouvelles souches du virus de la COVID-19.
- Les vaccins bivalents qui ciblent les sous-variants BA.4 et BA.5 d'Omicron ont été approuvés dans de nombreux pays.
- Les vaccins administrés par voie nasale constituent une approche de plus en plus envisagée pour prévenir la COVID-19. En 2022, vingt différents vaccins administrés par voie nasale étaient à différentes phases de développement. Il y a actuellement deux vaccins administrés par voie nasale ou par inhalation qui sont approuvés en Chine et en Inde.
- Les options de traitement émergentes les plus efficaces comprennent les antiviraux par voie orale et les nouveaux anticorps monoclonaux, qui ont donné des résultats positifs dans le cadre d'essais cliniques.
- Les modèles de thérapie à base de cellules souches et les modèles d'organoïdes issus de cellules souches constituent une nouvelle option de traitement et une nouvelle méthode de recherche qui gagnent en importance dans le domaine de la COVID-19. En date de février 2023, on dénombrait 53 produits de thérapie cellulaire à différentes phases d'évaluation clinique.

**Sources** : Base de données GlobalData Healthcare (février 2023); Santé Canada (février 2023).

La figure 5 présente le nombre d'essais cliniques portant sur des traitements et des vaccins contre la COVID-19 en fonction de la dernière phase de développement atteinte en date de septembre 2022. La majorité des vaccins émergents (97 %) sont de nouveaux médicaments visant à prévenir la COVID-19. Les antiviraux constituent le traitement le plus couramment utilisé pour traiter les symptômes de la COVID-19, représentant 74 % des nouveaux médicaments émergents. Les autres options de traitement comprennent les anticorps monoclonaux, les produits de thérapie cellulaire et les peptides synthétiques, qui représentent un grand pourcentage des médicaments émergents repositionnés.

**FIGURE 5**

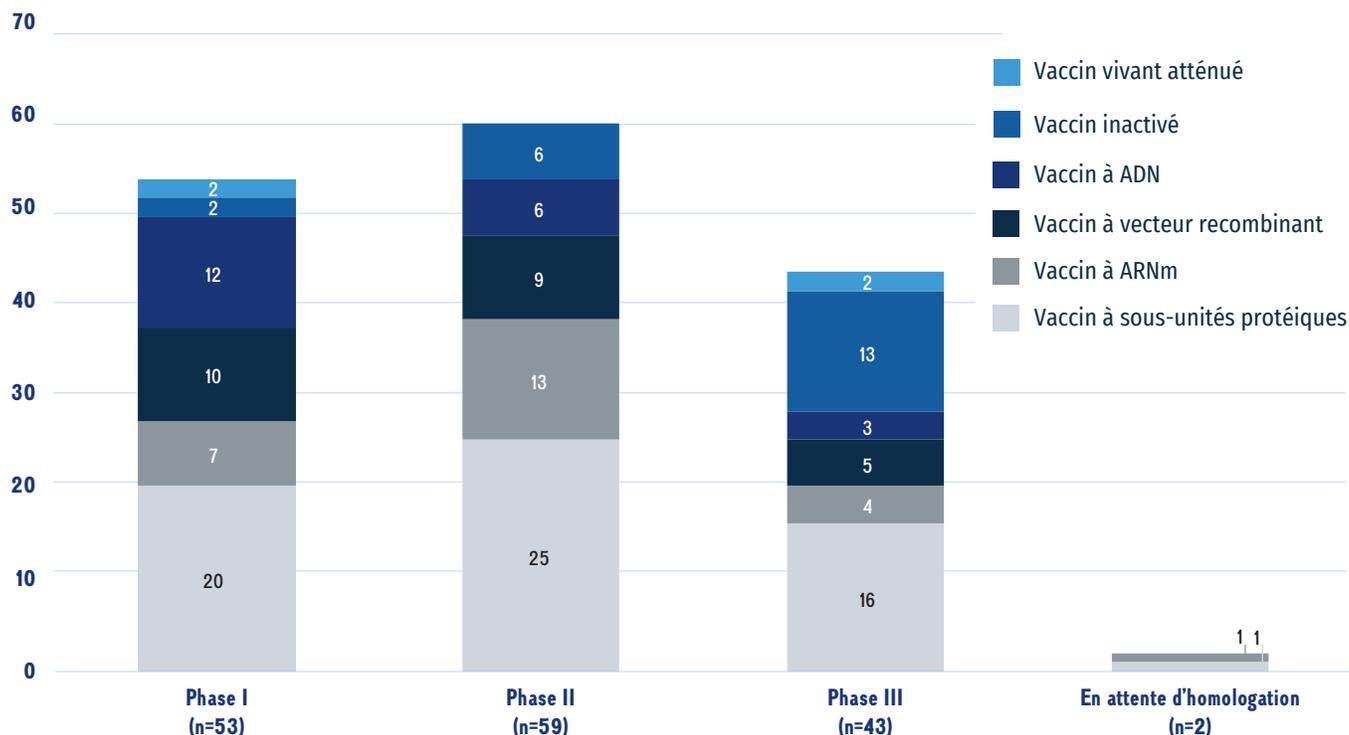
Nombre de médicaments destinés à la prévention ou au traitement de la COVID-19 faisant l'objet d'une évaluation clinique par phase de développement, 2022



Sources des données : GlobalData (base de données consultée en septembre 2022).

La figure 6 présente une ventilation des vaccins contre la COVID-19 en fonction de leur mécanisme d'action et de la dernière phase de développement atteinte<sup>xiv</sup>. Les vaccins sont classés par type selon leur mécanisme d'action (p. ex. les vaccins vivants atténués ciblent le virus entier, mais les vaccins à sous-unités protéiques et les vaccins à vecteurs recombinants ciblent une partie du virus).

**FIGURE 6**  
Répartition des vaccins contre la COVID-19 par mécanisme d'action et par phase de développement, 2022



Sources des données : GlobalData (base de données consultée en septembre 2022).

## Canada

La COVID-19 continue de toucher les Canadiens, avec environ 182 000 hospitalisations et plus de 52 000 décès en date de mars 2023<sup>xv</sup>. Plus de 85 % des Canadiens ont reçu leur série vaccinale primaire complète (deux doses)<sup>xvi</sup>. Les derniers vaccins approuvés par Santé Canada sont les vaccins bivalents qui ciblent deux souches différentes du virus. Les vaccins mis à jour Spikevax de Moderna et Comirnaty de Pfizer-BioNTech ciblent la souche d'origine du SRAS-CoV-2 ainsi que les sous-variants BA.4 et BA.5 d'Omicron, que l'on sait résistants aux versions précédentes des vaccins. Les vaccins sont produits selon les mêmes méthodes que les vaccins précédents contre la COVID-19, sauf qu'ils contiennent deux composants d'ARNm au lieu d'un seul, ce qui leur permet de cibler plus d'une souche du virus.

Santé Canada accorde la priorité à l'examen des présentations de vaccins contre la COVID-19. En date de mars 2023, Santé Canada avait approuvé six vaccins, soit deux vaccins à ARNm (Comirnaty et Spikevax), deux vaccins à vecteurs viraux (Jcovden et Vaxzevria), un vaccin à base de plantes (Covifenz) et un vaccin à protéine (Nuvaxovid). Le tableau 8 présente le nombre de médicaments approuvés par Santé Canada pour la prévention et le traitement de la COVID-19, tandis que le tableau 9 présente le nombre de médicaments contre la COVID-19 à l'étude par Santé en date de mars 2023.

<sup>xiv</sup> L'Organisation mondiale de la Santé (OMS) tient également une liste des vaccins expérimentaux en cours d'évaluation clinique ou préclinique. Pour consulter la liste à jour (en anglais seulement), visiter le site Web de l'OMS : <https://www.who.int/publications/m/item/draft-landscape-of-covid-19-candidate-vaccines>.

<sup>xv</sup> <https://sante-infobase.canada.ca/covid-19/mise-a-jour-courante.html>

<sup>xvi</sup> <https://www150.statcan.gc.ca/n1/pub/11-631-x/11-631-x2022001-fra.htm>

**TABLEAU 8**

Traitements et vaccins contre la COVID-19 approuvés par Santé Canada, 2022

Domaine thérapeutique	Demandeur	Ingrédient médicamenteux	Résultat de la demande	Date de la décision ou du résultat
Antiviraux à usage systémique	<b>Veklury</b> Gilead Sciences Canada Inc.	Remdésivir (solution pour injection)	<b>Texte habilitant</b> <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; avis de conformité délivré aux termes de la ligne directrice sur les AC-C  <b>Indication supplémentaire</b> <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé	2020-07-27  2022-04-22
Antiviraux à usage systémique	<b>Paxlovid</b> Pfizer Canada ULC	Nirmatrelvir et ritonavir (comprimés pour administration orale)	<b>Texte habilitant</b> <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé avec conditions	2022-01-17
Antisérums et immunoglobulines	<b>Evusheld</b> AstraZeneca Canada Inc.	Cilgavimab et tixagévimab (solution pour injection)	<b>Texte habilitant</b> <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé avec conditions  <b>Indication supplémentaire</b> <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé	2022-04-14  2022-10-18
Antisérums et immunoglobulines	<b>Casirivimab et imdévimab</b> Hoffmann-La Roche Ltée	Casirivimab et imdévimab (solution pour injection)	<b>Texte habilitant</b> Arrêté d'urgence*; autorisé avec conditions	2021-06-09
Antisérums et immunoglobulines	<b>Bamlanivimab</b> Eli Lilly Canada Inc.	Bamlanivimab (solution pour injection)	<b>Texte habilitant</b> Arrêté d'urgence*; autorisé avec conditions	2020-11-20
Antisérums et immunoglobulines	<b>Sotrovimab</b> GlaxoSmithKline Inc.	Sotrovimab (solution pour injection)	<b>Texte habilitant</b> Arrêté d'urgence*; autorisé avec conditions	2021-07-30
Antisérums et immunoglobulines	<b>Actemra</b> Hoffmann-La Roche Ltée	Tocilizumab (solution pour injection)	<b>Indication supplémentaire</b> <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé	2022-10-13
Vaccins	<b>Covifenz</b> Medicago Inc.	Particules pseudo-virales de la protéine de spicule du SRAS-CoV-2	<b>Texte habilitant</b> <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé avec conditions	2022-02-24
Vaccins	<b>Nuvaxovid</b> Novavax Inc.	Protéine de spicule recombinante du SRAS-CoV-2	<b>Texte habilitant</b> Dose pour adolescents (12 à 17 ans) <i>Règlement sur les aliments et drogues</i>  Première dose de rappel <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé avec conditions  <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé avec conditions	2022-12-06  2022-11-17  2022-02-17

Domaine thérapeutique	Demandeur	Ingrédient médicamenteux	Résultat de la demande	Date de la décision ou du résultat
Vaccins	<b>Vaxzevria</b> AstraZeneca Canada Inc.	ChAdOx1-S [recombinant] (solution pour injection)	<b>Texte habilitant</b> <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé avec conditions  Arrêté d'urgence*	2021-11-19  2021-02-26
Vaccins	<b>Comirnaty</b> BioNTech Manufacturing GmbH	Tozinaméran [vaccin à ARNm, BNT162b2] (suspension pour injection)	<b>Texte habilitant</b> Dose de rappel du vaccin bivalent (5 à 11 ans) <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé avec conditions  Dose de rappel du vaccin bivalent (12 ans et plus) <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé avec conditions  Indication pédiatrique (6 mois à 5 ans) <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé avec conditions  Première dose de rappel (5 à 11 ans) <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé avec conditions  Première dose de rappel (16 et 17 ans) <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé avec conditions  Indication pédiatrique (5 à 11 ans) <i>Règlement sur les aliments et drogues</i>  Première dose de rappel <i>Règlement sur les aliments et drogues</i>  <i>Règlement sur les aliments et drogues</i> ; autorisé avec conditions  Indication pédiatrique (12 à 15 ans) Arrêté d'urgence*	2022-12-09  2022-10-07  2022-09-09  2022-08-19  2022-06-01  2021-11-19  2021-11-09  2021-09-16  2021-05-05
Vaccins	<b>Spikevax</b> Moderna TX, Inc.	Élasoméran (suspension pour injection)	Arrêté d'urgence*	2020-12-09

Domaine thérapeutique	Demandeur	Ingrédient médicinal	Résultat de la demande	Date de la décision ou du résultat
Vaccins	<b>Jcovden</b> Janssen Inc.	AD26.COVS.2.S [recombinant] (solution pour injection)	<p><b>Texte habilitant</b> Première dose de rappel <i>Règlement sur les aliments et drogues</i>; autorisé avec conditions</p> <p><i>Règlement sur les aliments et drogues</i>; autorisé avec conditions</p> <p>Arrêté d'urgence*</p>	<p>2022-05-11</p> <p>2021-11-23</p> <p>2021-03-05</p>
Vaccins	<b>Covishield</b> Verity Pharmaceuticals Inc./Serum Institute of India (en partenariat avec AstraZeneca Canada Inc.)	ChAdOx1-S (recombinant)	<p><b>Texte habilitant</b> Arrêté d'urgence*; autorisé avec conditions</p>	<p>2021-02-26 (expiré le 2021-09-16)</p>

\* L'Arrêté d'urgence concernant l'importation, la vente et la publicité de drogues à utiliser relativement à la COVID-19, approuvé le 23 mai 2020, a permis d'offrir une autre voie pour faciliter la tenue d'essais cliniques portant sur des médicaments et des instruments médicaux potentiels pour lutter contre la COVID-19, tout en maintenant des exigences strictes en matière de sécurité des patients et de validité des données d'essais.

Sources des données : Autorisations de médicament et de vaccin contre la COVID-19 : Liste des drogues et vaccins autorisés et des drogues à indication supplémentaire (site consulté en mars 2023) :

<https://www.canada.ca/fr/sante-canada/services/medicaments-produits-sante/covid19-industrie/medicaments-vaccins-traitements/autorisations/liste-medicaments.html>

**TABLEAU 9**

Traitements et vaccins contre la COVID-19 en cours d'examen par Santé Canada, en date de mars 2023

Domaine thérapeutique	Demandeur	Ingrédient médicamenteux	Date d'acceptation de la présentation
Vaccins	Pfizer Canada ULC/BioNTech SE	Tozinaméran	Février 2022
Vaccins – Dose de rappel	AstraZeneca Canada Inc.	ChAdOx1-S [recombinant]	Décembre 2021
Vaccins – Dose de rappel	Janssen Inc.	Ad26.COV2.S	Décembre 2021
Vaccins – Dose pédiatrique (6 à 11 ans)	ModernaTX, Inc.	Élasoméran	Novembre 2021
Vaccins	Medicago Inc.	Particules pseudo-virales de coronavirus [CoVLP]	Août 2021
Vaccins	Novavax Inc.	NVX-CoV2373	Août 2021
Vaccins	Sanofi Pasteur Ltée.	Protéine de spicule en forme préfusion transmembranaire de la souche delta u SRASCoV-2 [recombinante]	Juillet 2021
Vaccins	Vaccigen Ltd	Coronavirus inactivé à virion entier	Juillet 2021
Antisérums et immunoglobulines	AstraZeneca Canada Inc.	Cilgavimab, tixagévimab	Novembre 2021
Antisérums et immunoglobulines	Celltrion HealthCare Co. Ltd	Regdanimab	Mai 2021
Antisérums et immunoglobulines	Eli Lilly Canada Inc.	Bamlanivimab*	Juin 2021
Antisérums et immunoglobulines	Hoffmann-La Roche Ltée	Casirivimab, imdévimab*	Septembre 2021
Antisérums et immunoglobulines	GlaxoSmithKline Inc.	Sotrovimab*	Octobre 2021
Antisérums et immunoglobulines	Eli Lilly Canada Inc.	Étésévimab	Septembre 2021
Immunosuppresseurs	Eli Lilly Canada Inc.	Baricitinib	Septembre 2021
Antiviraux à usage systémique	Gilead Sciences Canada Inc.	Remdésivir	Avril 2021
Antiviraux à usage systémique	Dr. Reddys Laboratories Ltd	Favipiravir	Septembre 2021
Antiviraux à usage systémique	Merck Canada Inc.	Molnupiravir	Août 2021

Domaine thérapeutique	Demandeur	Ingrédient médicinal	Date d'acceptation de la présentation
<b>EXAMENS ANNULÉS</b>			
Antisérums et immunoglobulines	CytoDyn Inc.	Léronlimab	Mars 2021 (expiré)
Préparations contre la goutte	Pendopharm, division de Pharmascience Inc.	Colchicine	Janvier 2021 7 juin 2021 : annulé par le promoteur
Autres médicaments en relation avec le système nerveux	Sanotize Research & Development Corp.	Oxyde nitrique	Juin 2021 1 <sup>er</sup> septembre 2021 : annulé par le promoteur

\* Le demandeur a déposé une présentation de drogue nouvelle au titre du *Règlement sur les aliments et drogues* afin que son produit, approuvé en vertu de l'arrêté d'urgence, puisse être autorisé en vertu du *Règlement*. La vente du produit demeure autorisée au Canada pendant cette période de transition.

Sources des données : Autorisations de médicament et de vaccin contre la COVID-19 : Liste des demandes reçues, Santé Canada (site consulté en mars 2023) : <https://www.canada.ca/fr/sante-canada/services/medicaments-produits-sante/covid19-industrie/medicaments-vaccins-traitements/demandes.html>

# Annexe A

**TABLEAU A1**

Produits biosimilaires en cours d'essais cliniques de phase III (d'après les données extraites en septembre 2022)

Médicament	Produit de référence (fabricant)	Autres produits biosimilaires (O/N)	Fabricants mettant au point le produit biosimilaire	Indication
<b>Adalimumab</b>	Humira (Abbvie Corp.)	O	Enzene Biosciences Ltd	Spondylarthrite ankylosante
			Wuhan Institute of Biological Products Co Ltd	Psoriasis en plaques (psoriasis vulgaire)
<b>Aflibercept</b>	Eylea (Bayer Inc.)	N	Amgen Inc. Alteogen Inc. Alvotech SA Celltrion Inc. Formycon AG Hexal AG Johnson & Johnson Sam Chun Dang Pharm Co Ltd Samsung Bioepis Co Ltd	Dégénérescence maculaire humide (néovasculaire/exsudative)
<b>Bévacizumab</b>	Avastin (Hoffmann-La Roche Limitée)	O	Aurobindo Pharma Ltd Prestige BioPharma Ltd SinoCelltech Group Ltd	Cancer du poumon non à petites cellules
			Centrion†	S.O.
<b>Cétuximab</b>	Erbix	N	Ampo Biotechnology Inc. Cinnagen Co Enzene Biosciences Ltd R-Pharm	Carcinome épidermoïde de la tête et du cou; cancer de la lèvre; tumeurs malignes solides localement récidivantes ou locorégionales; cancer de la cavité buccale (bouche); tumeur du pharynx; cancer colorectal métastatique
<b>Darbépoéline alpha</b>	Aranesp (Amgen Canada Inc.)	N	Biocad	Anémie associée à la néphropathie chronique (anémie rénale)
<b>Dénosumab</b>	Prolia / Xgeva (Amgen Canada Inc.)	N	Mabwell Shanghai Bioscience Co Ltd	Diabète
			Celltrion Inc. Eden Biologics Inc. Fresenius Kabi SwissBioSim GmbH Gedeon Richter Plc Mabxience Holding SL Samsung Bioepis Co Ltd Sandoz International GmbH Teva Pharmaceutical Industries Ltd	Ostéoporose postménopausique
			Sandoz International GmbH	Métastases osseuses; tumeur osseuse à cellules géantes

Médicament	Produit de référence (fabricant)	Autres produits biosimilaires (O/N)	Fabricants mettant au point le produit biosimilaire	Indication
<b>Éculizumab</b>	Soliris (Alexion Pharma GmbH)	N	Amgen Inc. <sup>†</sup> Samsung Bioepis Co Ltd	Hémoglobulinurie paroxystique nocturne
<b>Énoxaparine</b>	Lovenox (Sanofi-Aventis Canada Inc.)	O	Baxter Corporation <sup>†</sup> Fresenius Kabi Canada Ltd <sup>†</sup>	S.O.
<b>Étanercept</b>	Enbrel (ImmuneX Corporation)	O	Mycenax Biotech Inc.	Polyarthrite rhumatoïde
<b>Follitropine alpha</b>	Gonal-F / Pergoveris (EMD Serono, une division d'EMD Inc., Canada)	N	Amega Biotech	Infertilité féminine
<b>Golimumab</b>	Simponi (Janssen Inc.)	N	Bio-Thera Solutions Ltd	Arthrite psoriasique
<b>Liraglutide</b>	Victoza / Saxenda (Novo Nordisk Canada Inc.)	N	Shanghai Fosun Pharmaceutical (Group) Co Ltd	Obésité
<b>Ocrélizumab</b>	Ocrevus (Hoffmann-La Roche Limitée)	N	Cinnagen Co	Sclérose en plaque récurrente- rémittente (SEP-RR)
<b>Omaliuzumab</b>	Xolair (Novartis Pharmaceuticals Canada Inc.)	N	Synermore Biologics Co Ltd	Asthme allergique
			Celltrion Inc. Synermore Biologics Co Ltd Teva Pharmaceutical Industries Ltd	Urticaire chronique
			Synermore Biologics Co Ltd	Polypes nasaux (polypose nasale); rhinosinusite
<b>Pegfilgrastim</b>	Neulasta (Amgen Canada Inc.)	O	Lupin Pharma Canada Limited <sup>†</sup> Nora Pharma Inc. <sup>†</sup>	Neutropénie fébrile
<b>Pertuzumab</b>	Perjeta (Hoffmann-La Roche Limitée)	N	Zydus Lifesciences Ltd	Cancer du sein positif pour le récepteur 2 du facteur de croissance épidermique humain (cancer du sein HER2+)
<b>Ranibizumab</b>	Lucentis (Novartis Pharmaceuticals Canada Inc.)	O*	Aurobindo Pharma Ltd Enzene Biosciences Ltd Generium Jecho Biopharmaceuticals Co Ltd Lupin Ltd PharmaResearch BIO Co Ltd	Dégénérescence maculaire humide (néovasculaire/exsudative)
<b>Romiplostim</b>	Nplate (Amgen Canada Inc.)	N	Generium	Purpura thrombopénique idiopathique (purpura thrombopénique immunologique)

Médicament	Produit de référence (fabricant)	Autres produits biosimilaires (O/N)	Fabricants mettant au point le produit biosimilaire	Indication
<b>Ténectéplase</b>	TNKase (Hoffmann-La Roche Limitée)	N	Hetero Drugs Ltd	Infarctus du myocarde
<b>Trastuzumab</b>	Herceptin (Hoffmann-La Roche Limitée)	O	Aprogen Inc. Hetero Drugs Ltd Tanvex BioPharma Inc. Prestige BioPharma Ltd (HC) <sup>†</sup>	Cancer du sein positif pour le récepteur 2 du facteur de croissance épidermique humain (cancer du sein HER2+)
<b>Ustékinumab</b>	Stelara (Janssen Inc.)	N	DM Bio Ltd Samsung Bioepis Co Ltd	Arthrite psoriasique
			Amgen Inc. Alvotech SA Bio-Thera Solutions Ltd Celltrion Inc. DM Bio Ltd Formycon AG Samsung Bioepis Co Ltd	Psoriasis en plaques (psoriasis vulgaire)
			DM Bio Ltd	Maladie de Crohn (entérite régionale); colite ulcéreuse
			JiangSu Qyuns Therapeutics Co Ltd	Maladie inflammatoire de l'intestin

\* Approuvé mais non commercialisé en date du 5 décembre 2022.

<sup>†</sup> Produit biosimilaire en cours d'examen par Santé Canada.

**TABLEAU A2**

Présentations de drogues nouvelles en cours d'examen par Santé Canada (février 2023)

Ingrédient médicinal	Domaine thérapeutique	Fabricant	Date d'acceptation de la présentation en vue de l'examen
Aflibercept	Médicaments ophtalmologiques	BGP Pharma ULC	Mai 2022
Bévacizumab	Agents antinéoplasiques	Celltrion HealthCare Co. Ltd	Mars 2022
Éculizumab	Immunosuppresseurs	Amgen Canada Inc.	Juillet 2022
Énoxaparine sodique	Antithrombotiques	Baxter Corporation	Septembre 2022
Pegfilgrastim	Immunostimulants	Lupin Pharma Canada Limited	Mai 2022
Pegfilgrastim	Immunostimulants	Nora Pharma Inc.	Mai 2022
Ranibizumab	Médicaments ophtalmologiques	Teva Canada Ltée	Décembre 2022
Trastuzumab	Agents antinéoplasiques	Prestige BioPharma Ltd	Août 2021

**TABLEAU A3**

Médicaments en cours d'essais de phase II pour des indications ciblées par des médicaments candidats émergents

Médicament candidat émergent	Indication	Médicaments en cours d'essais de phase II et mécanisme d'action (MA)*
<b>Acétate de rusfertide</b>	Polycythémie vraie	À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication.
<b>Abélacimab</b>	Thrombose veineuse profonde (TVP); embolie pulmonaire	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ MA non divulgué (TF-0023, Zifa-01).</li> </ul> À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que l'abélacimab (un inhibiteur mixte du facteur XI et du facteur XIa).
<b>Aprocitentan et Firibostat</b>	Hypertension réfractaire	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Agoniste du récepteur 1 du peptide natriurétique auriculaire (PL-3994)</li> <li>○ Inhibiteur de l'angiotensinogène (évazarsen, tonlamarsen)</li> <li>○ Inhibiteur mitochondrial du cytochrome P450 11B2 (baxdrostat)</li> </ul> À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que l'aprocitentan (un antagoniste mixte des récepteurs de l'endothéline) ou le firibostat (un inhibiteur de l'aminopeptidase A à action centrale).

Médicament candidat émergent	Indication	Médicaments en cours d'essais de phase II et mécanisme d'action (MA)*
<p><b>Bémarituzumab</b> et <b>Zolbétuximab</b></p>	<p>Adénocarcinome de la jonction œsophago-gastrique; cancer e l'estomac; cancer de la vessie; carcinome de la jonction œsophago-gastrique</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Agoniste de la sous-unité alpha du récepteur de l'interleukine-7 (éfineptakin alfa)</li> <li>○ Agoniste du membre 18 de la superfamille des récepteurs du facteur de nécrose tumorale (ragifilimab)</li> <li>○ Agoniste du membre 5 de la superfamille des récepteurs du facteur de nécrose tumorale (sotigalimab)</li> <li>○ Agoniste du récepteur de l'interleukine-2 (SAR-444245)</li> <li>○ Agoniste du récepteur III du fragment Fc des IgG de faible affinité (CYNK-101)</li> <li>○ Agoniste du récepteur nucléaire ROR-gamma (cintirorgon)</li> <li>○ Antagoniste de l'immunorécepteur des lymphocytes T avec domaine Ig et ITIM (étigilimab)</li> <li>○ Antagoniste de la protéine Smoothened (taladégib)</li> <li>○ Antagoniste du membre 1 de la sous-famille B de récepteurs de type immunoglobuline leucocytaire (SAR-444881)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur de chimiokines CC de type 8 (BMS-986340, S-531011)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur du facteur de croissance épidermique (GC-1118A, MCLA-129)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur II-b de la région Fc des IgG de faible affinité (BI-1607)</li> <li>○ Cytotoxique pour les cellules exprimant : <ul style="list-style-type: none"> <li>• la claudine-18 (CT-041, SOT-102)</li> <li>• la molécule 1 d'adhésion intercellulaire (gébasaxturev)</li> <li>• la stabilin-1 (bexmarilimab)</li> <li>• la transcriptase inverse de la télomérase (suratadénoturev)</li> <li>• le récepteur à activité tyrosine kinase ErbB2 (cinrébafusp alfa, DP-303c)</li> <li>• le récepteur du facteur de croissance épidermique (AFM-241, cétuximab, MRG-003)</li> </ul> </li> <li>○ Inhibiteur de l'ADN topo-isomérase I (irinotécan)</li> <li>○ Inhibiteur de l'antigène de surface des leucocytes CD47 (AO-176, ligufalimab)</li> <li>○ Inhibiteur de l'histone-lysine N-méthyltransférase EZH2 (CPI-0209)</li> <li>○ Inhibiteur de la 5'-nucléotidase (ulilédlimab)</li> <li>○ Inhibiteur de la claudine-18 (BNT-141, LM-302)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine DKK1 (DKN-01)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine DLL4 (navicixizumab)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine LAG3 (mipténalimab)</li> <li>○ Inhibiteur de la sérine/thréonine kinase ATR (céralasertib)</li> <li>○ Inhibiteur de la synthèse de l'ADN (doxorubicine)</li> <li>○ Inhibiteur de MAPK1 (NMBS-2, ulixertinib)</li> <li>○ Inhibiteur du facteur de croissance endothélial vasculaire (KH-903)</li> <li>○ Inhibiteur du ligand de mort cellulaire programmée de type 1 (ézabenlimab, HB-0036)</li> <li>○ Inhibiteur du récepteur du facteur de croissance des fibroblastes (MAX-4)</li> <li>○ Inhibiteur du transporteur du zinc ZIP6 (ladiratuzumab védotine)</li> <li>○ Inhibiteur mitochondrial de la désoxyuridine 5'-triphosphate nucléotidohydrolase (TAS-114)</li> <li>○ Inhibiteur de gremlin-1 (UCB-6114)</li> <li>○ Inhibiteur de l'angiopoïétine 2 (BI-836880)</li> <li>○ Produit de thérapie cellulaire (RAPA-201)</li> <li>○ Vaccin (IMU-131, ombipepimut-S)</li> <li>○ Autre produit dont le MA n'a pas été divulgué (écubectédine, GEN-001, VE-800)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il y a un autre médicament (MAX-4) qui a un MA semblable à celui du bémarituzumab (un inhibiteur du récepteur du facteur de croissance des fibroblastes) et d'autres médicaments (BNT-141, LM-302) qui ont un MA semblable à celui du zolbétuximab (un inhibiteur de la claudine-18) en cours d'essais cliniques de phase II.</p> <p>Consulter les renseignements à la section « ciltacabtagène ».</p>
<p><b>Chlorhydrate d'iberdomide</b></p>		

Médicament candidat émergent	Indication	Médicaments en cours d'essais de phase II et mécanisme d'action (MA)*
<p><b>Ciltacabtagène autoleucel*</b> et <b>Chlorhydrate d'iberdomide</b></p>	<p>Myélome multiple réfractaire; myélome multiple récidivant</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Activateur du céréblon (CFT-7455, mézigdomide)</li> <li>○ Activateur mitochondrial de la sous-unité protéolytique de la protéase Clp dépendante de l'ATP (ONC-201)</li> <li>○ Agoniste de CD3 (ABBV-383, cévostamab, HPN-217, ISB-1342, linvoseltamab, REGN-5459, talquétamab)</li> <li>○ Agoniste de la sous-unité alpha du récepteur de l'interleukine-15 (NKTR-255)</li> <li>○ Agoniste de la sous-unité alpha du récepteur de l'interleukine-2 (ANV-419)</li> <li>○ Antagoniste de l'immunorécepteur des lymphocytes T avec domaine Ig et ITIM (belrestotug, BMS-986207)</li> <li>○ Antagoniste de la protéine 1 de mort cellulaire programmée (pidilizumab)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur de l'activine de type 1 (INCB-00928)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur de type immunoglobuline des cellules tueuses 2DL1 (lirilumab)</li> <li>○ Cytotoxique pour les cellules exprimant : <ul style="list-style-type: none"> <li>• l'ADP-ribosyl cyclase/ADP-ribose cyclique hydrolase 1 (GEN-3014, modakafusp alfa, STI-6129)</li> <li>• l'antigène du myélome kappa (MDX-1097)</li> <li>• la molécule d'adhérence cellulaire liée à l'antigène carcinoembryonnaire 8 (TLX-66)</li> <li>• la protéine MCP (virus oncolytique)</li> <li>• le membre 17 de la superfamille des récepteurs du facteur de nécrose tumorale (ALLO-605, CC99712, HDP-101)</li> </ul> </li> <li>○ Inhibiteur de Bcl-2 (APG-2575, BGB-11417)</li> <li>○ Inhibiteur de l'ADP-ribosyl cyclase/ADP-ribose cyclique hydrolase 1 (BHV-1100, mézagitamab)</li> <li>○ Inhibiteur de l'antigène de surface des leucocytes CD47 (AO-176, PF-07901801)</li> <li>○ Inhibiteur de l'arginase-1 (numidargistat)</li> <li>○ Inhibiteur de l'exportine-1 (eltanexor)</li> <li>○ Inhibiteur de l'héparanase (ronéparstat)</li> <li>○ Inhibiteur de l'histone désacétylase 6 (ricolinostat)</li> <li>○ Inhibiteur de l'isoforme bêta de la sous-unité catalytique de phosphatidylinositol-4,5-bisphosphate 3-kinase (GSK-2636771)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine DKK1 (BHQ-880)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine de liaison CREB (inobrodib)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine kinase Wee1 (adavosertib)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine S100A9 (tasquinimod)</li> <li>○ Inhibiteur de la synthèse de l'ADN (doxorubicine)</li> <li>○ Inhibiteur de MAP2K1 à double spécificité (diméthylsulfoxyde de tramétinib + uprosertib)</li> <li>○ Inhibiteur de RAC-alpha sérine/thréonine kinase (uprosertib)</li> <li>○ Inhibiteur du facteur de croissance des hépatocytes (MP-0250)</li> <li>○ Inhibiteur du gène RAD51 (CYT-0851)</li> <li>○ Inhibiteur du petit modificateur apparenté à l'ubiquitine 2 (subasumstat)</li> <li>○ Inhibiteur du protéasome 20S (CX-13608)</li> <li>○ Inhibiteur du récepteur de TGF-bêta 1 (vactosertib)</li> <li>○ Inhibiteur du récepteur 1 du facteur de croissance des fibroblastes (ABSK-091)</li> <li>○ Inhibiteur de l'interleukine-18 (AVTX-007)</li> <li>○ Produit de thérapie cellulaire (divers, ACP-001, Anti-BCMA/GPRC5D CAR-T, ARI-0002h, CAR-BCMA, ECT-001, GDA-201, NEXI-002, NK Cell Multiple Myeloma, RAPA-201, VAX-DC)</li> <li>○ Produit de thérapie cellulaire avec modification génétique (divers, Descartes-08, Descartes-11, Descartes-25, GDT-002, KJC-2111, lététresgène autoleucel, OPC-415, orvacabtagène autoleucel, PBCAR-269A, PHE-885, SENL-302, zévorcabtagène autoleucel)</li> <li>○ Vaccin (biropepimut-S, vaccin GVAX contre le myélome multiple, ImMucin, IO-103, PVX-410)</li> <li>○ Autre produit dont le MA n'a pas été divulgué (CB-103, imifoplatine, iopofosine i-131, KES-0001)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il y a d'autres médicaments (CFT-7455, mézigdomide) qui ont un MA semblable à celui de l'iberdomide (un activateur du céréblon) et d'autres produits de thérapie génique comme le ciltacabtagène en cours d'essais de phase II pour cette indication.</p>

Médicament candidat émergent	Indication	Médicaments en cours d'essais de phase II et mécanisme d'action (MA)*
<b>Concizumab*</b>	Hémophilie B	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Activateur du facteur de coagulation IX (lanacogène vosiparovec, verbrinacogène setparovec)</li> <li>○ Activateur du facteur de coagulation X (STSP-0601)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine C dépendante de la vitamine K (SerpinePC)</li> <li>○ Remplacement du facteur de coagulation IX (dalcinonacog alfa LA)</li> <li>○ Remplacement du facteur de coagulation VII (OPK-88005)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que le concizumab (un inhibiteur de la voie du facteur tissulaire).</p>
<b>Dichlorhydrate de navitoclax</b>		<p>Consulter les renseignements à la section « imételstat ».</p>
<b>Évobrutinib</b>	Sclérose en plaques récurrente-rémittente (SEP-RR); sclérose en plaques progressive secondaire (SPPS)	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Activateur de la sérine/thréonine kinase Sgk2 (OCS-05)</li> <li>○ Antagoniste de la chaîne epsilon de la glycoprotéine de surface des lymphocytes T CD3 (foralumab)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur de la sphingosine-1-phosphate (amiséliomod)</li> <li>○ Association (AAS et fumarate de diméthyle)</li> <li>○ Inhibiteur de l'ACE (lisinopril)</li> <li>○ Inhibiteur de l'histone méthylase-1A spécifique de la lysine (vafidemstat)</li> <li>○ Inhibiteur de l'intégrine alpha-4 (ATL-1102)</li> <li>○ Inhibiteur de la molécule d'orientation répulsive A (élezanumab)</li> <li>○ Inhibiteur du ligand CD40 (SAR-441344)</li> <li>○ Produit de thérapie cellulaire (ATA-188, ATA-190, CLS-12311, NG-1)</li> <li>○ Autre produit dont le MA n'a pas été divulgué (IB-MS, IMCY-0141, MP-101, RNS-60, smderpept, téméliab , WP-1303)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que l'évobrutinib (un immunomodulateur sélectif pénétrant dans le SNC qui bloque de façon irréversible la BTK).</p>
<b>FCR001</b>	Rejet de greffe rénale	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Antagoniste de la glycoprotéine de surface des lymphocytes T CD28 (FR-104, lulizumab pégol)</li> <li>○ Anticorps (LIS-1)</li> <li>○ Inhibiteur de CD80 agissant sur l'activation antigénique des lymphocytes T (bélatcept)</li> <li>○ Inhibiteur de l'antigène de surface des lymphocytes T CD2 (siplizumab)</li> <li>○ Inhibiteur du ligand CD40 (tégoпрubart)</li> <li>○ Produit de thérapie cellulaire (MDR-102, MIC-Lx, TX-200)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il y a d'autres produits de thérapie cellulaire comme le produit FCR001 en cours d'essais de phase II pour cette indication.</p>
<b>Firibastat</b>		<p>Consulter les renseignements à la section « aprocitentan ».</p>
<b>Garadacimab</b>	Angio-œdème héréditaire (AOH) (déficit en inhibiteur de la C1 estérase [C1INH])	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Inhibiteur de la kallibréine plasmatique (KVD-824, NTLA-2002)</li> <li>○ Inhibiteur du sous-composant C1s du complément (inhibiteur de l'estérase C1)</li> <li>○ Produit de thérapie génique (BMN-331)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que le garadacimab (un anticorps monoclonal d'immunoglobuline G4 qui interfère avec la coagulation par le facteur XIIa).</p>

Médicament candidat émergent	Indication	Médicaments en cours d'essais de phase II et mécanisme d'action (MA)*
<p><b>Glofitamab</b></p>	<p>Lymphomes à cellules B</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Agoniste du récepteur des glucocorticoïdes (dexaméthasone)</li> <li>○ Inhibiteur de la 2-oxoglutarate déshydrogénase (dévimstat)</li> <li>○ Inhibiteur de la kinase dépendante des cyclines 2 (fadraciclub)</li> <li>○ Inhibiteur de la CTP synthase 1 (STP-938)</li> <li>○ Produit de thérapie cellulaire avec modification génétique (thérapie CAR-T bispécifique ciblant CD19 et CD70)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que le glofitamab (un anticorps bispécifique anti-CD20-CD3 activant les lymphocytes T).</p>
<p><b>Imételstat</b> et <b>Navitoclax</b></p>	<p>Syndrome myélodysplasique; myélofibrose secondaire à une thrombocythémie essentielle (MF postTE); myélofibrose secondaire à une polycythémie vraie (MF post-PV)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Antagoniste du récepteur de l'activine de type 1 (INCB-00928)</li> <li>○ Inhibiteur de l'E3 ubiquitine ligase Mdm2 (sirémadline)</li> <li>○ Inhibiteur de l'hémojuvéline (DISC-0974)</li> <li>○ Inhibiteur de l'histone méthylase-1A spécifique de la lysine (bomédemstat)</li> <li>○ Inhibiteur de l'histone désacétylase 1 (pracinostat)</li> <li>○ Inhibiteur de la glycogène synthase kinase-3 bêta (elraglusib)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine à domaine BIR 2 (LCL-161)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine LOXL2 (GB-2064, PXS-5505A)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine tyrosine kinase BTK (TL-895)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine tyrosine kinase JAK2 (ilginatinib)</li> <li>○ Inhibiteur de la sérine/thréonine kinase Pim-1 (TP-3654)</li> <li>○ Inhibiteur de protéine à bromodomaine 2 (ABBV-744, BMS-986158)</li> <li>○ Vaccin (Triplex)</li> <li>○ Autre produit dont le MA n'a pas été divulgué (INCB-57643)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que l'imételstat (un inhibiteur de la télomérase) ou le navitoclax (un antagoniste d'une sous-famille de la famille des protéines Bcl-2).</p>

Médicament candidat émergent	Indication	Médicaments en cours d'essais de phase II et mécanisme d'action (MA)*
<b>Masitinib*</b> et <b>Reldésémtiv</b>	Sclérose latérale amyotrophique (SLA)	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Activateur de la superoxyde dismutase (AP-101)</li> <li>○ Activateur du facteur neurotrophique dérivé des cellules gliales (produit de thérapie génique)</li> <li>○ Agoniste du récepteur 1 du facteur de croissance des fibroblastes (FGF-1)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur du facteur 1 de stimulation des macrophages (sotulétinib)</li> <li>○ Association (acamprosate + baclofène, célécoxib + ciprofloxacine, nicotinamide riboside + ptérostilbène)</li> <li>○ Cofacteur redox réversible (EPI-589)</li> <li>○ Inhibiteur de 1-phosphatidylinositol 3-phosphate 5-kinase (apilimod)</li> <li>○ Inhibiteur de l'arachidonate 15-lipoxygénase (PTC-857)</li> <li>○ Inhibiteur de l'ataxine 2 (ION-541)</li> <li>○ Inhibiteur de l'IkK kinase (OP-101)</li> <li>○ Inhibiteur de la sérine/thréonine protéine kinase 1 interagissant avec des récepteurs (DNL-788)</li> <li>○ Inhibiteur de la transcriptase inverse (censavudine)</li> <li>○ Inhibiteur du facteur d'échange de nucléotide guanylique c9orf72 (WVE-004)</li> <li>○ Inhibiteur du facteur de coagulation V (3K3A-APC)</li> <li>○ Inhibiteur du ligand CD40 (tégoпрubart)</li> <li>○ Inhibiteur du régulateur de l'apoptose BAX (GM-6)</li> <li>○ Peptide anti-apoptotique Stressin-1 (IPL-344)</li> <li>○ Produit de thérapie cellulaire (AstroRx, COYA-101, NG-1, RAPA-501)</li> <li>○ Autre produit dont le MA n'a pas été divulgué (MP-101, NP-001, RNS-60, TM-700)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que le masitinib (un inhibiteur sélectif de la tyrosine kinase) ou le reldésémtiv (un activateur de la troponine des muscles squelettiques rapides).</p>
<b>Obicétrapib</b>	Dyslipidémie; hypercholestérolémie familiale hétérozygote (HFHe); athérosclérose	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Agoniste du récepteur bêta des hormones thyroïdiennes (VK-2809)</li> <li>○ Agoniste du récepteur des lipoprotéines de faible densité (AEM-28)</li> <li>○ Antagoniste des récepteurs de type Toll 2 et 4 (VB-201)</li> <li>○ Inhibiteur de l'apolipoprotéine A (olpasiran)</li> <li>○ Inhibiteur de la géranylgeranyl pyrophosphate synthase (antroquinonol)</li> <li>○ Inhibiteur de la proprotéine convertase subtilisine/kexine de type 9 (AZD-8233, cepadacursen, MK-0616, NN-6434)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine analogue à l'angiopoïétine (AROANG-3, LY-3561774)</li> <li>○ Inhibiteur mixte de la synthèse du cholestérol et des triglycérides (gemcabène)</li> <li>○ Autre produit dont le MA n'a pas été divulgué (DWJ-1506, DWJ-1507, PC-mab)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que l'obicétrapib (un inhibiteur de la CETP).</p>
<b>Pegcétacoplan*</b>	Hémoglobinurie paroxystique nocturne	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Inhibiteur de la protéine C5 du complément (tésidolumab)</li> <li>○ Inhibiteur du facteur D du complément (ALXN-2050, BCX-9930)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que le pegcétacoplan (un inhibiteur du fragment C3b et de la protéine C3 du complément).</p>
<b>REC-2282</b>	Neurofibromatose de type II	<p>Médicaments en cours d'essais de phase II pour cette indication et MA :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Inhibiteur du protéasome 26S (bortézomib)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que le produit REC-2282 (un pan-inhibiteur des histones désacétylases).</p>

Médicament candidat émergent	Indication	Médicaments en cours d'essais de phase II et mécanisme d'action (MA)*
<b>Rélaacorilant</b>	Cancer épithélial de l'ovaire	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Activateur de la 2',5'-oligoadénylate synthétase (POLY-ICLC)</li> <li>○ Activateur de la sous-unité alpha de l'interleukine-12 (GEN-1)</li> <li>○ Activateur de p53 (kevetrin)</li> <li>○ Agoniste anti-CD3 (HPN-536, ubamatamab)</li> <li>○ Agoniste de la sous-unité alpha du récepteur du facteur de stimulation des granulocytes et des macrophages (ONCOS-102)</li> <li>○ Agoniste du membre 5 de la superfamille des récepteurs du facteur de nécrose tumorale (sotigalimab)</li> <li>○ Agoniste du récepteur d'acide rétinoïque (fenrétinide)</li> <li>○ Antagoniste de l'immunorécepteur des lymphocytes T avec domaine Ig et ITIM (BMS-986207, étigilimab)</li> <li>○ Antagoniste de la protéine transmembranaire PVRIG (COM-701)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur du facteur de croissance épidermique (FMAB-2)</li> <li>○ Cytotoxique pour les cellules exprimant : <ul style="list-style-type: none"> <li>• la glycoprotéine trophoblastique (naptumomab estafénatox)</li> <li>• la mucine-16 (REGN-5668)</li> <li>• la protéine MCP (virus oncolytique permettant de cibler CD46 et SLC5a5 en oncologie)</li> <li>• le ligand CD40 (LOAd-703)</li> <li>• le récepteur à activité tyrosine kinase ErbB2 (DP-303c)</li> <li>• le récepteur alpha du folate (farlétuzumab ectéribuline)</li> </ul> </li> <li>○ Inhibiteur de FAK (défactinib, IN-10018)</li> <li>○ Inhibiteur de l'ADN topo-isomérase I (NLG-207)</li> <li>○ Inhibiteur de l'antigène de surface des leucocytes CD47 (AO-176, ligufalimab, PF-07901801)</li> <li>○ Inhibiteur de l'arginase-1 (numidargistat)</li> <li>○ Inhibiteur de l'ornithine décarboxylase (AMXT-1501 + éflornithine)</li> <li>○ Inhibiteur de la 5'-nucléotidase (ulilédlimab)</li> <li>○ Inhibiteur de la kinase 2 dépendante des cyclines (ebvaciclib, PF-07104091)</li> <li>○ Inhibiteur de la poly(ADP-ribose) polymérase-1 (céralasertib + olaparib)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine DKK1 (DKN-01)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine de choc thermique 90 (ganétespib)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine DLL4 (navicixizumab)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine kinase Wee1 (ZNC-3)</li> <li>○ Inhibiteur de la sérine/thréonine kinase ATR (berzosertib)</li> <li>○ Inhibiteur de la sérine/thréonine kinase CHK1 (ESP-01)</li> <li>○ Inhibiteur de la sérine/thréonine kinase mTOR (sapanisertib)</li> <li>○ Inhibiteur de la tubuline (docétaxel)</li> <li>○ Inhibiteur de MAPK14 (mésilate de ralimétinib)</li> <li>○ Inhibiteur de protéine à bromodomaine (FF-21101)</li> <li>○ Perturbateur de membranes cellulaires (AT-101)</li> <li>○ Produit de thérapie cellulaire (AVOVA-1)</li> <li>○ Produit de thérapie cellulaire avec modification génétique (divers)</li> <li>○ Vaccin (maveropepimut-S, vaccin à base du virus modifié de la vaccine Ankara, ombipepimut-S, UV1)</li> <li>○ Autre produit dont le MA n'a pas été divulgué (écubectédine)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que le rélaacorilant (un antagoniste du récepteur des glucocorticoïdes).</p>
<b>Reldésemtiv</b>		Consulter les renseignements à la section « masitinib ».

Médicament candidat émergent	Indication	Médicaments en cours d'essais de phase II et mécanisme d'action (MA)*
Resmétirom	Stéatohépatite non alcoolique (NASH); stéatose hépatique non alcoolique (NAFLD)	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Activateur de bêta-klotho (BOS-580, NN-9499)</li> <li>○ Activateur de la protéine kinase activée par l'adénosine monophosphate (PXL-770)</li> <li>○ Activateur du peptide semblable au glucagon-1 (BI-456906, éfinopégdutine)</li> <li>○ Agoniste du récepteur bêta des hormones thyroïdiennes (ASC-41, TERN-501, VK-2809)</li> <li>○ Agoniste du récepteur de l'acide biliaire (EDP-305, EYP-001, HPG-1860, TERN-101, tropifexor)</li> <li>○ Agoniste du récepteur des androgènes (LPCN-1144)</li> <li>○ Agoniste du récepteur du polypeptide inhibiteur gastrique (HM-15211)</li> <li>○ Agoniste du récepteur 1 du facteur de croissance des fibroblastes (éfruxifermine, MK-3655)</li> <li>○ Antagoniste de la chaîne epsilon de la glycoprotéine de surface des lymphocytes T CD3 (foralumab)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur de l'adénosine A3 (LJ-2698)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur des minéralocorticoïdes (apaparénone)</li> <li>○ Association (cénicriviroc + tropifexor, cilofexor + firsocostat, clésacostat + ervogastat, leucine + metformine + sildénafil)</li> <li>○ Inhibiteur de l'acétyl-CoA carboxylase (clésacostat, firsocostat)</li> <li>○ Inhibiteur de l'arachidonate 5-lipoxygénase (tipélukast)</li> <li>○ Inhibiteur de l'éotaxine (bertilimumab)</li> <li>○ Inhibiteur de la 11-bêta-hydroxystéroïde déshydrogénase de type 1 (AZD-4017)</li> <li>○ Inhibiteur de la 17-bêta-hydroxystéroïde déshydrogénase 13 (ARO-HSD)</li> <li>○ Inhibiteur de la chimiokine 24 à motif CC (CM-101)</li> <li>○ Inhibiteur de la diacylglycérol O-acyltransférase 2 (ervogastat, ION-224)</li> <li>○ Inhibiteur de la kétohéxokinase (PF-06835919)</li> <li>○ Inhibiteur de la NADPH oxydase (APX-115)</li> <li>○ Inhibiteur de la peptidyl-prolyl cis/trans isomérase A (rencofilstat)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine-glutamine gamma-glutamyltransférase 2 (ZED-1227)</li> <li>○ Inhibiteur de la serpène H1 (BMS-986263)</li> <li>○ Inhibiteur de lipopolysaccharides (IMM-124E)</li> <li>○ Inhibiteur de MAPK5 (sélonsertib)</li> <li>○ Inhibiteur du cotransporteur sodium-glucose 1 (licogliflozine)</li> <li>○ Inhibiteur du récepteur à activité tyrosine kinase UFO (bemcentinib)</li> <li>○ Inhibiteur du transporteur mitochondrial du pyruvate (PXL-065)</li> <li>○ Produit de thérapie cellulaire (HepaStem)</li> <li>○ Autre produit dont le MA n'a pas été divulgué (ADTP-02, AXA-1125, B-105, épéleuton, gemcabène, HTD-1801, HU-6, icosabutate, INA-010, LM-011, MBK-002, MSDC-0602K, nitazoxanide)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il y a d'autres médicaments (ASC-41, TERN-501, VK-2809) qui ont un MA semblable à celui du resmétirom (un agoniste du récepteur bêta des hormones thyroïdiennes) en cours d'essais de phase II pour cette indication.</p>
Séladelpar	Cholangite biliaire primitive (cirrhose biliaire primitive)	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Agoniste du récepteur 1 du facteur de croissance des fibroblastes (aldafermine)</li> <li>○ Agoniste du récepteur de l'acide biliaire (ASC-42 , TQA-3526 , ZG-5266)</li> <li>○ Antagoniste des récepteurs GABA de type A (golexanolone)</li> <li>○ Cotransporteur iléal des acides biliaires dépendant du sodium (volixibat)</li> <li>○ Inhibiteur de CD80 agissant sur l'activation antigénique des lymphocytes T (RhuDex)</li> <li>○ Inhibiteur de la bêta-caténine 1 (PRI-724)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que le séladelpar (un agoniste du PPARδ).</p>

Médicament candidat émergent	Indication	Médicaments en cours d'essais de phase II et mécanisme d'action (MA)*
<b>Setmélanotide</b>	Obésité	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Agoniste du récepteur de la calcitonine (cagrilintide)</li> <li>○ Agoniste du récepteur du peptide semblable au glucagon-1 (BI-456906, danuglipron, ecnoglutide, éfinopégdutine, LY-3502970, pégapamodutine, pemvidutine)</li> <li>○ Agoniste du récepteur du polypeptide inhibiteur gastrique (CT-868, rétatrutide)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur des glucocorticoïdes (miricorilant)</li> <li>○ Association (acarbose + orlistat; leucine + metformine + sildénafil; leucine + sildénafil)</li> <li>○ Inhibiteur de l'entéropeptidase (SCO-792)</li> <li>○ Autre produit dont le MA n'a pas été divulgué (Bittera, CBL-514, MBL-949, NN-9775, Nov-DB2, Novob, RZL-12)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que la setmélanotide (un inhibiteur du récepteur de la mélanocortine-4).</p>
<b>Sotatercept</b>	Hypertension artérielle pulmonaire (HAP)	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Agoniste du récepteur de la prostacycline (époprosténol pour inhalation, tréprosténil palmitil pour inhalation)</li> <li>○ Agoniste du récepteur 1 du peptide natriurétique auriculaire (ularitide)</li> <li>○ Inhibiteur d'histone désacétylase (acide valproïque)</li> <li>○ Inhibiteur de la calcineurine (tacrolimus)</li> <li>○ Inhibiteur de la dopamine-bêta-hydroxylase (zamicastat)</li> <li>○ Inhibiteur de la phosphodiesterase cyclique 3',5' spécifique du GMPc (vardénafil pour inhalation)</li> <li>○ Inhibiteur de la tryptophane-5-monoxygénase (rodatristat)</li> <li>○ Inhibiteur du récepteur du facteur 1 de stimulation des macrophages (séralutinib)</li> <li>○ Remplacement de l'ACE-2 (APN-01)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que le sotatercept (une protéine de fusion ActRIIA-Fc).</p>
<b>Soticlestat</b>	Syndrome de Lennox-Gastaut, syndrome de Dravet (épilepsie myoclonique sévère du nourrisson)	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Agoniste du récepteur 2C de la 5-hydroxytryptamine (LP-352)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur métabotropique du glutamate 1 (JBPOS-0101)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication qui a le même MA que le soticlestat (un inhibiteur de l'enzyme cholestérol 24-hydroxylase).</p>
<b>Spésolimab*</b>	Psoriasis pustuleux généralisé (PPG)	<p>À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication.</p>

Médicament candidat émergent	Indication	Médicaments en cours d'essais de phase II et mécanisme d'action (MA)*
Trémélimumab	Carcinome hépatocellulaire	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Activateur de C/EBP alpha (MTL-CEBPA)</li> <li>○ Activateur de l'interféron bêta (Voyager-V1)</li> <li>○ Activateur de la protéine STING (CDK-002, IMSA-101, SB-11285)</li> <li>○ Activateur du céréblon (avodomide)</li> <li>○ Agent d'appauvrissement en arginine (BCT-100)</li> <li>○ Agoniste de la sous-unité alpha du récepteur de l'interleukine-15 (SOT-101)</li> <li>○ Agoniste du costimulateur inductible des lymphocytes T (alomfilimab)</li> <li>○ Agoniste du récepteur de l'interleukine-12 (BMS-986415)</li> <li>○ Agoniste du récepteur de l'interleukine-2 (ANV-419, BNT-151, SAR-444245)</li> <li>○ Agoniste du récepteur de l'interleukine-27 (SRF-388)</li> <li>○ Agoniste du récepteur 1 de l'interleukine-18 (ST-067)</li> <li>○ Agoniste du récepteur de type Toll 9 (SD-101)</li> <li>○ Antagoniste du membre 1 de la sous-famille B des récepteurs de type immunoglobuline leucocytaire (SAR-444881)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur à activité tyrosine kinase ErbB3 (HMBD-001)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur alpha activé par les proliférateurs des peroxysomes (TPST-1120)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur de chimiokines CC de type 2 (BMS-813160)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur de la transferrine de type 1 (CX-2029)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur des opioïdes (métenkefaline)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur du facteur de croissance épidermique (EMB-01, FMAB-2)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur 4 du facteur de croissance des fibroblastes (roblitinib)</li> <li>○ Cytotoxique pour les cellules exprimant : <ul style="list-style-type: none"> <li>• l'antigène CD276 (MGC-018)</li> <li>• la fibronectine (dodekin)</li> <li>• la glycoprotéine trophoblastique (naptumomab estafénatox)</li> <li>• la molécule 1 d'adhésion intercellulaire (gébasaxturev)</li> <li>• la stabilin-1 (bexmarilimab)</li> <li>• le glypican-3 (codrituzumab)</li> <li>• le récepteur du facteur de croissance épidermique (AFM-241)</li> </ul> </li> <li>○ Inhibiteur d'histone désacétylase (téfinostat)</li> <li>○ Inhibiteur de CD80 agissant sur l'activation antigénique des lymphocytes T (BA-3071)</li> <li>○ Inhibiteur de KIT (MG-010 + sorafénib)</li> <li>○ Inhibiteur de l'ADN polymérase (fostroxacitabine bralpamide)</li> <li>○ Inhibiteur de la kinase Aurora A (TT-00420)</li> <li>○ Inhibiteur de la kinase dépendante des cyclines 1 (milciclib)</li> <li>○ Inhibiteur de la kinase dépendante des cyclines 2 (fadracliclib)</li> <li>○ Inhibiteur de la lectine 15 de type Ig liant l'acide sialique (NC-318)</li> <li>○ Inhibiteur de la Na<sup>+</sup>/K<sup>+</sup>-ATPase (RX-108)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine DKK1 (DKN-01)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine kinase à double spécificité TTK (NMS-153)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine LAG3 (INCAGN-2385)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine tyrosine phosphatase de type IVA, membre 3 (PRL3-ZUMAB)</li> <li>○ Inhibiteur de la protéine 4 associée aux lymphocytes T cytotoxiques (ADG-126, BMS-986249, ONC-392, PSB-205, zalifrélimab)</li> <li>○ Inhibiteur de la sérine/thréonine kinase mTOR (sapanisertib)</li> <li>○ Inhibiteur de la sérine/thréonine kinase PLK1 (CYC-140)</li> <li>○ Inhibiteur de la sérine/thréonine kinase 1 interagissant avec les MAPK (tomivosertib)</li> <li>○ Inhibiteur de la sous-unité catalytique delta de la phosphatidylinositol-4,5-bisphosphate 3-kinase (BGB-10188)</li> </ul>

Médicament candidat émergent	Indication	Médicaments en cours d'essais de phase II et mécanisme d'action (MA)*
<b>Trémélimumab (suite)</b>	Carcinome hépatocellulaire	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Inhibiteur de la synthèse de l'ADN (cisplatine + vinblastine; éovofosamide, tirapazamine)</li> <li>○ Inhibiteur de la transcriptase inverse de la télomérase (KML-001)</li> <li>○ Inhibiteur de MAP4K1 (CFI-402411, PRJ-13024)</li> <li>○ Inhibiteur de TBLIX se liant aux protéines de type boîte F/à répétition de motifs WD (tégavivint)</li> <li>○ Inhibiteur du facteur de transcription ATF 5 dépendant de l'AMP cyclique (ST-101)</li> <li>○ Inhibiteur du facteur nucléaire kappa-B (ACT-001)</li> <li>○ Inhibiteur du facteur 15 de croissance et de différenciation (visugromab)</li> <li>○ Inhibiteur du ligand de mort cellulaire programmée de type 1 (HB-0036, INCB-86550, spartalizumab)</li> <li>○ Inhibiteur du membre C3 de la famille 1 des aldo-céto réductases (TH-3424)</li> <li>○ Inhibiteur du proto-oncogène Myc (OTX-2002)</li> <li>○ Inhibiteur du récepteur de TGF-β1 (galunisertib)</li> <li>○ Inhibiteur du récepteur du facteur de croissance des hépatocytes (TPX-0022)</li> <li>○ Inhibiteur du récepteur de la sérine/thréonine kinase R3 (ascrinvacumab)</li> <li>○ Inhibiteur de l'interleukine-8 (BMS-986253)</li> <li>○ Inhibiteur de la bêta-caténine 1 (PRI-724)</li> <li>○ Produit de thérapie cellulaire (divers, lymphocytes T activés; Ilixadencel, NRT-01)</li> <li>○ Produit de thérapie génique avec modification génétique (divers, BOXR-1030, ET-1402, cellules CART B7H3 entièrement humaines, IMA-203CD8, JWATM-204, LIOCYXM-004, SCG-101)</li> <li>○ Vaccin (GNOSPV-02, IMA-970A, maveropepimut-S, ombipepimut-S, TAEK-VAC)</li> <li>○ Autre produit dont le MA n'a pas été divulgué (ABX-196, écubectédine, foslinanib, OC-001, phosphoéthanolamine, PM-8003, SAR-444200)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il y a d'autres médicaments (ADG-126, BMS-986249, ONC-392, PSB-205, zalifrélimab) qui ont un MA semblable à celui du trémélimumab (un inhibiteur de la protéine 4 associée aux lymphocytes T cytotoxiques) en cours d'essais de phase II pour cette indication.</p>
<b>Ulotaront</b>	Schizophrénie	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Activateur du membre 1 de la sous-famille C des canaux potassiques dépendants du voltage (AUT00206)</li> <li>○ Agoniste du récepteur cannabinoïde 1 (cannabidiol)</li> <li>○ Agoniste du récepteur d'acétylcholine muscarinique M4 (emraclidine)</li> <li>○ Antagoniste des récepteurs alpha-2 adrénergiques (TR-01)</li> <li>○ Antagoniste des récepteurs de type 2 de la 5-hydroxytryptamine (ilopéridone injectable à action prolongée)</li> <li>○ Antagoniste du récepteur dopaminergique D1A (tétrahydropalamate)</li> <li>○ Inhibiteur de la D-aminoacide oxydase (RSD-7)</li> <li>○ Inhibiteur de la phosphodiesterase cyclique 3',5' 10A de l'AMPc et du GMPc inhibé par l'AMPc (MK-8189)</li> <li>○ Inhibiteur du transporteur 1 de la glycine dépendant des ions sodium et chlore (bitopertine)</li> </ul> <p>À l'heure actuelle, il y a un autre médicament (ralmitaront) qui a un MA semblable à celui de l'ulotaront (un agoniste du TAAR1) en cours d'essais de phase II pour cette indication.</p>
<b>Zolbétuximab</b>		Consulter les renseignements à la section « bémarituzumab ».
<b>Zoliflodacine</b>	Gonorrhée urétrale et cervicale non compliquée	À l'heure actuelle, il n'y a pas d'autre médicament en cours d'essais de phase II pour cette indication.

\* En cours d'examen par Santé Canada.

Abréviations : ACE : enzyme de conversion de l'angiotensine; ADN : acide désoxyribonucléique; ASA : acide acétylsalicylique; Bcl-2 : B-cell lymphoma 2; BIR : baculovirus IAP repeat; BTK : tyrosine kinase de Bruton; C/EBP : CCAAT/enhancer binding protein; CETP : protéine de transfert des esters de cholestérol; CREB : protéine de liaison à l'élément de réponse à l'AMPc; DKK1 : Dickkopf related protein 1; DLL4 : delta-like protein 4; GABA : gamma-aminobutyric acid; FAK : focal adhesion kinase; IgG : immunoglobuline de type G; JAK : Janus kinase; KIT : mast/stem cell growth factor receptor; LAG3 : lymphocyte activation gene 3 protein; LOXL2 : lysyl oxidase homolog 2; MA : mécanisme d'action; MAPK : mitogen-activated protein kinase; MCP : membrane cofactor protein; PPAR : récepteur activé par les proliférateurs des peroxyosomes; SNC : système nerveux central; STING : stimulator of interferon genes; TAAR1 : récepteur 1 associé aux amines traces.

Sources des données : Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022).



# REFERENCES

- 1 Clinical Development Success Rates 2006-2015. <https://www.bio.org/sites/default/files/legacy/bioorg/docs/Clinical%20Development%20Success%20Rates%202006-2015%20-%20BIO,%20Biomedtracker,%20Amplion%202016.pdf> (consulté le 13 janvier 2023).
- 2 Présentations de médicaments et de produits de santé en cours d'examen (PCE). <https://www.canada.ca/fr/sante-canada/services/examen-et-approbation-medicaments-et-produit-sante/presentations-cours-examen/presentations-drogues-cours-examen.html>
- 3 Anthos Therapeutics Announces that Abrelacimab Has Received FDA Fast Track Designation for the Prevention of Stroke and Systemic Embolism in Patients with Atrial Fibrillation. 8 septembre 2022. <https://www.globenewswire.com/news-release/2022/09/08/2512472/0/en/Anthos-Therapeutics-Announces-that-Abrelacimab-Has-Received-FDA-Fast-Track-Designation-for-the-Prevention-of-Stroke-and-Systemic-Embolism-in-Patients-with-Atrial-Fibrillation.html>
- 4 Verhamme P, Yi BA, Segers A, Salter J, Bloomfield D, et al. *Abrelacimab for Prevention of Venous Thromboembolism*. N Engl J Med. 2021 Aug 12;385(7):609-617. doi: 10.1056/NEJMoa2105872. Epub 2021 Jul 19.
- 5 Li T, Liu J, Wu W. *Factor XI, a potential target for anticoagulation therapy for venous thromboembolism*. Front Cardiovasc Med. 2022 Oct 31;9:975767. doi: 10.3389/fcvm.2022.975767. eCollection 2022.
- 6 Gómez-Outes A, Suárez-Gea ML, Pérez-Cabeza AI, García-Pinilla JM. *Pharmacotherapy for stroke prevention in nonvalvular atrial fibrillation: current strategies and future directions*. Expert Opin Pharmacother. 2022 Nov 17. doi: 10.1080/14656566.2022.2149323. Publié en ligne avant impression.
- 7 A Multicenter, Randomized, Open-label, Blinded Endpoint Evaluation, Phase 3 Study Comparing the Effect of Abrelacimab Relative to Apixaban on Venous Thromboembolism (VTE) Recurrence and Bleeding in Patients With Cancer Associated VTE. NCT05171049 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05171049?term=Abrelacimab&draw=2&rank=2>
- 8 A Multicenter, Randomized, Open-label, Blinded Endpoint Evaluation, Phase 3 Study Comparing the Effect of Abrelacimab vs. Dalteparin on Venous Thromboembolism (VTE) Recurrence and Bleeding in Patients With GI/GU Associated VTE. NCT05171075 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05171075?term=Abrelacimab&draw=2&rank=3>
- 9 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 10 McCoy EK, Lisenby KM. *Aprocitentan (a Dual Endothelin-Receptor Antagonist) for Treatment-Resistant Hypertension*. J Cardiovasc Pharmacol. 2021 Jun 1;77(6):699-706. doi: 10.1097/FJC.0000000000001023.
- 11 Schlaich MP, Bellet M, Weber MA, Danaïetash P, Bakris GL, et al; PRECISION investigators. *Dual endothelin antagonist aprocitentan for resistant hypertension (PRECISION): a multicentre, blinded, randomised, parallel-group, phase 3 trial*. Lancet. 2022 Nov 4:S0140-6736(22)02034-7. doi: 10.1016/S0140-6736(22)02034-7. Publié en ligne avant impression.
- 12 Late-Breaking Data from Pivotal Phase 3 PRECISION Study Demonstrates Significant and Sustained Effect of Aprocitentan on Lowering Blood Pressure for Patients with Difficult-to-Control Hypertension. 7 novembre 2022. <https://www.jnj.com/late-breaking-data-from-pivotal-phase-3-precision-study-demonstrates-significant-and-sustained-effect-of-aprocitentan-on-lowering-blood-pressure-for-patients-with-difficult-to-control-hypertension#:~:text=Specifically%2C%20after%204%20weeks%2C%20aprocitentan,6.8%2C%202D0.8%3B%20p%20%3D>
- 13 Höcht C, Allo MA, Polizio AH, Morettón MA, et al. *New and developing pharmacotherapies for hypertension*. Expert Rev Cardiovasc Ther. 2022 Aug;20(8):647-666. doi: 10.1080/14779072.2022.2105204. Epub 2022 Aug 3.
- 14 Idorsia submits a New Drug Application to the US FDA for aprocitentan for the treatment of patients with difficult-to-control hypertension. 20 décembre 2022. <https://www.biospace.com/article/releases/idorsia-submits-a-new-drug-application-to-the-us-fda-for-aprocitentan-for-the-treatment-of-patients-with-difficult-to-control-hypertension/>
- 15 Multi-center, Blinded, Randomized Study With Aprocitentan in Subjects With Uncontrolled Blood Pressure and Chronic Kidney Disease Stage 3 or 4. NCT04162366 (Withdrawn [A business decision was made to not initiate this study]). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04162366?term=Aprocitentan&phase=2&draw=2&rank=1>
- 16 Multi-center, Blinded, Randomized, Parallel-group, Phase 3 Study With Aprocitentan in Subjects With Resistant Hypertension (RHT). NCT03541174 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03541174?term=Aprocitentan&phase=2&draw=2&rank=2>
- 17 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 18 Weintraub S, Frishman WH. *A Novel Calcium Channel Blocker: Etripamil: What is the Future of Intranasal Drug Delivery in the Treatment of Cardiac Arrhythmias?* Cardiol Rev. 2021 Sep-Oct 01;29(5):253-258. doi: 10.1097/CRD.0000000000000362.

- 19 An Open Label Extension Study of Etripamil Nasal Spray in Patients With Paroxysmal Supraventricular Tachycardia. NCT04952610 (Enrolling by invitation). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04952610?term=Etripamil&phase=2&draw=2&rank=2>
- 20 RAPID: Positive Top-line Results for Etripamil Nasal Spray in Paroxysmal SVT. 17 octobre 2022. <https://www.tctmd.com/news/rapid-positive-top-line-results-etripamil-nasal-spray-paroxysmal-svt>
- 21 Kashou AH, Noseworthy PA. *Etripamil nasal spray: an investigational agent for the rapid termination of paroxysmal supraventricular tachycardia (SVT)*. Expert Opin Investig Drugs. 2020 Jan;29(1):1-4. doi: 10.1080/13543784.2020.1703180. Epub 2019 Dec 12.
- 22 Multi-Centre, Open-Label, Safety Study of Etripamil Nasal Spray in Spontaneous Episodes of Paroxysmal Supraventricular Tachycardia The NODE-302 Trial (Extension of NODE-301). NCT03635996 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03635996?term=Etripamil&phase=2&draw=2&rank=4>
- 23 The NODE-303 Study: Multi-Centre, Multi-National, Open Label, Safety Study of Etripamil Nasal Spray for Patients With Paroxysmal Supraventricular Tachycardia. NCT04072835 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04072835?term=Etripamil&phase=2&draw=2&rank=1>
- 24 Multi-Center, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Efficacy and Safety Study of Etripamil Nasal Spray Self-Administration for the Termination of Spontaneous Episodes of Paroxysmal Supraventricular Tachycardia in Chinese Patients. NCT05410860 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05410860?term=Etripamil&phase=2&draw=2&rank=3>
- 25 Multi-Centre, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Efficacy, and Safety Study of Etripamil Nasal Spray for the Termination of Spontaneous Episodes of Paroxysmal Supraventricular Tachycardia. NODE 301 Trial. NCT03464019 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03464019?term=Etripamil&phase=2&draw=2&rank=5>
- 26 An Open Label Extension Study of Etripamil Nasal Spray in Patients With Paroxysmal Supraventricular Tachycardia. NCT04952610 (Enrolling by invitation). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04952610?term=Etripamil&phase=2&draw=2&rank=2>
- 27 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 28 Nurmohamed NS, Ditmarsch M, Kastelein JJP. *Cholesteryl ester transfer protein inhibitors: from high-density lipoprotein cholesterol to low-density lipoprotein cholesterol lowering agents?* Cardiovasc Res. 2022 Nov 10;118(14):2919-2931. doi: 10.1093/cvr/cvab350.
- 29 Obicetrapib decreases LDL, increases HDL in phase 2 trial. 2 septembre 2022. <https://www.healio.com/news/cardiology/20220909/obicetrapib-decreases-ldl-increases-hdl-in-phase-2-trial>
- 30 Obicetrapib decreases LDL, increases HDL in phase 2 trial. 2 septembre 2022. <https://www.healio.com/news/cardiology/20220909/obicetrapib-decreases-ldl-increases-hdl-in-phase-2-trial>
- 31 A Placebo-Controlled, Double-Blind, Randomized, Phase 3 Study to Evaluate the Effect of 10 mg Obicetrapib in Participants With a History of HeFH Who Are Not Adequately Controlled by Their Lipid Modifying Therapies. NCT05425745 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05425745?term=Obicetrapib&phase=2&draw=2&rank=1>
- 32 A Placebo-Controlled, Double-Blind, Randomized Phase 3 Study to Evaluate the Effect of 10mg Obicetrapib in Participants With HeFH and/or ASCVD Who Are Not Adequately Controlled by Their Lipid Modifying Therapies. NCT05142722 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05142722?term=Obicetrapib&phase=2&draw=2&rank=2>
- 33 Placebo Controlled, Double Blind, Randomized Cardiovascular Outcome Study to Evaluate the Effect of 10 mg Obicetrapib in Participants With ASCVD Not Adequately Controlled Despite Maximally Tolerated Lipid Modifying Therapies. NCT05202509 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05202509?term=Obicetrapib&phase=2&draw=2&rank=3>
- 34 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 35 Rayroux C, Lador F, Soccal PM, Plojoux J, Adler D. Nouveautés en médecine 2021 : *Pneumologie*. Rev Med Suisse. 2022 Jan 19;18(764-5):64-68. doi: 10.53738/REVMED.2022.18.764-65.64.
- 36 Merck Announces Positive Top-line Results from Pivotal Phase 3 STELLAR Trial Evaluating Sotatercept for the Treatment of Adults with Pulmonary Arterial Hypertension (PAH). 10 octobre 2022. <https://www.merck.com/news/merck-announces-positive-top-line-results-from-pivotal-phase-3-stellar-trial-evaluating-sotatercept-for-the-treatment-of-adults-with-pulmonary-arterial-hypertension-pah/>
- 37 Hoepfer MM, Badesch DB, Ghofrani HA, Gibbs JSR, Gomberg-Maitland M, et al. Phase 3 Trial of Sotatercept for Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension. N Engl J Med. 2023 Mar 6. doi: 10.1056/NEJMoa2213558. Publié en ligne avant impression.
- 38 Sotatercept- the breakthrough PAH has been waiting for? 10 novembre 2022.

- <https://www.clinicaltrialsarena.com/comment/sotatercept-breakthrough-pah/>
- 39 An Open-label Long-term Follow-up Study to Evaluate the Effects of Sotatercept When Added to Background Pulmonary Arterial Hypertension (PAH) Therapy for the Treatment of PAH. NCT04796337 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04796337?term=Sotatercept&phase=2&draw=2&rank=1>
- 40 A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study to Evaluate Sotatercept When Added to Maximum Tolerated Background Therapy in Participants With Pulmonary Arterial Hypertension (PAH) World Health Organization (WHO) Functional Class (FC) III or FC IV at High Risk Mortality. NCT04896008 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04896008?term=Sotatercept&phase=2&draw=2&rank=2>
- 41 A Phase 3, Randomized, Double-blind, Placebo-controlled Study to Evaluate Sotatercept When Added to Background Pulmonary Arterial Hypertension (PAH) Therapy in Newly Diagnosed Intermediate- and High-risk PAH Patients. NCT04811092 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04811092?term=Sotatercept&phase=2&draw=2&rank=3>
- 42 A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study to Compare the Efficacy and Safety of Sotatercept Versus Placebo When Added to Background Pulmonary Arterial Hypertension (PAH) Therapy for the Treatment of PAH. NCT04576988 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04576988?term=Sotatercept&phase=2&draw=2&rank=4>
- 43 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 44 von Hundelshausen P, Siess W. *Bleeding by Bruton Tyrosine Kinase-Inhibitors: Dependency on Drug Type and Disease*. *Cancers* (Basel). 2021 Mar 4;13(5):1103. doi: 10.3390/cancers13051103.
- 45 Schneider R, Oh J. *Bruton's Tyrosine Kinase Inhibition in Multiple Sclerosis*. *Curr Neurol Neurosci Rep*. 2022 Nov;22(11):721-734. doi: 10.1007/s11910-022-01229-z. Epub 2022 Oct 27.
- 46 Merck KGaA, Darmstadt, Germany Highlights New Data for Evobrutinib, First BTKi to Demonstrate Sustained Clinical Benefit for People with RMS through Three and a Half Years of Treatment. 26 octobre 2022. <https://www.emdgroup.com/en/news/evobrutinib-26-10-2022.html>
- 47 A Phase III, Multicenter, Randomized, Parallel Group, Double Blind, Double Dummy, Active Controlled Study of Evobrutinib Compared With an Interferon Beta 1a (Avonex®), in Participants With RMS to Evaluate Efficacy and Safety. NCT04032171 (terminated early and comparator changed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04032171?term=Evobrutinib&phase=2&draw=2&rank=1>
- 48 A Phase III, Multicenter, Randomized, Parallel Group, Double Blind, Double Dummy, Active Controlled Study of Evobrutinib Compared With an Interferon Beta 1a (Avonex®), in Participants With Relapsing Multiple Sclerosis to Evaluate Efficacy and Safety. NCT04032158 (terminated early and comparator changed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04032158?term=Evobrutinib&phase=2&draw=2&rank=2>
- 49 A Phase III, Multicenter, Randomized, Parallel Group, Double Blind, Double Dummy, Active Controlled Study of Evobrutinib Compared With Teriflunomide, in Participants With Relapsing Multiple Sclerosis to Evaluate Efficacy and Safety (evolutionRMS 2). NCT04338061 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04338061?term=Evobrutinib&phase=2&draw=2&rank=3>
- 50 A Phase III, Multicenter, Randomized, Parallel Group, Double Blind, Double Dummy, Active Controlled Study of Evobrutinib Compared With Teriflunomide, in Participants With Relapsing Multiple Sclerosis to Evaluate Efficacy and Safety (evolutionRMS 1). NCT04338022 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04338022?term=Evobrutinib&phase=2&draw=2&rank=4>
- 51 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 52 Phase 3 Trial of Reldesemtiv in ALS Announced. 11 août 2021. <https://www.neurologylive.com/view/phase-3-trial-reldesemtiv-als-announced>
- 53 Reldesemtiv Earns FDA's Orphan Drug Designation for ALS Treatment. 19 décembre 2019. <https://alsnewstoday.com/news/reldesemtiv-earns-fdas-orphan-drug-designation-for-als-treatment/>
- 54 Cytokinetics Updates Phase 3 COURAGE-ALS Trial of Reldesemtiv. 14 décembre 2021. <https://alsnewstoday.com/news/moderate-to-fast-progressing-als-courage-als-trial-patients-reldesemtiv-cytokinetics/>
- 55 Shefner JM, Andrews JA, Genge A, Jackson C, Lechtzin N, et al. *A Phase 2, Double-Blind, Randomized, Dose-Ranging Trial Of Reldesemtiv In Patients With ALS*. *Amyotroph Lateral Scler Frontotemporal Degener*. 2021 May;22(3-4):287-299. doi: 10.1080/21678421.2020.1822410. Epub 2020 Sep 24.
- 56 Cytokinetics Updates Phase 3 COURAGE-ALS Trial of Reldesemtiv. 14 décembre 2021. <https://alsnewstoday.com/news/moderate-to-fast-progressing-als-courage-als-trial-patients-reldesemtiv-cytokinetics/>
- 57 Shefner JM, Andrews JA, Genge A, Jackson C, Lechtzin N, et al. *A Phase 2, Double-Blind, Randomized, Dose-Ranging Trial*

- Of Reldesemtiv In Patients With ALS*. Amyotroph Lateral Scler Frontotemporal Degener. 2021 May;22(3-4):287-299. doi: 10.1080/21678421.2020.1822410. Epub 2020 Sep 24.
- 58 Rudnicki SA, Andrews JA, Genge A, Jackson C, Lechtzin N, et al; FORTITUDE-ALS STUDY GROUP. *Prescription and acceptance of durable medical equipment in FORTITUDE-ALS, a study of reldesemtiv in ALS: post hoc analyses of a randomized, double-blind, placebo-controlled clinical trial*. Amyotroph Lateral Scler Frontotemporal Degener. 2022 May;23(3-4):263-270. doi: 10.1080/21678421.2021.1946083. Epub 2021 Jul 5.
- 59 A Phase 3, Multi-Center, Double-Blind, Randomized, Placebo-Controlled Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of Reldesemtiv in Patients With Amyotrophic Lateral Sclerosis (ALS). NCT04944784 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04944784?term=Reldesemtiv&phase=2&draw=2&rank=1>
- 60 A Phase 3, Open-Label Extension of COURAGE-ALS (CY 5031). NCT05442775 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05442775?term=Reldesemtiv&phase=2&draw=2&rank=2>
- 61 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 62 Soticlestat, A New Potential Treatment for Epilepsy It Inhibits Cholesterol Catabolism. 7 juillet 2022. [https://journals.lww.com/neurotodayonline/Fulltext/2022/07070/Soticlestat,\\_A\\_New\\_Potential\\_Treatment\\_for.9.aspx](https://journals.lww.com/neurotodayonline/Fulltext/2022/07070/Soticlestat,_A_New_Potential_Treatment_for.9.aspx)
- 63 Nishi T, Metcalf CS, Fujimoto S, Hasegawa S, Miyamoto M, et al. *Anticonvulsive properties of soticlestat, a novel cholesterol 24-hydroxylase inhibitor*. Epilepsia. 2022 Jun;63(6):1580-1590. doi: 10.1111/epi.17232. Epub 2022 Mar 30.
- 64 Hahn CD, Jiang Y, Villanueva V, Zolnowska M, Arkilo D, et al. *A phase 2, randomized, double-blind, placebo-controlled study to evaluate the efficacy and safety of soticlestat as adjunctive therapy in pediatric patients with Dravet syndrome or Lennox-Gastaut syndrome (ELEKTRA)*. Epilepsia. 2022 Oct;63(10):2671-2683. doi: 10.1111/epi.17367. Epub 2022 Aug 4.
- 65 A Phase 3, Prospective, Open-Label, Multisite, Extension of Phase 3 Studies To Assess the Long-Term Safety and Tolerability of Soticlestat as Adjunctive Therapy in Subjects With Dravet Syndrome or Lennox-Gastaut Syndrome (ENDYMION 2). NCT05163314 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05163314?term=Soticlestat&phase=2&draw=2&rank=1>
- 66 A Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Parallel Group Study to Evaluate the Efficacy, Safety, and Tolerability of Soticlestat as Adjunctive Therapy in Pediatric and Young Adult Subjects With Dravet Syndrome (DS). NCT04940624 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04940624?term=Soticlestat&phase=2&draw=2&rank=2>
- 67 A Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Parallel Group Study to Evaluate the Efficacy, Safety, and Tolerability of Soticlestat as Adjunctive Therapy in Pediatric and Adult Subjects With Lennox-Gastaut Syndrome (LGS). NCT04938427 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04938427?term=Soticlestat&phase=2&draw=2&rank=3>
- 68 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 69 Koblan KS, Kent J, Hopkins SC, Krystal JH, Cheng H, et al. *A Non-D2-Receptor-Binding Drug for the Treatment of Schizophrenia*. N Engl J Med. 2020 Apr 16;382(16):1497-1506. doi: 10.1056/NEJMoa1911772.
- 70 Kane JM. *A New Treatment Paradigm: Targeting Trace Amine-Associated Receptor 1 (TAAR1) in Schizophrenia*. J Clin Psychopharmacol. 2022 Sep-Oct 01;42(5 Suppl 1):S1-S13. doi: 10.1097/JCP.0000000000001596.
- 71 Synan C, Bowen C, Heal DJ, Froger-Colléaux C, Beardsley PM, et al. *Ulotaront, a novel TAAR1 agonist with 5-HT1A agonist activity, lacks abuse liability and attenuates cocaine cue-induced relapse in rats*. Drug Alcohol Depend. 2022 Feb 1;231:109261. doi: 10.1016/j.drugalcdep.2021.109261. Epub 2021 Dec 31.
- 72 A 52-week, Open-label Study to Evaluate the Long-term Safety and Tolerability of SEP-363856 in Patients With Schizophrenia in Japan. NCT05359081 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05359081?term=SEP-363856&phase=2&draw=2&rank=1>
- 73 An 8-Week, Open-Label Study Evaluating the Effectiveness, Safety and Tolerability of SEP-363856 in Subjects With Schizophrenia Switched From Typical or Atypical Antipsychotic Agents. NCT05628103 (not yet recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05628103?term=SEP-363856&phase=2&draw=2&rank=2>
- 74 An Open-label Extension Study to Assess the Safety and Tolerability of SEP-363856 in Subjects With Schizophrenia. NCT04109950 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04109950?term=SEP-363856&phase=2&draw=2&rank=3>
- 75 A Randomized, Double-blind, Parallel-group, Placebo-controlled, Fixed-dose, Multicenter Study to Evaluate the Efficacy and Safety of SEP-363856 in Acutely Psychotic Subjects With Schizophrenia. NCT04092686 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/>

[NCT04092686?term=SEP-363856&phase=2&draw=2&rank=4](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04092686?term=SEP-363856&phase=2&draw=2&rank=4)

- 76 A Randomized, Double-blind, Parallel-group, Placebo-controlled, Fixed-dose, Multicenter Study to Evaluate the Efficacy and Safety of SEP-363856 in Acutely Psychotic Subjects With Schizophrenia. NCT04072354 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04072354?term=SEP-363856&phase=2&draw=2&rank=5>
- 77 A Randomized, Double-blind, Active Comparator-Controlled Study to Evaluate the Long-term Safety and Tolerability of SEP-363856 in Subjects With Schizophrenia. NCT04115319 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04115319?term=SEP-363856&phase=2&draw=2&rank=6>
- 78 A Randomized, Double-blind, Parallel-group, Placebo Controlled, Fixed-dose, Multicenter Study to Evaluate the Efficacy and Safety of SEP 363856 in Acutely Psychotic Patients With Schizophrenia, Followed by an Open-label Extension Phase. NCT04825860 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04825860?term=SEP-363856&phase=2&draw=2&rank=8>
- 79 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 80 Vyjuvek (Beremagene Geperpavec). Dernière mise à jour : 1<sup>er</sup> avril 2022. <https://epidermolysisbullosanews.com/kb103/>
- 81 A Phase III Double Blinded, Placebo-Controlled, Efficacy and Safety Study of Beremagene Geperpavec (B-VEC, Previously "KB103") for the Treatment of Dystrophic Epidermolysis Bullosa (DEB). NCT04491604 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04491604?term=B-VEC&cond=Dystrophic+Epidermolysis+Bullosa&draw=2&rank=1>
- 82 Guide SV, Gonzalez ME, Bağcı IS, Agostini B, Chen H, et al. Trial of Beremagene Geperpavec (B-VEC) for Dystrophic Epidermolysis Bullosa. *N Engl J Med*. 2022 Dec 15;387(24):2211-2219. doi: 10.1056/NEJMoa2206663.
- 83 Vyjuvek (Beremagene Geperpavec). Dernière mise à jour : 1<sup>er</sup> avril 2022. <https://epidermolysisbullosanews.com/kb103/>
- 84 Efficacy of Beremagene Geperpavec in Patients With Dystrophic Epidermolysis Bullosa. 29 décembre 2022. <https://www.practiceupdate.com/content/efficacy-of-beremagene-geperpavec-in-patients-with-dystrophic-epidermolysis-bullosa/146343>
- 85 Open Label Treatment of Beremagene Geperpavec (B-VEC). NCT04917874 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04917874?term=NCT04917874&draw=2&rank=1>
- 86 Fraile JM, Palliyil S, Barelle C, Porter AJ, Kovaleva M. *Non-Alcoholic Steatohepatitis (NASH) - A Review of a Crowded Clinical Landscape, Driven by a Complex Disease*. *Drug Des Devel Ther*. 2021 Sep 22;15:3997-4009. doi: 10.2147/DDDT.S315724. eCollection 2021.
- 87 Younossi ZM, Stepanova M, Taub RA, Barbone JM, Harrison SA. *Hepatic Fat Reduction Due to Resmetirom in Patients With Nonalcoholic Steatohepatitis Is Associated With Improvement of Quality of Life*. *Clin Gastroenterol Hepatol*. 2022 Jun;20(6):1354-1361.e7. doi: 10.1016/j.cgh.2021.07.039. Epub 2021 Jul 27.
- 88 Positive Topline Phase 3 MAESTRO-NAFLD-1 Data Demonstrate Resmetirom was Safe, Well-Tolerated and Provided Statistically Significant Improvements in Key Measures of Liver and Cardiovascular Health. 31 janvier 2022. <https://ir.madrigalpharma.com/news-releases/news-release-details/positive-topline-phase-3-maestro-nafld-1-data-demonstrate>
- 89 A 52-Week, Phase 3, Open-Label Extension Study, With a Single-blind Lead-in, to Evaluate Safety and Biomarkers of Resmetirom (MGL-3196) in Patients With Non-alcoholic Fatty Liver Disease (NAFLD), MAESTRO-NAFLD-Open-Label-Extension (MAESTRO-NAFLD-OLE). NCT04951219 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04951219?term=Resmetirom&phase=2&draw=2&rank=1>
- 90 A 52-Week, Phase 3 Study to Evaluate Safety and Biomarkers of Resmetirom (MGL-3196) in Patients With Non-alcoholic Fatty Liver Disease (NAFLD) (MAESTRO-NAFLD-1). NCT04197479 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04197479?term=Resmetirom&phase=2&draw=2&rank=2>
- 91 A Randomized Double-blind Placebo-controlled Phase 3 Study to Evaluate the Effect of Resmetirom on Liver-related Outcomes in Patients With Well-compensated (Child-Pugh A) Non-alcoholic Steatohepatitis (NASH) Cirrhosis (MAESTRO-NASH OUTCOMES). NCT05500222 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05500222?term=Resmetirom&phase=2&draw=2&rank=3>
- 92 A Phase 3, Multinational, Double-Blind, Randomized, Placebo-Controlled Study of MGL-3196 (Resmetirom) in Patients With NASH and Fibrosis to Resolve NASH and Reduce Progression to Cirrhosis and/or Hepatic Decompensation. NCT03900429 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03900429?term=Resmetirom&phase=2&draw=2&rank=4>
- 93 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 94 Kremer AE, Mayo MJ, Hirschfield G, Levy C, Bowlus CL, et al. *Seladelpar improved measures of pruritus, sleep, and fatigue and decreased serum bile acids in patients with primary biliary cholangitis*. *Liver Int*. 2022 Jan;42(1):112-123. doi: 10.1111/liv.15039. Epub 2021 Aug 26.

- <sup>95</sup> Kremer AE, Mayo MJ, Hirschfield G, Levy C, Bowlus CL, et al. *Seladelpar improved measures of pruritus, sleep, and fatigue and decreased serum bile acids in patients with primary biliary cholangitis*. *Liver Int.* 2022 Jan;42(1):112-123. doi: 10.1111/liv.15039. Epub 2021 Aug 26.
- <sup>96</sup> Bowlus CL, Galambos MR, Aspinall RJ, Hirschfield GM, Jones DEJ, et al. *A phase II, randomized, open-label, 52-week study of seladelpar in patients with primary biliary cholangitis*. *J Hepatol.* 2022 Aug;77(2):353-364. doi: 10.1016/j.jhep.2022.02.033. Epub 2022 Mar 30.
- <sup>97</sup> Bowlus CL, Galambos MR, Aspinall RJ, Hirschfield GM, Jones DEJ, et al. *A phase II, randomized, open-label, 52-week study of seladelpar in patients with primary biliary cholangitis*. *J Hepatol.* 2022 Aug;77(2):353-364. doi: 10.1016/j.jhep.2022.02.033. Epub 2022 Mar 30.
- <sup>98</sup> A 52-week, Placebo-controlled, Randomized, Phase 3 Study to Evaluate the Safety and Efficacy of Seladelpar in Subjects With Primary Biliary Cholangitis (PBC) and an Inadequate Response to or an Intolerance to Ursodeoxycholic Acid (UDCA). NCT03602560 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03602560?term=Seladelpar&phase=2&draw=2&rank=2>
- <sup>99</sup> ASSURE: An Open Label Long-Term Study to Evaluate the Safety and Tolerability of Seladelpar in Subjects With Primary Biliary Cholangitis (PBC). NCT03301506 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03301506?term=Seladelpar&phase=2&draw=2&rank=1>
- <sup>100</sup> RESPONSE: A Placebo-controlled, Randomized, Phase 3 Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Seladelpar in Patients With Primary Biliary Cholangitis (PBC) and an Inadequate Response to or an Intolerance to Ursodeoxycholic Acid (UDCA). NCT04620733 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04620733?term=Seladelpar&phase=2&draw=2&rank=3>
- <sup>101</sup> Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- <sup>102</sup> As Delandistrogene moxeparovec moves closer to clinical approval, what is the likelihood that the drug will be approved? 3 janvier 2023. <https://www.pharmaceutical-technology.com/data-analysis/delandistrogene-moxeparovec-what-is-the-likelihood-that-drug-will-be-approved/>
- <sup>103</sup> Sarepta Therapeutics Announces That U.S. FDA has Accepted for Filing and Granted Priority Review for the Biologics License Application for SRP-9001, Sarepta's Gene Therapy for the Treatment of Ambulant Individuals with Duchenne Muscular Dystrophy. 28 novembre 2022. <https://investorrelations.sarepta.com/news-releases/news-release-details/sarepta-therapeutics-announces-us-fda-has-accepted-filing-and>
- <sup>104</sup> A Phase 3 Multinational, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Systemic Gene Delivery Study to Evaluate the Safety and Efficacy of SRP-9001 in Subjects With Duchenne Muscular Dystrophy (EMBARC). NCT05096221 (active not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05096221?term=delandistrogene&draw=2&rank=4>
- <sup>105</sup> Recursion Announces Initiation of Phase 2/3 Trial for the Treatment of NF2-Mutated Meningiomas at Children's Tumor Foundation NF Conference. 20 juin 2022. <https://www.prnewswire.com/news-releases/recursion-announces-initiation-of-phase-2-3-trial-for-the-treatment-of-nf2-mutated-meningiomas-at-childrens-tumor-foundation-nf-conference-301570906.html>
- <sup>106</sup> Recursion Announces Initiation of Phase 2/3 Trial for the Treatment of NF2-Mutated Meningiomas at Children's Tumor Foundation NF Conference. 20 juin 2022. <https://www.prnewswire.com/news-releases/recursion-announces-initiation-of-phase-2-3-trial-for-the-treatment-of-nf2-mutated-meningiomas-at-childrens-tumor-foundation-nf-conference-301570906.html>
- <sup>107</sup> Recursion Announces Initiation of Phase 2/3 Trial for the Treatment of NF2-Mutated Meningiomas at Children's Tumor Foundation NF Conference. 20 juin 2022. <https://www.prnewswire.com/news-releases/recursion-announces-initiation-of-phase-2-3-trial-for-the-treatment-of-nf2-mutated-meningiomas-at-childrens-tumor-foundation-nf-conference-301570906.html>
- <sup>108</sup> A Parallel-group, Two-staged, Phase 2/3, Randomized, Multicenter Study to Evaluate the Efficacy and Safety of REC-2282 in Participants With Progressive NF2 Mutated Meningiomas. NCT05130866 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05130866?term=REC-2282&draw=2&rank=1>
- <sup>109</sup> Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- <sup>110</sup> Craig TJ, Reshef A, Li HH, Jacobs JS, Bernstein JA, et al. Efficacy and safety of garadacimab, a factor XIIIa inhibitor for hereditary angioedema prevention (VANGUARD): a global, multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. *Lancet.* 2023 Feb 28:S0140-6736(23)00350-1. doi: 10.1016/S0140-6736(23)00350-1. Publié en ligne avant impression.
- <sup>111</sup> CSL Announces Positive Top-Line Phase 3 Results for Garadacimab as Preventive Treatment in Patients with Hereditary Angioedema (HAE). 17 août 2022. <https://www.csl.com/news/2022/20220817-csl-announces-positive-results-for-garadacimab#:~:text=About%20HAE%20and%20Garadacimab&text=Garadacimab%20is%20a%20novel%20Factor,form%20of%20bradykinin%2Dmediated%20angioedema.>
- <sup>112</sup> A Multicenter, Double-blind, Randomized, Placebo-controlled, Parallel-arm Study to Investigate the Efficacy and Safety of Subcutaneous Administration of CSL312 (Garadacimab) in the Prophylactic Treatment of Hereditary Angioedema. NCT04656418 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04656418?term=Garadacimab&phase=2&draw=2&rank=1>
- <sup>113</sup> An Open-label Study to Evaluate the Long-term Safety and Efficacy of CSL312 (Garadacimab) in the Prophylactic

- Treatment of Hereditary Angioedema. NCT04739059 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04739059?term=Garadacimab&phase=2&draw=2&rank=2>
- 114 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 115 Horwitz ME, Stiff PJ, Cutler C, Brunstein C, Hanna R, et al. Omidubicel vs standard myeloablative umbilical cord blood transplantation: results of a phase 3 randomized study. *Blood*. 2021 Oct 21;138(16):1429-1440. doi: 10.1182/blood.2021011719.
- 116 Horwitz ME, Stiff PJ, Cutler C, Brunstein C, Hanna R, et al. Omidubicel vs standard myeloablative umbilical cord blood transplantation: results of a phase 3 randomized study. *Blood*. 2021 Oct 21;138(16):1429-1440. doi: 10.1182/blood.2021011719.
- 117 Lin C, Sajeev G, Stiff PJ, Brunstein CG, Cutler C, et al. Health-Related Quality of Life Following Allogeneic Hematopoietic Cell Transplantation with Omidubicel versus Umbilical Cord Blood. *Transplant Cell Ther*. 2023 Jan;29(1):52.e1-52.e9. doi: 10.1016/j.jctc.2022.09.018. Epub 2022 Sep 28.
- 118 Gamida Cell Provides Regulatory Update on Omidubicel. 21 novembre 2022. <https://www.businesswire.com/news/home/20221121005927/en/Gamida-Cell-Provides-Regulatory-Update-on-Omidubicel#:~:text=Omidubicel%20is%20an%20investigational%20stem,or%20any%20other%20health%20authority>.
- 119 Horwitz ME, Stiff PJ, Cutler C, Brunstein C, Hanna R, et al. Omidubicel vs standard myeloablative umbilical cord blood transplantation: results of a phase 3 randomized study. *Blood*. 2021 Oct 21;138(16):1429-1440. doi: 10.1182/blood.2021011719.
- 120 Posoleucel (Viralm-M, ALVR105): A multi-virus specific T cell therapy (VST) targeting five devastating viral pathogens. <https://www.allovir.com/products/alvr105>
- 121 AlloVir Announces Positive Final Results in Phase 2 Posoleucel Multi-Virus Prevention Study In Oral Presentation at the 64th ASH Annual Meeting and Exposition. 10 décembre 2022. <https://www.businesswire.com/news/home/20221210005012/en/AlloVir-Announces-Positive-Final-Results-in-Phase-2-Posoleucel-Multi-Virus-Prevention-Study-In-Oral-Presentation-at-the-64th-ASH-Annual-Meeting-and-Exposition>
- 122 Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Trial, With Cross-Over, of Posoleucel (ALVR105) for the Treatment of Adenovirus Infection in Pediatric and Adult Participants Receiving Standard of Care Following Allogeneic Hematopoietic Cell Transplantation. NCT05179057 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05179057?term=posoleucel&phase=2&draw=2&rank=1>
- 123 Phase 2/3, Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study to Assess the Safety and Efficacy of ALVR105 (Viralm-M) Compared to Placebo for the Prevention of AdV, BKV, CMV, EBV, HHV-6, and JCV Infection and/or Disease, in High-Risk Patients After Allogeneic Hematopoietic Cell Transplant. NCT05305040 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05305040?term=posoleucel&phase=2&draw=2&rank=3>
- 124 Phase 2/3, Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study to Assess the Safety and Efficacy of ALVR105 (Viralm-M) Compared to Placebo for the Prevention of AdV, BKV, CMV, EBV, HHV-6, and JCV Infection and/or Disease, in High-Risk Patients After Allogeneic Hematopoietic Cell Transplant. NCT04693637 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04693637?term=posoleucel&phase=2&draw=2&rank=4>
- 125 Newman LM, Kankam M, Nakamura A, Conrad T, Mueller J, et al. *Thorough QT Study To Evaluate the Effect of Zoliflodacin, a Novel Therapeutic for Gonorrhoea, on Cardiac Repolarization in Healthy Adults*. *Antimicrob Agents Chemother*. 2021 Nov 17;65(12):e0129221. doi: 10.1128/AAC.01292-21. Epub 2021 Oct 4.
- 126 Bradford PA, Miller AA, O'Donnell J, Mueller JP. *Zoliflodacin: An Oral Spiropyrimidinetrione Antibiotic for the Treatment of Neisseria gonorrhoeae, Including Multi-Drug-Resistant Isolates*. *ACS Infect Dis*. 2020 Jun 12;6(6):1332-1345. doi: 10.1021/acscinfed.0c00021. Epub 2020 May 12.
- 127 A Multi-center, Randomized, Open-label, Non Inferiority Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of a Single, Oral Dose of Zoliflodacin Compared to a Combination of a Single Intramuscular Dose of Ceftriaxone and a Single Oral Dose of Azithromycin in the Treatment of Patients With Uncomplicated Gonorrhoea. NCT03959527 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03959527?term=Zoliflodacin&phase=2&draw=2&rank=1>
- 128 A Double-Blinded, Placebo-controlled, Phase 3 Study to Evaluate the Efficacy and Safety of ORMD-0801 in Uncontrolled Type 2 DM Subjects on Diet Control Alone, Metformin Monotherapy, or Two or Three Oral Glucose-lowering Agents. NCT04817215 (not yet recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04817215?term=ORMD-0801&phase=2&draw=2&rank=1>
- 129 A Double-Blind, Placebo-controlled, Multi-center Randomized, Phase 3 Study to Evaluate the Efficacy and Safety of ORMD-0801 in T2DM Subjects With Inadequate Glycemic Control on Diet Control Only or on Diet Control and Metformin Monotherapy. NCT04754334 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04754334?term=ORMD-0801&phase=2&draw=2&rank=2>

- 130 A Double-Blinded, Placebo-controlled, Double Dummy, Multi-center Randomized, Phase 3 Study to Evaluate the Efficacy and Safety of ORMD-0801 in Subjects With T2DM With Inadequate Glycemic Control on 1, 2 or 3 Oral Glucose-lowering Agents. NCT04606576 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04606576?term=ORMD-0801&phase=2&draw=2&rank=3>
- 131 Kjeldsen TB, Hubálek F, Hjørringgaard CU, Tagmose TM, Nishimura E, et al. *Molecular Engineering of Insulin Icodec, the First Acylated Insulin Analog for Once-Weekly Administration in Humans*. J Med Chem. 2021 Jul 8;64(13):8942-8950. doi: 10.1021/acs.jmedchem.1c00257. Epub 2021 May 4.
- 132 Rosenstock J, Bajaj HS, Janež A, Silver R, Begtrup K, et al; NN1436-4383 Investigators. *Once-Weekly Insulin for Type 2 Diabetes without Previous Insulin Treatment*. N Engl J Med. 2020 Nov 26;383(22):2107-2116. doi: 10.1056/NEJMoa2022474. Epub 2020 Sep 22.
- 133 Rosenstock J, Bajaj HS, Janež A, Silver R, Begtrup K, et al; NN1436-4383 Investigators. *Once-Weekly Insulin for Type 2 Diabetes without Previous Insulin Treatment*. N Engl J Med. 2020 Nov 26;383(22):2107-2116. doi: 10.1056/NEJMoa2022474. Epub 2020 Sep 22.
- 134 A 26-week Trial Comparing the Effect and Safety of Once Weekly Insulin Icodec and Once Daily Insulin Degludec, Both With or Without Non-insulin Anti-diabetic Drugs, in Subjects With Type 2 Diabetes Treated With Basal Insulin. NCT04770532 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04770532?term=Insulin+icodec&phase=2&draw=2&rank=1>
- 135 Effectiveness and Safety of Once Weekly Insulin Icodec Used With DoseGuide Versus Once Daily Basal Insulin Analogues in an Insulin naïve Type 2 Diabetes Population in a Clinical Practice Setting. NCT04760626 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04760626?term=Insulin+icodec&phase=2&draw=2&rank=5>
- 136 A 26-week Trial Comparing the Effect and Safety of Once Weekly Insulin Icodec and Once Daily Insulin Glargine 100 Units/mL, Both in Combination With Bolus Insulin With or Without Non-insulin Anti-diabetic Drugs, in Subjects With Type 2 Diabetes on a Basal-bolus Regimen. NCT04880850 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04880850?term=Insulin+icodec&phase=2&draw=2&rank=6>
- 137 A 26-week Double Blinded, Multiregional, Trial Comparing the Effect and Safety of Once Weekly Insulin Icodec and Once Daily Insulin Degludec 100 Units/mL, Both in Combination With Non-insulin Anti-diabetic Drugs, in Insulin naïve Subjects With Type 2 Diabetes. NCT04795531 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04795531?term=Insulin+icodec&phase=2&draw=2&rank=7>
- 138 A 78-week Trial Comparing the Effect and Safety of Once Weekly Insulin Icodec and Once Daily Insulin Glargine 100 Units/mL, Both in Combination With Non-insulin Anti-diabetic Treatment, in Insulin naïve Subjects With Type 2 Diabetes. NCT04460885 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04460885?term=Insulin+icodec&phase=2&draw=2&rank=2>
- 139 Efficacy and Safety of Once Weekly Insulin Icodec Compared to Once Daily Insulin Degludec 100 Units/mL, Both in Combination With Insulin Aspart, in Adults With Type 1 Diabetes. A 26-week, Randomised, Multicentre, Open-label, Active-controlled, Parallel Group, Two Armed, Treat-to-target Trial Investigating the Effect on Glycaemic Control and Safety of Treatment With Once Weekly Insulin Icodec Compared to Once Daily Insulin Degludec, Both in Combination With Insulin Aspart in Adults With Type 1 Diabetes, With a 26-week Extension Investigating Long Term Safety. NCT04848480 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04848480?term=Insulin+icodec&phase=2&draw=2&rank=3>
- 140 A 52 Week Study Comparing the Efficacy and Safety of Once Weekly IcoSema and Once Weekly Insulin Icodec, Both Treatment Arms With or Without Oral Anti Diabetic Drugs, in Participants With Type 2 Diabetes Inadequately Controlled With Daily Basal Insulin. NCT05352815 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05352815?term=Insulin+icodec&phase=2&draw=2&rank=4>
- 141 A 52 Week Study Comparing the Efficacy and Safety of Once Weekly IcoSema and Daily Insulin Glargine 100 Units/mL Combined With Insulin Aspart, Both Treatment Arms With or Without Oral Anti Diabetic Drugs, in Participants With Type 2 Diabetes Inadequately Controlled With Daily Basal Insulin. COMBINE 3. NCT05013229 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05013229?term=Insulin+icodec&phase=2&draw=2&rank=8>
- 142 A 52 Week Study Comparing the Efficacy and Safety of Once Weekly IcoSema and Once Weekly Semaglutide, Both Treatment Arms With or Without Oral Anti Diabetic Drugs, in Participants With Type 2 Diabetes Inadequately Controlled With a GLP 1 Receptor Agonist. COMBINE 2. NCT05259033 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05259033?term=Insulin+icodec&phase=2&draw=2&rank=9>
- 143 Rusfertide May Eliminate the Need for Phlebotomies in Polycythemia Vera. 29 septembre 2022. <https://www.targetedonc.com/view/rusfertide-may-eliminate-the-need-for-phlebotomies-in-polycythemia-vera>
- 144 Protagonist Therapeutics to Present Updated Phase 2 Rusfertide Clinical Results in Polycythemia Vera (PV) at ASCO 2022. 26 mai 2022. <https://www.prnewswire.com/news-releases/protagonist-therapeutics-to-present-updated-phase-2-rusfertide-clinical-results-in-polycythemia-vera-pv-at-asco-2022-301556326.html>

- 145 Pemmaraju N, Kuykendall A, Kremyanskaya M, Ginzburg Y, Ritchie E, Gotlib J, et al. *MPN-469 Rusfertide (PTG-300) Treatment Interruption Reverses Hematological Gains and Upon Reinitiation, Restoration of Clinical Benefit Observed in Patients With Polycythemia Vera*. Clin Lymphoma Myeloma Leuk. 2022 Oct;22 Suppl 2:S338-S339. doi: 10.1016/S2152-2650(22)01462-8.
- 146 Protagonist Therapeutics to Present Updated Phase 2 Rusfertide Clinical Results in Polycythemia Vera (PV) at ASCO 2022. 26 mai 2022. <https://www.prnewswire.com/news-releases/protagonist-therapeutics-to-present-updated-phase-2-rusfertide-clinical-results-in-polycythemia-vera-pv-at-asco-2022-301556326.html>
- 147 Rusfertide Therapy for Polycythemia Vera Leads to Sustained Hematocrit Control. Mi-juillet 2022. <https://ashpublications.org/ashclinicalnews/news/6294/rusfertide-therapy-for-polycythemia-vera-leads-to>
- 148 A Phase 3 Study of the Hepcidin Mimetic Rusfertide (PTG-300) in Patients With Polycythemia Vera. NCT05210790 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05210790?term=Rusfertide&draw=2&rank=1>
- 149 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 150 [Aucun auteur mentionné]. *FGFR Inhibitor Stymies Gastric Cancer*. Cancer Discov. 2021 Nov 17;11(5):OF3. doi: 10.1158/2159-8290.CD-NB2021-0312. Epub 2021 Feb 11.
- 151 A Phase 1b/3 Study of Bemarituzumab Plus Chemotherapy and Nivolumab Versus Chemotherapy and Nivolumab Alone in Subjects With Previously Untreated Advanced Gastric and Gastroesophageal Junction Cancer With FGFR2b Overexpression. NCT05111626 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05111626?term=Bemarituzumab&phase=2&draw=2&rank=1>
- 152 A Randomized, Multi-center, Double-blind, Placebo-controlled Phase 3 Study of Bemarituzumab Plus Chemotherapy Versus Placebo Plus Chemotherapy in Subjects With Previously Untreated Advanced Gastric or Gastroesophageal Junction Cancer With FGFR2b Overexpression. NCT05052801 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05052801?term=Bemarituzumab&phase=2&draw=2&rank=2>
- 153 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 154 Lonial S, Popat R, Hulin C, Jagannath S, Oriol A, et al. *Iberdomide plus dexamethasone in heavily pretreated late-line relapsed or refractory multiple myeloma (CC-220-MM-001): a multicentre, multicohort, open-label, phase 1/2 trial*. Lancet Haematol. 2022 Nov;9(11):e822-e832. doi: 10.1016/S2352-3026(22)00290-3. Epub 2022 Oct 6.
- 155 A Phase 3, Two-Stage, Randomized, Multicenter, Open-label Study Comparing Iberdomide, Daratumumab and Dexamethasone (IberDd) Versus Daratumumab, Bortezomib, and Dexamethasone (DvD) in Subjects With Relapsed or Refractory Multiple Myeloma (RRMM). NCT04975997 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04975997?term=Iberdomide&phase=2&draw=2&rank=1>
- 156 GEM21menos65. A Phase III Trial for NDMM Patients Who Are Candidates for ASCT Comparing Extended VRD Plus Early Rescue Intervention vs Isatuximab-VRD vs Isatuximab-V-Iberdomide-D. NCT05558319 (not yet recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05558319?term=Iberdomide&phase=2&draw=2&rank=2>
- 157 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 158 Pandravada S, Sandler S. The Role of Navitoclax in Myelofibrosis. Cureus. 2021 Sep 14;13(9):e17976. doi: 10.7759/cureus.17976. eCollection 2021 Sep.
- 159 Harrison CN, Garcia JS, Somerville TCP, Foran JM, Verstovsek S, et al. *Addition of Navitoclax to Ongoing Ruxolitinib Therapy for Patients With Myelofibrosis With Progression or Suboptimal Response: Phase II Safety and Efficacy*. J Clin Oncol. 2022 May 20;40(15):1671-1680. doi: 10.1200/JCO.21.02188. Epub 2022 Feb 18.
- 160 A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Phase 3 Study Of Navitoclax In Combination With Ruxolitinib Versus Ruxolitinib In Subjects With Myelofibrosis (TRANSFORM-1). NCT04472598 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04472598?term=Navitoclax&phase=2&draw=2&rank=1>
- 161 A Randomized, Open-Label, Phase 3 Study Evaluating Efficacy and Safety of Navitoclax in Combination With Ruxolitinib Versus Best Available Therapy in Subjects With Relapsed/Refractory Myelofibrosis (TRANSFORM-2). NCT04468984 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04468984?term=Navitoclax&phase=2&draw=2&rank=2>
- 162 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 163 Mascarenhas J, Harrison CN, Kiladjian JJ, Komrokji RS, Koschmieder S, et al. *Imetelstat in intermediate-2 or high-risk myelofibrosis refractory to JAK inhibitor: IMPactMF phase III study design*. Future Oncol. 2022 Jul;18(22):2393-2402. doi: 10.2217/fon-2022-0235. Epub 2022 May 5.

- 164 Steensma DP, Fenaux P, Van Eygen K, Raza A, Santini V, et al. *Imetelstat Achieves Meaningful and Durable Transfusion Independence in High Transfusion-Burden Patients With Lower-Risk Myelodysplastic Syndromes in a Phase II Study*. J Clin Oncol. 2021 Jan 1;39(1):48-56. doi: 10.1200/JCO.20.01895. Epub 2020 Oct 27.
- 165 A Randomized Open-Label, Phase 3 Study to Evaluate Imetelstat (GRN163L) Versus Best Available Therapy (BAT) in Patients With Intermediate-2 or High-risk Myelofibrosis (MF) Relapsed / Refractory (R/R) to Janus Kinase (JAK) Inhibitor. NCT04576156 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04576156?term=imetelstat&phase=2&draw=2&rank=1>
- 166 A Study to Evaluate Imetelstat (GRN163L) in Transfusion-Dependent Subjects With IPSS Low or Intermediate-1 Risk Myelodysplastic Syndrome (MDS) That is Relapsed/Refractory to Erythropoiesis-Stimulating Agent (ESA) Treatment. NCT02598661 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02598661?term=imetelstat&phase=2&draw=2&rank=4>
- 167 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 168 Corcept Therapeutics to Start Phase 3 Trial of Relacorilant Plus Nab-Paclitaxel in Patients With Platinum-Resistant Ovarian Cancer. 2 juin 2022. <https://www.globenewswire.com/en/news-release/2022/06/06/2456669/0/en/Corcept-Therapeutics-to-Start-Phase-3-Trial-of-Relacorilant-Plus-Nab-Paclitaxel-in-Patients-With-Platinum-Resistant-Ovarian-Cancer.html>
- 169 Corcept Therapeutics to Start Phase 3 Trial of Relacorilant Plus Nab-Paclitaxel in Patients With Platinum-Resistant Ovarian Cancer. 2 juin 2022. <https://www.globenewswire.com/en/news-release/2022/06/06/2456669/0/en/Corcept-Therapeutics-to-Start-Phase-3-Trial-of-Relacorilant-Plus-Nab-Paclitaxel-in-Patients-With-Platinum-Resistant-Ovarian-Cancer.html>
- 170 Corcept Therapeutics to Start Phase 3 Trial of Relacorilant Plus Nab-Paclitaxel in Patients With Platinum-Resistant Ovarian Cancer. 2 juin 2022. <https://www.globenewswire.com/en/news-release/2022/06/06/2456669/0/en/Corcept-Therapeutics-to-Start-Phase-3-Trial-of-Relacorilant-Plus-Nab-Paclitaxel-in-Patients-With-Platinum-Resistant-Ovarian-Cancer.html>
- 171 A Phase 3 Study of Relacorilant in Combination With Nab-Paclitaxel Versus Nab-Paclitaxel Monotherapy in Advanced, Platinum-Resistant, High-Grade Epithelial Ovarian, Primary Peritoneal, or Fallopian-Tube Cancer (ROSELLA). NCT05257408 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05257408?term=Relacorilant&phase=2&draw=2&rank=4>
- 172 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 173 Kyuno D, Takasawa A, Takasawa K, Ono Y, Aoyama T, et al. *Claudin-18.2 as a therapeutic target in cancers: cumulative findings from basic research and clinical trials*. Tissue Barriers. 2022 Jan 2;10(1):1967080. doi: 10.1080/21688370.2021.1967080. Epub 2021 Sep 5.
- 174 Palmieri LJ, Soubeyran I, Pernot S. *Adénocarcinome œsogastrique – nouvelles cibles thérapeutiques*. Bull Cancer. 2022 Nov 9;S0007-4551(22)00340-X. doi: 10.1016/j.bulcan.2022.08.005. Publié en ligne avant impression.
- 175 Zolbetuximab With mFOLFOX6 Meets Primary Endpoint in SPOTLIGHT Trial. 19 janvier 2023. <https://dailynews.ascopubs.org/do/zolbetuximab-mfolfox6-meets-primary-endpoint-spotlight-trial>
- 176 A Phase 3, Global, Multi-Center, Double-Blind, Randomized, Efficacy Study of Zolbetuximab (IMAB362) Plus CAPOX Compared With Placebo Plus CAPOX as First-line Treatment of Subjects With Claudin (CLDN) 18.2-Positive, HER2-Negative, Locally Advanced Unresectable or Metastatic Gastric or Gastroesophageal Junction (GEJ) Adenocarcinoma. NCT03653507 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03653507?term=Zolbetuximab&phase=2&draw=2&rank=1>
- 177 A Phase 3, Global, Multi-Center, Double-Blind, Randomized, Efficacy Study of Zolbetuximab (IMAB362) Plus mFOLFOX6 Compared With Placebo Plus mFOLFOX6 as First-line Treatment of Subjects With Claudin (CLDN)18.2-Positive, HER2-Negative, Locally Advanced Unresectable or Metastatic Gastric or Gastroesophageal Junction (GEJ) Adenocarcinoma. NCT03504397 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03504397?term=Zolbetuximab&phase=2&draw=2&rank=2>
- 178 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 179 Vignal-Clermont C(1)(2), Girmens JF(2)(3), Audo I(2)(3)(4), Said SM(2)(3)(4), Errera MH(2)(3)(5), et al. Safety of Intravitreal Gene Therapy for Treatment of Subjects with Leber Hereditary Optic Neuropathy due to Mutations in the Mitochondrial ND4 Gene: The REVEAL Study. BioDrugs. 2021 Mar;35(2):201-214. doi: 10.1007/s40259(021)-00468-9. Epub 2021 Feb 10.
- 180 A Randomized, Double-Masked, Sham-Controlled Clinical Trial to Evaluate the Efficacy of a Single Intravitreal Injection of GS010 in Subjects Affected for 6 Months or Less by LHON Due to the G11778A Mutation in the Mitochondrial ND4 Gene. NCT02652767 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02652767?cond=NCT02652767&draw=2&rank=1>
- 181 Randomized, Double-Masked, Sham-Controlled Clinical Trial to Evaluate the Efficacy of a Single Intravitreal Injection of GS010 in Subjects Affected for More Than 6 Months and To 12 Months by LHON Due to the G11778A Mutation in the ND4 Gene. NCT02652780 (completed).

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02652780>

- 182 Long-term Follow-up of ND4 LHON Subjects Treated With GS010 Ocular Gene Therapy in the RESCUE or REVERSE Phase III Clinical Trials (RESTORE). NCT03406104 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03406104?term=NCT03406104&draw=2&rank=1>
- 183 Carelli V, Newman NJ, Yu-Wai-Man P, Biousse V, Moster ML, et al; the LHON Study Group. Indirect Comparison of Lenadogene Nolparvovec Gene Therapy Versus Natural History in Patients with Leber Hereditary Optic Neuropathy Carrying the m.11778G>A MT-ND4 Mutation. *Ophthalmol Ther*. 2023 Feb;12(1):401-429. doi: 10.1007/s40123-022-00611-x. Epub 2022 Nov 30.
- 184 Biousse V, Newman NJ, Yu-Wai-Man P, Carelli V, Moster ML, et al; LHON Study Group. Long-Term Follow-Up After Unilateral Intravitreal Gene Therapy for Leber Hereditary Optic Neuropathy: The RESTORE Study. *J Neuroophthalmol*. 2021 Sep 1;41(3):309-315. doi: 10.1097/WNO.0000000000001367.
- 185 Vignal-ClermoH C, Yu-Wai-Man P, Newman NJ, Carelli V, Moster ML, et al; LHON Study Group. Safety of lenadogene nolparvovec gene therapy over 5 years in 189 patients with Leber hereditary optic neuropathy. *Am J Ophthalmol*. 2022 Dec 7:S0002-9394(22)00464-0. doi: 10.1016/j.ajo.2022.11.026. Publié en ligne avant impression.
- 186 BRIEF—FDA setback for GenSight’s Lumevoq. 19 janvier 2022. <https://www.thepharmaletter.com/in-brief/brief-fda-setback-for-gensight-s-lumevoq>
- 187 Toth PP, Schwartz GG, Nicholls SJ, Khan A, Szarek M, et al. Reduction in the risk of major adverse cardiovascular events with the BET protein inhibitor apabetalone in patients with recent acute coronary syndrome, type 2 diabetes, and moderate to high likelihood of non-alcoholic fatty liver disease. *Am J Prev Cardiol*. 2022 Aug 8;11:100372. doi: 10.1016/j.ajpc.2022.100372. eCollection 2022 Sep.
- 188 A Phase 3, Multicenter, Double-blind, Randomized, Placebo-controlled, Parallel-group Study to Investigate the Efficacy and Safety of CSL112 in Subjects With Acute Coronary Syndrome. NCT03473223 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03473223?term=NCT03473223&draw=2&rank=1>
- 189 <https://www.dicardiology.com/content/memorialcare-heart-and-vascular-institute-participating-global-study-csl112-patients-acute>. 8 mars 2022.
- 190 A Phase 3, Multicenter, Randomized, Double Blind, Placebo Controlled Study to Evaluate the Efficacy and Safety of AL001 in Individuals at Risk for or With Frontotemporal Dementia Due to Heterozygous Mutations in the Progranulin Gene. NCT04374136 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04374136?term=AL001&phase=2&draw=2&rank=1>
- 191 Smith KW, Sicignano DJ, Hernandez AV, White CM. MDMA-Assisted Psychotherapy for Treatment of Posttraumatic Stress Disorder: A Systematic Review With Meta-Analysis. *J Clin Pharmacol*. 2022 Apr;62(4):463-471. doi: 10.1002/jcph.1995. Epub 2021 Nov 28.
- 192 A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Multi-Site Phase 3 Study of the Efficacy and Safety of Manualized MDMA-Assisted Psychotherapy for the Treatment of Posttraumatic Stress Disorder of Moderate or Greater Severity. NCT04077437 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04077437?term=NCT04077437&draw=2&rank=1>
- 193 A Multi-Site Open-Label Safety Extension Study of Manualized MDMA-Assisted Psychotherapy for the Treatment of Participants With Posttraumatic Stress Disorder. NCT04714359 (enrolling by invitation). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04714359?term=NCT04714359&draw=2&rank=1>
- 194 A Multicenter, Randomized, Active-controlled, Double-blind, Double-dummy, Parallel Group Clinical Trial, Investigating the Efficacy, Safety, and Tolerability of Continuous Subcutaneous ND0612 Infusion in Comparison to Oral IR-LD/CD in Subjects With Parkinson’s Disease Experiencing Motor Fluctuations (BouNDless). NCT04006210 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04006210?term=NCT04006210&draw=2&rank=1>
- 195 A Phase 3, Multicenter, Randomized, Double-blind, Placebo-controlled Study of the Efficacy, Safety and Biomarker Effects of ALZ-801 in Subjects With Early Alzheimer’s Disease and APOE4/4 Genotype. NCT04770220 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04770220?term=NCT04770220&draw=2&rank=1>
- 196 An Open-label, Long-term Extension Study of Brazikumab in Participants With Moderately to Severely Active Crohn’s Disease (INTREPID OLE). NCT03961815 (enrolling by invitation). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03961815?term=NCT03961815&draw=2&rank=1>
- 197 A 52-Week, Multicenter, Randomized, Double-blind, Placebo and Active-Controlled, Operationally Seamless Phase 2b/3, Parallel-group Study to Assess the Efficacy and Safety of Brazikumab in Participants With Moderately to Severely Active Crohn’s Disease (INTREPID Lead-In). NCT03759288 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03759288?term=NCT03759288&draw=2&rank=1>
- 198 A Phase 3 Prospective, Randomized, Double-blinded, Placebo-controlled Clinical Study to Evaluate the Efficacy and Safety of RBX2660 (Microbiota Suspension) for the Prevention of Clostridium Difficile Infection. NCT03244644 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/>

[NCT03244644?term=NCT03244644&draw=2&rank=1](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03244644?term=NCT03244644&draw=2&rank=1)

- 199 Khanna S, Assi M, Lee C, Yoho D, Louie T, et al. Efficacy and Safety of RBX2660 in PUNCH CD3, a Phase III, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Trial with a Bayesian Primary Analysis for the Prevention of Recurrent *Clostridioides difficile* Infection. *Drugs*. 2022 Oct 26;1-12. doi: 10.1007/s40265-022-01797-x. Publié en ligne avant impression.
- 200 Ferring and Rebiotix Present Landmark Phase 3 Data Demonstrating Superior Efficacy of Investigational RBX2660 Versus Placebo to Reduce Recurrence of *C. difficile* Infection. 21 mai 2021. <https://www.rebiotix.com/efficacy-rbx2660-vs-placebo-reduce-recurrence-c-difficile-infection/>
- 201 A Phase 3 Open-Label Clinical Study to Evaluate the Safety and Tolerability of Rebiotix RBX2660 (Microbiota Suspension) in Subjects With Recurrent *Clostridium Difficile* Infection. NCT03931941 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03931941?term=NCT03931941&draw=2&rank=1>
- 202 A Phase III, Randomized, Multicenter, Parallel-Group, Double-Blind, Double-Dummy Study in Adolescent and Adult Female Participants Comparing the Efficacy and Safety of Gepotidacin to Nitrofurantoin in the Treatment of Uncomplicated Urinary Tract Infection (Acute Cystitis). NCT04020341 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04020341?term=NCT04020341&draw=2&rank=1>.
- 203 A Phase III, Randomized, Multicenter, Parallel-Group, Double-Blind, Double-Dummy Study in Adolescent and Adult Female Participants Comparing the Efficacy and Safety of Gepotidacin to Nitrofurantoin in the Treatment of Uncomplicated Urinary Tract Infection (Acute Cystitis). NCT04187144 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04187144?term=NCT04187144&draw=2&rank=1>.
- 204 EAGLE-2 and EAGLE-3 phase III trials for gepotidacin stopped early for efficacy following pre-planned interim analysis by Independent Data Monitoring Committee Issued: London UK. 3 novembre 2022. <https://www.gsk.com/en-gb/media/press-releases/gsk-announces-phase-iii-trials-for-gepotidacin/>
- 205 New antibiotic appears to be effective against urinary tract infections, drug company says. 3 novembre 2022. <https://www.cnn.com/2022/11/03/health/new-uti-antibiotic-gepotidacin/index.html>
- 206 GSK to submit drug application for new antibiotic to US FDA. 4 novembre 2022. [https://www.pmlive.com/pharma\\_news/gsk\\_to\\_submit\\_drug\\_application\\_for\\_new\\_antibiotic\\_to\\_us\\_fda\\_1480238](https://www.pmlive.com/pharma_news/gsk_to_submit_drug_application_for_new_antibiotic_to_us_fda_1480238)
- 207 Bhatt DL, Pollack, Jr. CV, Mazer D, Angiolillo DJ, Steg G, et al; for the REVERSE-IT Investigators. Bentracimab for Ticagrelor Reversal in Patients Undergoing Urgent Surgery. *NEJM Evid* 2021; 1 (3) DOI:https://doi.org/10.1056/EVIDoa2100047. <https://evidence.nejm.org/doi/full/10.1056/EVIDoa2100047>
- 208 PhaseBio Announces Successful Pre-BLA Meeting with U.S. FDA for Bentracimab. 16 mai 2022. <https://www.businesswire.com/news/home/20220516005342/en/PhaseBio-Announces-Successful-Pre-BLA-Meeting-with-U.S.-FDA-for-Bentracimab>
- 209 Danicopan (ALXN2040) add-on to Ultomiris or Soliris met primary endpoint in ALPHA Phase III trial for patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria who experience clinically significant extravascular haemolysis. 16 septembre 2022. <https://www.astrazeneca.com/media-centre/press-releases/2022/danicopan-phase-iii-trial-met-primary-endpoint.html>
- 210 A Phase 3 Study of Danicopan (ALXN2040) as Add-on Therapy to a C5 Inhibitor (Eculizumab or Ravulizumab) in Patients With Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria Who Have Clinically Evident Extravascular Hemolysis (EVH). NCT04469465 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04469465?term=NCT04469465&draw=2&rank=1>.
- 211 Gene Therapy for Hemophilia Is on the Brink of FDA Approval. 17 novembre 2022. <https://www.managedhealthcareexecutive.com/view/gene-therapy-for-hemophilia-is-on-the-brink-of-fda-approval>
- 212 Une prophylaxie par fitusiran a réduit de 61% les saignements chez les personnes atteintes d'hémophilie A ou B, avec ou sans inhibiteurs, comparativement à une prophylaxie antérieure par facteur de remplacement ou par agent court-circuitant. 10 juillet 2022. <https://www.sanofi.com/fr/media-room/communiqués-de-presse/2022/2022-07-10-13-45-00-2476896>
- 213 Une prophylaxie par fitusiran a réduit de 61% les saignements chez les personnes atteintes d'hémophilie A ou B, avec ou sans inhibiteurs, comparativement à une prophylaxie antérieure par facteur de remplacement ou par agent court-circuitant. 10 juillet 2022. <https://www.sanofi.com/fr/media-room/communiqués-de-presse/2022/2022-07-10-13-45-00-2476896>

- 214 An Open-label, Long-term Safety and Efficacy Study of Fitusiran in Patients With Hemophilia A or B, With or Without Inhibitory Antibodies to Factor VIII or IX. NCT03754790 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03754790?term=Fitusiran&phase=2&draw=2&rank=2>
- 215 Khan AA, Rubin MR, Schwarz P, Vokes T, Shoback DM, et al. Efficacy and Safety of Parathyroid Hormone Replacement With TransCon PTH in Hypoparathyroidism: 26-Week Results From the Phase 3 PaTHway Trial. *J Bone Miner Res.* 2022 Oct 21. doi: 10.1002/jbmr.4726. Publié en ligne avant impression.
- 216 TransCon PTH Gets Priority Review for Hypoparathyroidism. 2 novembre 2022. <https://www.empr.com/home/news/drugs-in-the-pipeline/transcon-ptth-gets-priority-review-for-hypoparathyroidism/>
- 217 Tuberculosis Pipeline Landscape Analysis of 38+ Companies by DelveInsight. 4 mai 2022. <https://www.globenewswire.com/en/news-release/2022/05/04/2436001/0/en/Tuberculosis-Pipeline-Landscape-Analysis-of-38-Companies-by-DelveInsight.html>
- 218 Nymox Announces Submission of New Drug Application (NDA) to the FDA for Fexapotide Trifluate. 3 mars 2022. [https://www.drugs.com/nda/fexapotide\\_trifluate\\_220303.html](https://www.drugs.com/nda/fexapotide_trifluate_220303.html)
- 219 Prothena to Present Data on Survival Benefit Observed in Completed Phase 3 Study of Drug Candidate Birtamimab in Patients with Mayo Stage IV AL Amyloidosis at the ASH 2022 Meeting. 3 novembre 2022. <https://www.businesswire.com/news/home/20221103005351/en/Prothena-to-Present-Data-on-Survival-Benefit-Observed-in-Completed-Phase-3-Study-of-Drug-Candidate-Birtamimab-in-Patients-with-Mayo-Stage-IV-AL-Amyloidosis-at-the-ASH-2022-Meeting>
- 220 A Phase 3, Randomized, Multicenter, Double-Blind, Placebo-Controlled, Efficacy and Safety Study of Birtamimab Plus Standard of Care vs. Placebo Plus Standard of Care in Mayo Stage IV Subjects With Light Chain (AL) Amyloidosis. NCT04973137 (recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04973137?term=NCT04973137&draw=2&rank=1>.
- 221 CellTrans' Lantidra™ (donislecel) approaches a decision from the FDA. 15 juin 2021. <https://www.primetherapeutics.com/news/celltrans-lantidra-donislecel-approaches-a-decision-from-the-fda/>
- 222 FDA Meeting Likely to Lead to New Request for PRX-102 Approval. 22 octobre 2021. <https://fabrydiseasenews.com/news/new-fda-approval-request-prx-102-likely-protalix-reports/>
- 223 Protalix Resubmits To FDA The BLA For Pegunigalsidase Alfa For Treatment Of Fabry Disease. 14 novembre 2022. <https://www.nasdaq.com/articles/protalix-resubmits-to-fda-the-bla-for-pegunigalsidase-alfa-for-treatment-of-fabry-disease>
- 224 Protalix BioTherapeutics and Chiesi Global Rare Diseases Announce the Submission of a Marketing Authorization Application to the European Medicines Agency for PRX-102 for the Treatment of Fabry Disease. 24 février 2022. <https://www.prnewswire.com/il/news-releases/protalix-biotherapeutics-and-chiesi-global-rare-diseases-announce-the-submission-of-a-marketing-authorization-application-to-the-european-medicines-agency-for-prx-102-for-the-treatment-of-fabry-disease-301491083.html>
- 225 A Randomized, Multicenter, Parallel-group, Phase III Study to Compare the Efficacy of Arfollitoxin Versus Leucovorin in Combination With 5 Fluorouracil, Oxaliplatin, and Bevacizumab in Patients With Advanced Colorectal Cancer. NCT03750786 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03750786?term=NCT03750786&draw=2&rank=1>.
- 226 A Phase 3 Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo Controlled Study to Determine the Efficacy of Topical SGX301 (Synthetic Hypericin) and Fluorescent Bulb-Light Irradiation for the Treatment of Cutaneous T-Cell Lymphoma. NCT02448381 (completed). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02448381?term=NCT02448381&draw=2&rank=1>.
- 227 Kim EJ, Mangold AR, DeSimone JA, Wong HK, Seminario-Vidal L, et al. Efficacy and Safety of Topical Hypericin Photodynamic Therapy for Early-Stage Cutaneous T-Cell Lymphoma (Mycosis Fungoides): The FLASH Phase 3 Randomized Clinical Trial. *JAMA Dermatol.* 2022 Sep 1;158(9):1031-1039. doi: 10.1001/jamadermatol.2022.2749.
- 228 FDA Declines to File New Drug Application for SGX301 in T-Cell Lymphoma. 20 février 2023. <https://www.cancernetwork.com/view/fda-declines-to-file-new-drug-application-for-sgx301-in-t-cell-lymphoma>
- 229 A Phase III, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Multicenter Trial Testing Ipatasertib Plus Abiraterone Plus Prednisone/ Prednisolone, Relative to Placebo Plus Abiraterone Plus Prednisone/Prednisolone in Adult Male Patients With Asymptomatic or Mildly Symptomatic, Previously Untreated, Metastatic Castrate-Resistant Prostate Cancer. NCT03072238 (active, but not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03072238?term=NCT03072238&draw=2&rank=1>
- 230 BioLineRx Announces U.S. FDA Acceptance of New Drug Application for Aphexda (motixafortide) in Stem Cell Mobilization. Novembre 2022. [https://www.drugs.com/nda/aphexda\\_221110.html](https://www.drugs.com/nda/aphexda_221110.html)

- 231 BioLineRx Announces U.S. FDA Acceptance of New Drug Application for Aphexda (motixafortide) in Stem Cell Mobilization. Novembre 2022. [https://www.drugs.com/nda/aphexda\\_221110.html](https://www.drugs.com/nda/aphexda_221110.html)
- 232 A Phase 3 Multicenter, Randomized, Double Masked, Sham- Controlled Clinical Trial to Assess the Safety and Efficacy of Intravitreal Administration of Zimura (Complement C5 Inhibitor) in Patients With Geographic Atrophy Secondary to Age-Related Macular Degeneration. NCT04435366 (active, not recruiting). <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04435366?term=NCT04435366&draw=2&rank=1>.
- 233 FDA accepts NDA for avacincaptad pegol for the treatment of geographic atrophy. 17 février 2023. <https://www.modernretina.com/view/fda-approves-nda-for-avacincaptad-pegol-for-the-treatment-of-geographic-atrophy>
- 234 U.S. FDA Accepts Astellas' New Drug Application for Fezolinetant. 18 août 2022. <https://www.prnewswire.com/news-releases/us-fda-accepts-astellas-new-drug-application-for-fezolinetant-301608116.html>
- 235 Astellas Announces Topline 12-week Results from Phase 3 Study of Fezolinetant for the Nonhormonal Treatment of Vasomotor Symptoms in Women in Asia. 15 mars 2022. <https://www.astellas.com/en/news/25421>
- 236 Astellas has menopause accelerated approval ambition thwarted by FDA at last minute. 20 février 2023. <https://www.fiercebiotech.com/biotech/astellas-after-using-prv-has-menopause-accelerated-approval-ambition-thwarted-fda-last>
- 237 Leqembi (lecanemab-irmb). Lettre d'approbation de la FDA. [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/applletter/2023/761269Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/applletter/2023/761269Orig1s000ltr.pdf)
- 238 Briumvi (ublituximab-xiiv). Lettre d'approbation de la FDA. [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/applletter/2023/761238Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/applletter/2023/761238Orig1s000ltr.pdf)
- 239 FDA Approves First Gene Therapy to Treat Adults with Hemophilia B. 22 novembre 2022. <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-treat-adults-hemophilia-b>
- 240 Vivjoa (*oteseconazole*). Lettre d'approbation de la FDA. [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/applletter/2022/215888Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/applletter/2022/215888Orig1s000ltr.pdf)
- 241 Tzielid (*teplizumab-mzww*) injection. Lettre d'approbation de la FDA. [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/applletter/2022/761183Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/applletter/2022/761183Orig1s000ltr.pdf)
- 242 Orserdu (elacestrant). Lettre d'approbation de la FDA. [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/applletter/2023/217639Orig1s000correctedltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/applletter/2023/217639Orig1s000correctedltr.pdf)
- 243 Mora JS(1), Bradley WG(2), Chaverri D(3), Hernández-Barral M(3), Mascias J(3), et al. Long-term survival analysis of masitinib in amyotrophic lateral sclerosis. *Ther Adv Neurol Disord*. 2021 Jul 19;14:17562864211030365. doi: 10.1177/17562864211030365. eCollection 2021.
- 244 AB Science annonce aujourd'hui avoir déposé une demande d'autorisation de mise sur le marché conditionnelle auprès de l'Agence européenne des médicaments (EMA) pour Alsitek (masitinib) dans le traitement de la sclérose latérale amyotrophique (SLA). 24 août 2022. <https://www.ab-science.com/fr/ab-science-annonce-avoir-depose-une-demande-dautorisation-de-mise-sur-le-marche-conditionnelle-aupres-de-lema-pour-le-masitinib-dans-le-traitement-de-la-sla/>
- 245 Alsitek (*masitinib*). European Medicines Agency. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/alsitek>
- 246 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 247 Pasca S. Concizumab as a Subcutaneous Prophylactic Treatment Option for Patients with Hemophilia A or B: A Review of the Evidence and Patient's Perspectives. *J Blood Med*. 2022 Apr;16(13):191-199. doi: 10.2147/JBM.S242219. eCollection 2022.
- 248 Novo Nordisk A/S: Phase 3 data for concizumab show 86% reduction in treated bleeds in haemophilia A or B with inhibitors. 10 juillet 2022. <https://www.globenewswire.com/news-release/2022/07/10/2476898/0/en/Novo-Nordisk-A-S-Phase-3-data-for-concizumab-show-86-reduction-in-treated-bleeds-in-haemophilia-A-or-B-with-inhibitors.html>
- 249 Jiménez-Yuste V, Angchaisuksiri P, Castaman G, et al. Concizumab prophylaxis in patients with haemophilia A or B with inhibitors: Efficacy and safety results from the 32-week primary analysis of the phase 3 explorer7 trial. ISTH 2022 abstracts. Abstract number: LB 01.2. <https://abstracts.isth?advanced=1&title=Concizumab+prophylaxis+in+patients+with+haemophilia+A+or+B+with+inhibitors&theauthor=&affiliation=&meetingid=&s>
- 250 Novo Nordisk A/S: Phase 3 data for concizumab show 86% reduction in treated bleeds in haemophilia A or B with inhibitors. 10 juillet 2022. <https://www.globenewswire.com/news-release/2022/07/10/2476898/0/en/Novo-Nordisk-A-S-Phase-3-data-for-concizumab-show-86-reduction-in-treated-bleeds-in-haemophilia-A-or-B-with-inhibitors.html>
- 251 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).

- 252 Trial of Spesolimab for Generalized Pustular Psoriasis. 22 décembre 2021. <https://www.mountsinai.org/about/newsroom/2021/trial-of-spesolimab-for-generalized-pustular-psoriasis>
- 253 FDA approves the first treatment option for generalized pustular psoriasis flares in adults. 1er septembre 2022. <https://www.boehringer-ingelheim.us/press-release/fda-approves-first-treatment-option-generalized-pustular-psoriasis-flares-adults>
- 254 Menter A, Van Voorhees AS, Hsu S. Pustular Psoriasis: A Narrative Review of Recent Developments in Pathophysiology and Therapeutic Options. *Dermatol Ther (Heidelb)*. 2021 Dec;11(6):1917-1929. doi: 10.1007/s13555-021-00612-x. Epub 2021 Oct 9.
- 255 Mações CO, Lé AM, Torres T. Generalized pustular psoriasis: the new era of treatment with IL-36 receptor inhibitors. *J Dermatolog Treat*. 2022 Nov;33(7):2911-2918. doi: 10.1080/09546634.2022.2089335. Epub 2022 Jun 21.
- 256 FDA approves the first treatment option for generalized pustular psoriasis flares in adults. 1er septembre 2022. <https://www.boehringer-ingelheim.us/press-release/fda-approves-first-treatment-option-generalized-pustular-psoriasis-flares-adults>
- 257 Spevigo (*spesolimab-sbzo*) intravenous injection. Lettre d'approbation de la FDA. [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/appletter/2022/761244Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/appletter/2022/761244Orig1s000ltr.pdf)
- 258 Spevigo (*spesolimab*). European Medicines Agency. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/spevigo>
- 259 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 260 Chekol Abebe E, Yibeltal Shiferaw M, Tadele Admasu F, Asmamaw Dejenie T. Ciltacabtagene autoleucl: The second anti-BCMA CAR T-cell therapeutic armamentarium of relapsed or refractory multiple myeloma. *Front Immunol*. 2022 Sep 2;13:991092. doi: 10.3389/fimmu.2022.991092. eCollection 2022.
- 261 Carvykti. European Medicines Agency. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/carvykti>
- 262 Chekol Abebe E, Yibeltal Shiferaw M, Tadele Admasu F, Asmamaw Dejenie T. Ciltacabtagene autoleucl: The second anti-BCMA CAR T-cell therapeutic armamentarium of relapsed or refractory multiple myeloma. *Front Immunol*. 2022 Sep 2;13:991092. doi: 10.3389/fimmu.2022.991092. eCollection 2022.
- 263 Weisel K, Martin T, Krishnan A, Jagannath S, Londhe A, et al. Comparative Efficacy of Ciltacabtagene Autoleucl in CARTITUDE-1 vs Physician's Choice of Therapy in the Long-Term Follow-Up of POLLUX, CASTOR, and EQUULEUS Clinical Trials for the Treatment of Patients with Relapsed or Refractory Multiple Myeloma. *Clin Drug Investig*. 2022 Jan;42(1):29-41. doi: 10.1007/s40261-021-01100-y. Epub 2021 Nov 25.
- 264 FDA approves ciltacabtagene autoleucl for relapsed or refractory multiple myeloma. 28 février 2022. <https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/fda-approves-ciltacabtagene-autoleucl-relapsed-or-refractory-multiple-myeloma>
- 265 Carvykti. European Medicines Agency. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/carvykti>
- 266 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 267 Minson A, Dickinson M. Glofitamab CD20-TCB bispecific antibody. *Leuk Lymphoma*. 2021 Dec;62(13):3098-3108. doi: 10.1080/10428194.2021.1953016. Epub 2021 Jul 15.
- 268 Fixed-Duration Glofitamab Elicits Early, Durable Complete Remissions in Relapsed/Refractory LBCL. 2 septembre 2022. <https://www.onclive.com/view/fixed-duration-glofitamab-elicits-early-durable-complete-remissions-in-relapsed-refractory-lbcl>
- 269 New Pivotal Data Demonstrate Clinical Benefit of Genentech's Glofitamab, a Potential First-in-Class Bispecific Antibody for People with Aggressive Lymphoma. 26 mai 2022. <https://www.gene.com/media/press-releases/14954/2022-05-26/new-pivotal-data-demonstrate-clinical-be>
- 270 Minson A, Dickinson M. Glofitamab CD20-TCB bispecific antibody. *Leuk Lymphoma*. 2021 Dec;62(13):3098-3108. doi: 10.1080/10428194.2021.1953016. Epub 2021 Jul 15.
- 271 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en attente d'homologation).
- 272 Base de données GlobalData Healthcare (consultée en septembre 2022; liste des médicaments en essais de phase II).
- 273 Samaddar A, Grover M, Nag VL. 2020. *Pathophysiology and Potential Therapeutic Candidates for COVID-19: A Poorly Understood Arena*. *Front Pharmacol*. 11:585888. doi: 10.3389/fphar.2020.585888.