

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

L'Agence européenne des médicaments valide la demande d'autorisation de l'arpraziquantel pour le traitement de la bilharziose chez les enfants d'âge préscolaire

- L'arpraziquantel, mis au point par le Consortium pour une formulation pédiatrique du praziquantel, est une nouvelle option thérapeutique potentielle conçue pour améliorer la santé des enfants en comblant le manque de traitement des quelque 50 millions d'enfants d'âge préscolaire atteints de bilharziose
- Un avis scientifique positif de l'EMA facilitera l'enregistrement de l'arpraziquantel dans les pays africains endémiques
- L'arpraziquantel fait partie d'un effort continu pour éliminer la bilharziose

2 décembre 2022, Utrecht, Pays-Bas. Aujourd'hui, le Consortium pour une formulation pédiatrique du praziquantel a annoncé que l'Agence européenne des médicaments (EMA) a validé pour examen la demande d'autorisation de l'arpraziquantel pour le traitement de la bilharziose chez les enfants d'âge préscolaire (3 mois à 6 ans). Avec cette validation, la demande réglementaire déposée pour l'arpraziquantel est complète et l'EMA va maintenant commencer le processus d'examen scientifique.

Dérivé du praziquantel, la norme de soins développée dans les années 1970, l'arpraziquantel est adapté aux besoins des enfants d'âge préscolaire atteints de bilharziose. Ce groupe d'environ 50 millions de patients ne dispose actuellement d'aucune option thérapeutique appropriée. L'arpraziquantel est un nouveau comprimé dispersible ou orodispersible (150 mg). Il peut être pris avec ou sans eau, est agréable au goût pour les jeunes enfants et résiste aux conditions chaudes et humides du climat tropical.

Le Consortium, un partenariat international public-privé, [a terminé avec succès son programme de développement clinique fin 2021](#). Dans son essai pivot de phase III, le critère primaire d'efficacité de la guérison clinique a été atteint avec un profil d'innocuité favorable. Les effets indésirables observés dans les études cliniques étaient similaires à ceux signalés pour le praziquantel.

Au nom du Consortium, Merck a soumis la demande d'avis scientifique à l'AEM dans le cadre de la procédure [EU-M4aII](#) pour les médicaments hautement prioritaires destinés à l'homme et distribués sur des marchés extérieurs à l'Union européenne. Le cas échéant, un avis positif de l'EMA facilitera les décisions réglementaires dans les pays endémiques. Merck est désignée comme le futur titulaire de l'autorisation de mise sur le marché pour les pays africains.

« Je suis très fière d'avoir atteint cette étape au bout de dix ans de travail collaboratif intense. Nous sommes maintenant proches de notre objectif commun d'améliorer la santé des enfants grâce à une option de traitement potentiellement innovante et adaptée aux très jeunes patients souffrant de bilharziose », a déclaré Jutta Reinhard-Rupp, présidente du Conseil d'administration du Consortium et chef du Merck Global Health Institute.

L'étape du dépôt réglementaire étant terminée, le Consortium se prépare à l'inclusion potentielle de l'arpraziquantel dans la liste des médicaments essentiels et préqualifiés de l'Organisation mondiale de la santé. Il explore de nouveaux mécanismes pour fournir un accès équitable et durable à l'arpraziquantel, une fois approuvé. Grâce à son programme d'accès dédié, [ADOPT](#), le Consortium ouvre également la voie à la fourniture à grande échelle de cette nouvelle option thérapeutique potentielle dans les pays endémiques. L'objectif est de commencer la phase de lancement en 2024 pour une mise à disposition du produit à but non lucratif dans les premiers pays d'Afrique subsaharienne. Pour le moment, l'utilisation de l'arpraziquantel n'est approuvée dans aucun pays.

– Fin –

Pour les médias

Pour plus d'informations et concernant les demandes d'interview, merci de contacter Daniela Bonora, responsable des communications relatives au projet chez Lygature, via les adresses daniela.bonora@lygature.org, info@pediatricpraziquantelconsortium.org ou par téléphone au numéro +31 6 48 40 13 04

Notes à l'attention des éditeurs

1. À propos de la bilharziose

La bilharziose (connue aussi sous le nom de schistosomiase) est l'une des maladies parasitaires les plus répandues en Afrique subsaharienne. Cette affection est causée par des vers plats parasites appelés schistosomes, dont le *Schistosoma mansoni* et le *S. haematobium* sont les deux principales espèces. La bilharziose touche environ 240 millions de personnes¹, principalement au sein des communautés n'ayant pas accès à l'eau potable salubre et disposant de mauvaises conditions sanitaires, avec un nombre de décès estimé à environ 200 000² par an. Les parasites se logent dans les mollusques d'eau douce et infectent les humains en pénétrant leur peau. La maladie peut entraîner une inflammation chronique des organes potentiellement mortelle. Elle peut également mener à une anémie, un retard de croissance et une altération des capacités d'apprentissage, avec des conséquences dévastatrices pour la vie des jeunes enfants.

2. À propos de l'arpraziquantel et des essais cliniques

Lors du développement de l'arpraziquantel, le Consortium pour une formulation pédiatrique du praziquantel a mis en place un programme de développement de médicaments pédiatriques, divisé en quatre grandes étapes : développement préclinique, développement clinique, enregistrement et accès. Tous les détails sont disponibles sur le [site web du Consortium](#).

3. À propos du Consortium pour une formulation pédiatrique du praziquantel

Le Consortium pour une formulation pédiatrique du praziquantel est un partenariat international public-privé, qui a pour objectif d'alléger le fardeau mondial de la bilharziose en répondant aux besoins médicaux des enfants d'âge préscolaire infectés par la maladie. Ce faisant, le Consortium contribue aux efforts en cours pour éradiquer cette maladie tropicale négligée et améliorer la santé des enfants. Sa mission consiste à développer, à enregistrer et à donner accès à un médicament pédiatrique adapté au traitement de la bilharziose chez les enfants âgés de 3 mois à 6 ans. Pour plus d'informations, consultez le site web du Consortium : www.pediatricpraziquantelconsortium.org

4. Partenaires du Consortium

- Merck (Allemagne)
- Astellas Pharma Inc. (Japon)
- Institut tropical et de santé publique suisse (Suisse)
- Lygature (Pays-Bas)
- Farmanguinhos (Brésil)
- The SCI Foundation (RU)
- Kenya Medical Research Institute (Kenya)

¹ <https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/schistosomiasis>

² <https://www.who.int/en/news-room/fact-sheets/detail/schistosomiasis>

- **Université Félix Houphouët-Boigny** (Côte d'Ivoire)
- **Klinikum rechts der Isar der Technischen Universität München** (Allemagne)
- **Ministère de la Santé de Côte d'Ivoire** (Côte d'Ivoire)
- **African Institute for Health and Development** (Kenya)

Autres collaborateurs qui contribuent à la mission du Consortium pour une formulation pédiatrique du praziquantel :

- **Makerere University School of Public Health** (École de santé publique de l'université de Makerere) (Ouganda)
- **Ministère de la Santé du Kenya, Division des maladies vectorielles et des maladies non transmissibles** (Kenya)
- **Ministère de la Santé de l'Ouganda, Division de la lutte contre les maladies vectorielles et les maladies non transmissibles** (Ouganda)

Vous trouverez une vue d'ensemble détaillée de tous les partenaires et collaborateurs sur le [site web du Consortium](#).

5. Reconnaissance de soutien

Le Consortium bénéficie de l'assistance financière de Merck et reçoit des contributions en nature de la part des collaborateurs du Consortium, ainsi que des subventions de la fondation Bill-et-Melinda-Gates (2012), du Fonds mondial pour les technologies sanitaires novatrices (GHIT Fund – 2013, 2014, 2016, 2019 et 2021) et du Partenariat Europe-Pays en développement pour les essais cliniques (EDCTP), dans le cadre de son deuxième programme soutenu par l'Union européenne (2018 et 2021).