

# L'Observateur des médicaments émergents 2026

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  
Avril 2026

*L'Observateur des médicaments émergents 2026* est disponible en format électronique sur le site Web du CEPMB.

This document is also available in English under the title:  
*Meds Pipeline Monitor, 2026*

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

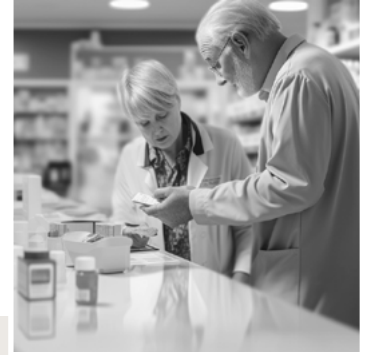
Tél. : 1-877-861-2350  
ATS : 613-288-9654

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. (2026).  
*L'Observateur des médicaments émergents, 2026*. 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, 2026



## À propos du CEPMB

Le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) est un organisme quasi judiciaire chargé de protéger la population canadienne contre les abus de brevet liés aux prix des médicaments brevetés. Pour ce faire, il examine les prix de ces médicaments et intervient au besoin dans le cadre d'une audience, au cours de laquelle un panel peut déterminer que ceux-ci sont excessifs.

Le CEPMB contribue également à une meilleure compréhension de l'écosystème biopharmaceutique en publiant chaque année des rapports sur les tendances observées en matière de ventes, de prix et de dépenses en recherche et développement.

En outre, le CEPMB fournit, à la demande de la ministre de la Santé, des analyses ponctuelles, neutres, pertinentes et opportunes portant sur les tendances pharmaceutiques.

## Initiative de recherche du SNIUMP

L'initiative de recherche du Système national d'information sur l'utilisation des médicaments prescrits (SNIUMP) a été 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).

En application de l'article 90 de la *Loi sur les brevets* et à la demande de la ministre de la Santé, le CEPMB a le mandat de donner à celle-ci 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 d'augmentation des coûts.

La ministre de la Santé définit le contenu général des rapports à produire. Les priorités de recherche précises aux fins de l'initiative de recherche du SNIUMP, quant à elles, sont établies sous la direction du comité consultatif du SNIUMP et reflètent les besoins en matière de renseignements des administrations participantes. 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 (ACM), du ministère de la Santé et des Services sociaux du Québec (MSSS) et de l'Alliance pharmaceutique pancanadienne (APP).

## Remerciements

Le présent rapport a été rédigé par le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) dans le cadre de l'initiative de recherche du Système national d'information sur l'utilisation des médicaments prescrits (SNIUMP).

Le CEPMB tient à remercier les membres du comité consultatif du SNIUMP pour leur supervision et leurs conseils avisés dans la préparation du présent rapport. Veuillez noter que les énoncés et les constatations du présent rapport ne reflètent pas nécessairement l'avis des membres ou de leur organisation respective.

Nous remercions Brian O'Shea d'avoir dirigé le projet et Shirin Paynter pour sa contribution à la rédaction, ainsi que Étienne Gaudette et Kevin Pothier d'avoir supervisé la rédaction du rapport.

## Avis de non-responsabilité

Les études analytiques menées par le CEPMB dans le contexte de l'initiative de recherche SNIUMP fonctionnent indépendamment des activités réglementaires du CEPMB. Les priorités de recherche, les données, les déclarations et les opinions énoncées dans les rapports du SNIUMP ne représentent pas la position du CEPMB au sujet des questions réglementaires. Les rapports du SNIUMP ne contiennent aucune information qui soit confidentielle ou protégée aux termes 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 ni à nier qu'il fait l'objet d'une déclaration soumise en application des articles 80, 81 ou 82 de la *Loi* ou que son prix est ou n'est pas excessif au sens de l'article 85 de la *Loi*.

Bien que les renseignements contenus dans le présent rapport soient en partie fondés sur des données obtenues avec l'autorisation de GlobalData et à partir de la base de données MIDAS<sup>MD</sup>, propriété exclusive d'IQVIA Solutions Canada Inc. et de ses filiales (IQVIA), les énoncés, les résultats, les conclusions, les points de vue et les opinions exprimés dans le présent rapport sont exclusivement ceux du CEPMB et ne sont pas imputables à GlobalData ou à IQVIA.

De plus, le CEPMB n'a pas vérifié de manière indépendante ni ne garantit l'exactitude de tout renseignement ou opinion provenant de tiers ou des désignations que contient le présent rapport, y compris les renseignements sur les prix, les résultats des essais cliniques, l'efficacité thérapeutique, le volume des ventes, les effets sur les coûts, les caractéristiques du marché, les produits concurrents, le statut réglementaire ou les informations similaires.

# 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 obtenir une autorisation de mise en marché au Canada à l'avenir.

Les sections de la présente édition du rapport font l'objet d'une réorganisation afin de mettre l'accent sur les médicaments qui devraient faire leur entrée sur le marché canadien dans un avenir proche.

Le rapport regroupe des données provenant de deux sources principales, soit les listes des présentations de médicaments et de produits de santé en cours d'examen (PCE) de Santé Canada, qui fournissent des renseignements sur les médicaments en cours d'examen au Canada, et la base de données GlobalData Drugs, qui permet de déterminer les médicaments faisant actuellement l'objet d'une évaluation clinique.

## Faits saillants relatifs aux médicaments émergents en 2026

- Les médicaments oncologiques ont continué à dominer l'éventail thérapeutique en 2025, comme c'était le cas dans les éditions précédentes. Les traitements contre le cancer représentaient 40 % des médicaments à tous les stades de développement. Les médicaments destinés aux troubles métaboliques constituaient 5 % de l'ensemble des médicaments émergents, mais ils comptaient pour 13 % des médicaments en attente d'homologation.
- En août 2025, les médicaments émergents comptaient 10 501 nouveaux médicaments à tous les stades de développement clinique. Les derniers stades de développement clinique des médicaments émergents comprenaient 200 médicaments en attente d'homologation.
- Les médicaments orphelins ont continué d'être bien représentés dans les derniers stades de développement clinique des médicaments émergents, comptant pour 23 % des médicaments faisant l'objet d'essais cliniques de phase III et 24 % des médicaments en attente d'homologation.
- Cinq nouveaux médicaments en cours d'examen prioritaire par Santé Canada sont présentés dans la section Pleins feux sur le Canada du présent rapport (tableau 4).
- Vingt-quatre nouveaux médicaments ont été sélectionnés pour être ajoutés à la liste des nouveaux médicaments de 2026 (tableau 7) parmi les nouveaux médicaments en cours d'essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation.
- Des 43 médicaments présentés dans l'édition antérieure (l'OMÉ de 2023), 11 ont depuis obtenu une autorisation de mise sur le marché (tableau 5), 26 ont été maintenus sur la liste, car ils répondaient toujours aux critères de sélection (tableau 6), et 6 ont été supprimés, car leurs essais cliniques avaient été abandonnés ou ils ne répondaient plus aux critères de sélection.

# Table des matières

|  |           |
|--|-----------|
| <b>Sommaire</b>  | <b>5</b>  |
| <b>Liste de termes</b>   | <b>7</b>  |
| <b>Introduction</b>  | <b>9</b>  |
| <b>Méthodologie</b>  | <b>10</b> |
| <b>Limites</b>   | <b>14</b> |
| <b>Aperçu des médicaments émergents en 2025</b>  | <b>15</b> |
| <b>Pleins feux sur le Canada : médicaments en cours d'examen</b>   | <b>20</b> |
| Tableau 4. Nouveaux médicaments sélectionnés en cours d'examen par Santé Canada, 2025  | 21        |
| <b>Médicaments émergents en 2026</b>   | <b>24</b> |
| Tableau 5. Médicaments émergents de l'édition 2023 de <i>L'Observateur des médicaments émergents</i> ayant reçu une autorisation de mise sur le marché | 25        |
| Tableau 6. Mise à jour sur les médicaments émergents conservés de l'édition 2023 de <i>L'Observateur des médicaments émergents</i>                     | 27        |
| Tableau 7. Nouveaux médicaments émergents sélectionnés pour l'édition 2026 de <i>L'Observateur des médicaments émergents</i>                           | 33        |
| <b>Annexe A</b>  | <b>44</b> |
| Tableau A1 : Biosimilaires en phase III ou en attente d'homologation dont les produits biologiques de référence sont commercialisés au Canada          | 44        |
| <b>Références</b>  | <b>50</b> |

# Liste de termes



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

## **AUTORISATION DE MISE SUR LE 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 ORPHELIN :** Médicament utilisé pour traiter une maladie rare. Aux fins de la présente étude, les désignations de médicaments orphelins proviennent de la base de données Drugs de GlobalData Healthcare, qui recense les désignations orphelines accordées par la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis, l'Agence européenne des médicaments (EMA), la Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) du Royaume-Uni ou le ministère japonais de la Santé, du Travail et du Bien-être (MHLW). Quant aux médicaments sélectionnés dans le tableau 7, dont la zone géographique est le Canada, les États-Unis ou l'Europe (à l'exclusion de la Russie et de la Türkiye), les désignations orphelines accordées par la FDA ou l'EMA sont notées.

**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.

**NOUVEAU MÉDICAMENT :** Ingrédient médicinal dont la mise sur le marché n'a pas encore été autorisée par un organisme de réglementation<sup>iv</sup>.

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

ii 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.

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

iv <https://www.canada.ca/fr/examen-prix-medicaments-brevetes/services/sniump/etudes-analytiques/ressources/glossaire-sniump.html>

## 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>v</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.

**THÉRAPIE CELLULAIRE :** La transplantation de cellules humaines pour remplacer ou réparer des tissus ou des cellules endommagés.

**THÉRAPIE GÉNÉRIQUE :** 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>.

---

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

vi <https://www.canada.ca/fr/sante-canada/services/medicaments-produits-sante/medicaments/base-donnees-essais-cliniques-sante-canada/glossaire.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 pourraient obtenir une autorisation de mise en marché au Canada à l'avenir.

L'édition 2026 a fait l'objet d'une réorganisation de façon à ce qu'elle soit centrée sur les médicaments qui devraient faire leur entrée sur le marché canadien dans un avenir proche. La section Pleins feux sur le Canada est présentée immédiatement après la section Aperçu des médicaments émergents en 2025. Elle est suivie du tableau des médicaments émergents de l'édition précédente qui ont obtenu une autorisation de mise sur le marché aux États-Unis ou en Europe. Une mise à jour des médicaments figurant toujours dans la liste des médicaments émergents et qui ont été retenus dans les éditions précédentes est ensuite présentée. Enfin, les nouveaux médicaments sélectionnés pour 2026 font leur entrée dans le dernier tableau, avant l'annexe.

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 Drugs de 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 et les résultats des essais cliniques<sup>vii</sup> en vue de déterminer si le médicament répond à un besoin thérapeutique non comblé, offre un mécanisme d'action nouveau ou un avantage thérapeutique par rapport aux traitements existants, ou traite une affection grave. Les médicaments mentionnés dans les éditions précédentes sont également examinés et mis à jour en fonction des résultats d'essais cliniques récemment publiés, des nouvelles désignations

réglementaires ou d'autres développements pertinents. De plus, le présent rapport donne une mise à jour des médicaments mentionnés dans l'édition précédente de l'OMÉ qui ont depuis reçu une autorisation de mise sur le marché de Santé Canada, de la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis ou de l'Agence européenne des médicaments (EMA). Les nouveaux médicaments sélectionnés aux fins du présent rapport feront également l'objet d'un suivi dans les prochaines éditions, à mesure de leur entrée dans la liste des médicaments émergents en développement.

Afin de fournir un contexte pour la sélection des médicaments, la section Aperçu des médicaments émergents fait état du nombre total de médicaments disponibles dans la liste des médicaments émergents en développement à l'échelle mondiale et donne une comparaison avec les aperçus des éditions précédentes de *L'Observateur des médicaments émergents* publiées entre septembre 2021 et août 2025.

*L'Observateur des médicaments émergents* est une publication complémentaire du rapport *Veille des médicaments mis en marché*, qui analyse les médicaments ayant reçu une première autorisation de la FDA des États-Unis, de l'EMA ou de Santé Canada. Ensemble, ces deux rapports du CEPMB permettent de surveiller le continuum post-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.

vii Le CEPMB n'évalue ni ne vérifie la qualité ou l'exactitude des résultats ou affirmations indiqués dans la littérature ou les essais cliniques.

# Méthodologie



## Aperçu des médicaments émergents

L'aperçu des médicaments émergents à l'échelle mondiale 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 de toutes les régions géographiques a été extraite de la base de données GlobalData Drugs le 18 mars 2025. Les médicaments candidats sélectionnés pour le rapport de cette année ont été mis à jour en date du 13 août 2025.

Les nouveaux ingrédients médicinaux sont ceux qui n'ont pas été approuvés antérieurement par Santé Canada, la FDA des États-Unis ou l'EMA. 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.

Les indicateurs comprennent une comparaison du nombre de médicaments dans chaque phase de développement clinique et une ventilation des différents domaines thérapeutiques pour chaque phase.

## Pleins feux sur le Canada

Les listes des présentations de médicaments et de produits de santé en cours d'examen (PCE) de Santé Canada sont évaluées selon une approche modifiée des critères de sélection en vue de cibler les médicaments qui pourraient obtenir, à court terme, une autorisation de mise en marché au Canada. Les listes utilisées dans cette édition sont à jour en date du 31 juillet 2025.

Les médicaments inscrits sur les listes des PCE comprennent les nouveaux médicaments contenant des ingrédients médicinaux qui n'ont pas été approuvés au Canada pour toute indication ou dans toute concentration ou 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 sur le marché par la FDA des États-Unis ou par l'EMA.

## 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 (issus de la base de données GlobalData Drugs), ainsi qu'un résumé des résultats publiés pertinents provenant des essais cliniques.

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) figurant dans le tableau 1 sont mentionnées lorsqu'elles sont disponibles.

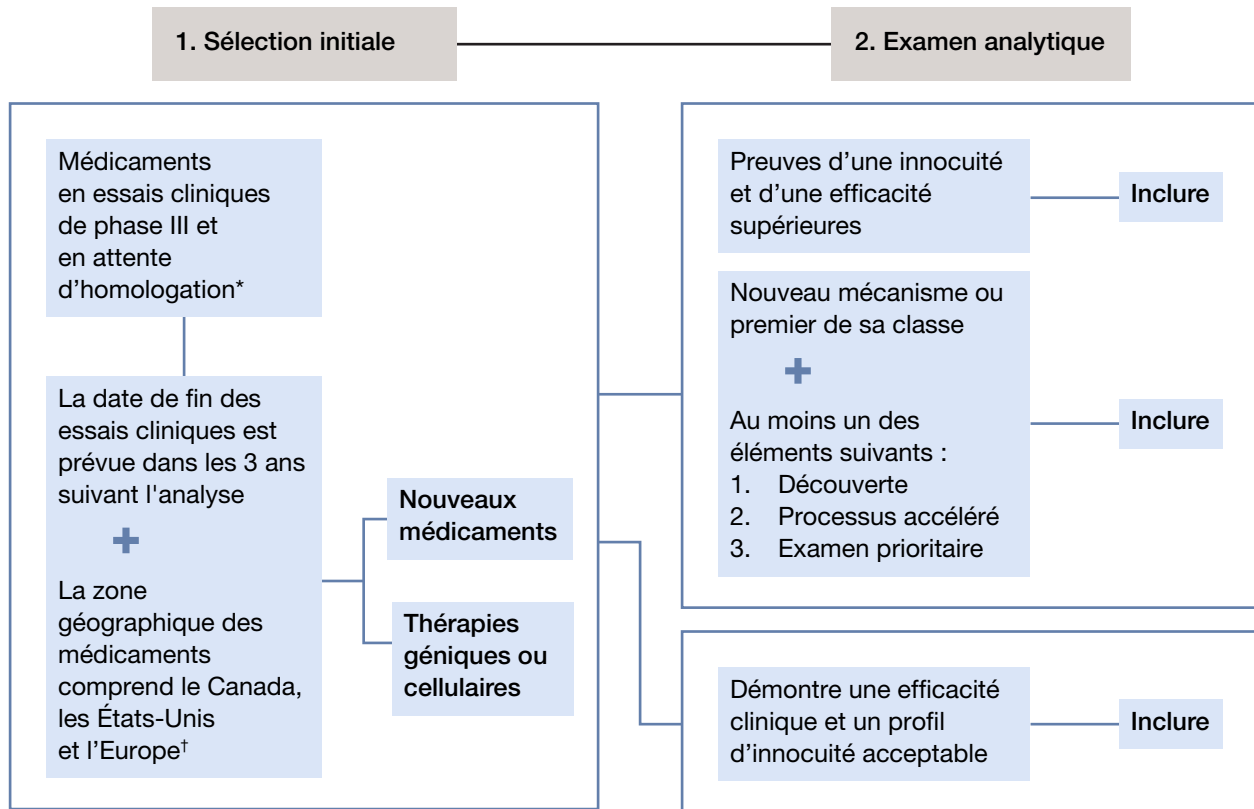
Les indications, les domaines thérapeutiques, les mécanismes d'action et les autres informations correspondent aux renseignements fournis par GlobalData. La description scientifique et les principaux attributs fournis sont axés sur l'indication précisée pour un médicament donné. Dans le cas des médicaments dont l'examen porte sur plusieurs indications, c'est l'indication principale qui est retenue.

## Médicaments émergents en 2026

Les nouveaux médicaments sélectionnés sont choisis dans la liste des médicaments faisant l'objet d'essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation dans au moins l'un des endroits suivants : Canada, États-Unis et Europe. De nombreux médicaments candidats sont premiers de leur classe ou offrent des mécanismes nouveaux pour le traitement dans un domaine thérapeutique

précis. 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 en fonction des critères de sélection établis dans le tableau 1.

Figure 1. Processus de sélection des médicaments présentés dans *L'Observateur des médicaments émergents*



\* En attente d'homologation par la Food and Drug Administration (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 Türkiye).

## Étape 1. Sélection initiale

La base de données GlobalData Drugs est utilisée pour dresser une liste de médicaments en cours d'essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation. Ces médicaments servent de base pour 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 Türkiye. Seuls les nouveaux ingrédients médicinaux dont l'innocuité et l'efficacité accrues dans les essais cliniques sont affirmées par des données rapportées sont 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 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.




Tableau 1. Critères de sélection des médicaments présentés dans la liste des médicaments émergents

| Critères de sélection   |  |
|---|--|
|  | <b>Amélioration de l'innocuité et de l'efficacité affirmée dans les essais cliniques</b> : médicament dont les données rapportées provenant d'essais cliniques affirment une innocuité accrue, de nouvelles mesures de résultats, une espérance de vie accrue ou 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 serait le premier de sa classe thérapeutique s'il obtient une autorisation de mise sur le marché.<br>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 sont étayées par une affirmation selon laquelle le médicament 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 standard.  |
|  | <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 affirmés dans les essais cliniques. Les attributs particuliers 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  | Sources des données  |
|---|--|
|  Essais cliniques de phase III au Canada                     | Base de données GlobalData Drugs; base de données sur les essais cliniques de Santé Canada; présentations de médicaments et de produits de santé en cours d'examen par Santé Canada; registre des essais cliniques des National Institutes of Health (NIH) |
|  Désignation de médicament pour maladies rares ou orphelines | Base de données GlobalData Drugs, désignations et approbations de médicaments orphelins par la FDA, désignations de médicaments orphelins par l'EMA  |
|  Produit biologique  |  |

Les indications et les domaines thérapeutiques des médicaments présentés correspondent à leur stade d'essai clinique 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.

### Sources des données

La base de données GlobalData Drugs est la principale source de données pour le repérage des médicaments émergents et des renseignements cliniques correspondants. GlobalData fait le suivi des médicaments depuis leur découverte préclinique, en passant par les essais cliniques, jusqu'au lancement sur le marché et aux ventes subséquentes. La base de données est une ressource complète de 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 faisant actuellement l'objet d'un 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 aux fins d'examen. Ceci s'applique aux présentations acceptées à partir du 1<sup>er</sup> avril 2015.

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>MD</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.

# Limites



Sauf indication contraire, les listes présentées rendent compte de la composition des médicaments émergents à compter d'août 2025. 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 avant la publication du présent rapport. Les médicaments émergents qui n'ont pas été inclus dans le rapport en raison du calendrier de sélection peuvent actuellement répondre aux critères de sélection; ceux-ci, ainsi que le reste de la liste des médicaments émergents, seront pris en considération dans la prochaine édition.

Le présent rapport donne un aperçu des médicaments émergents à l'échelle mondiale. 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, même au cours d'une même année. Il n'est pas possible de prédire en quelle année un produit sera commercialisé au Canada ni s'il obtiendra une homologation au Canada, indépendamment de son statut dans d'autres pays.

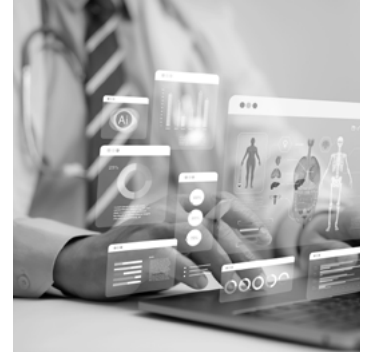
La sélection des médicaments émergents pour le tableau 7 se limite aux médicaments en cours de développement aux fins de commercialisation au Canada, aux États-Unis et en Europe. Ces médicaments continuent d'être pris en considération même s'ils ont reçu une autorisation de mise sur le marché ailleurs.

L'absence d'un médicament émergent du présent rapport ne doit pas être considérée comme une évaluation de son efficacité clinique.

Certains des médicaments émergents sélectionnés peuvent faire l'objet d'essais cliniques pour des indications supplémentaires; la présente analyse ne fait état que des indications aux stades de développement plus avancés (lors des essais cliniques de phase III ou en attente d'homologation par la FDA des États-Unis) qui remplissent les 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.

# Aperçu des médicaments émergents en 2025

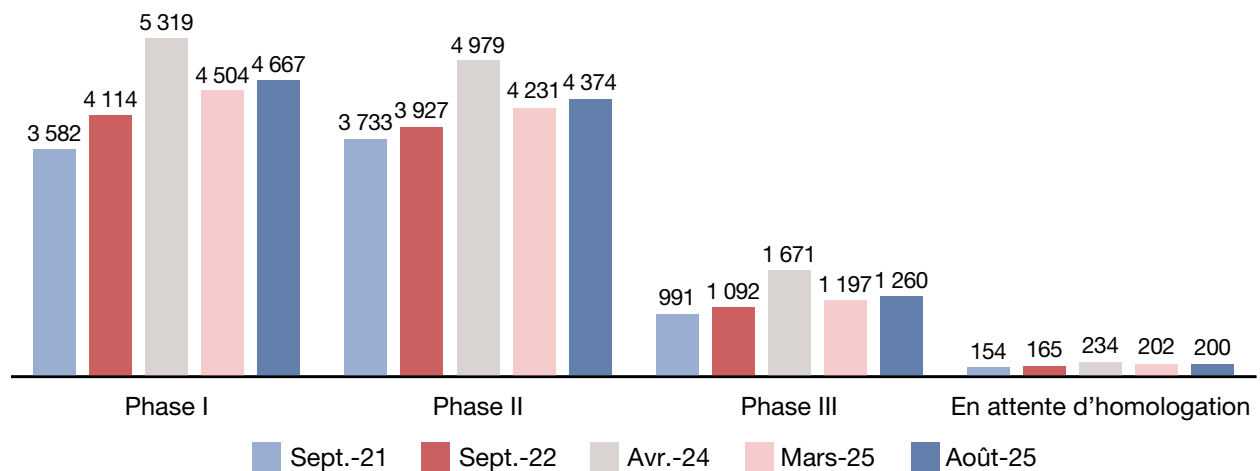


En août 2025, les nouveaux développements pharmaceutiques à l'échelle mondiale comptaient 10 501 nouveaux médicaments en cours de développement clinique, ce qui représente une baisse par rapport au total observé en avril 2024, mais correspond aux aperçus des années précédentes.

La figure 2 compare les aperçus des médicaments émergents depuis 2021, montrant une répartition des nouveaux ingrédients médicinaux qui ne sont pas encore commercialisés dans chaque phase de développement clinique. Alors que la taille de

la liste des médicaments émergents est similaire en phase I et en phase II, un nombre beaucoup plus restreint de nouveaux médicaments sont étudiés dans le cadre d'essais de phase III, et un groupe encore plus restreint est en attente d'homologation une fois que les essais requis ont été achevés. Les nouveaux médicaments sélectionnés pour la présente édition, ainsi que les médicaments retenus dans *L'Observateur des médicaments émergents 2023*, font partie des 1 460 médicaments à ces deux stades de développement avancés.

**Figure 2. Nombre de nouveaux médicaments selon le stade de développement le plus avancé dans les aperçus de 2021 à 2025**

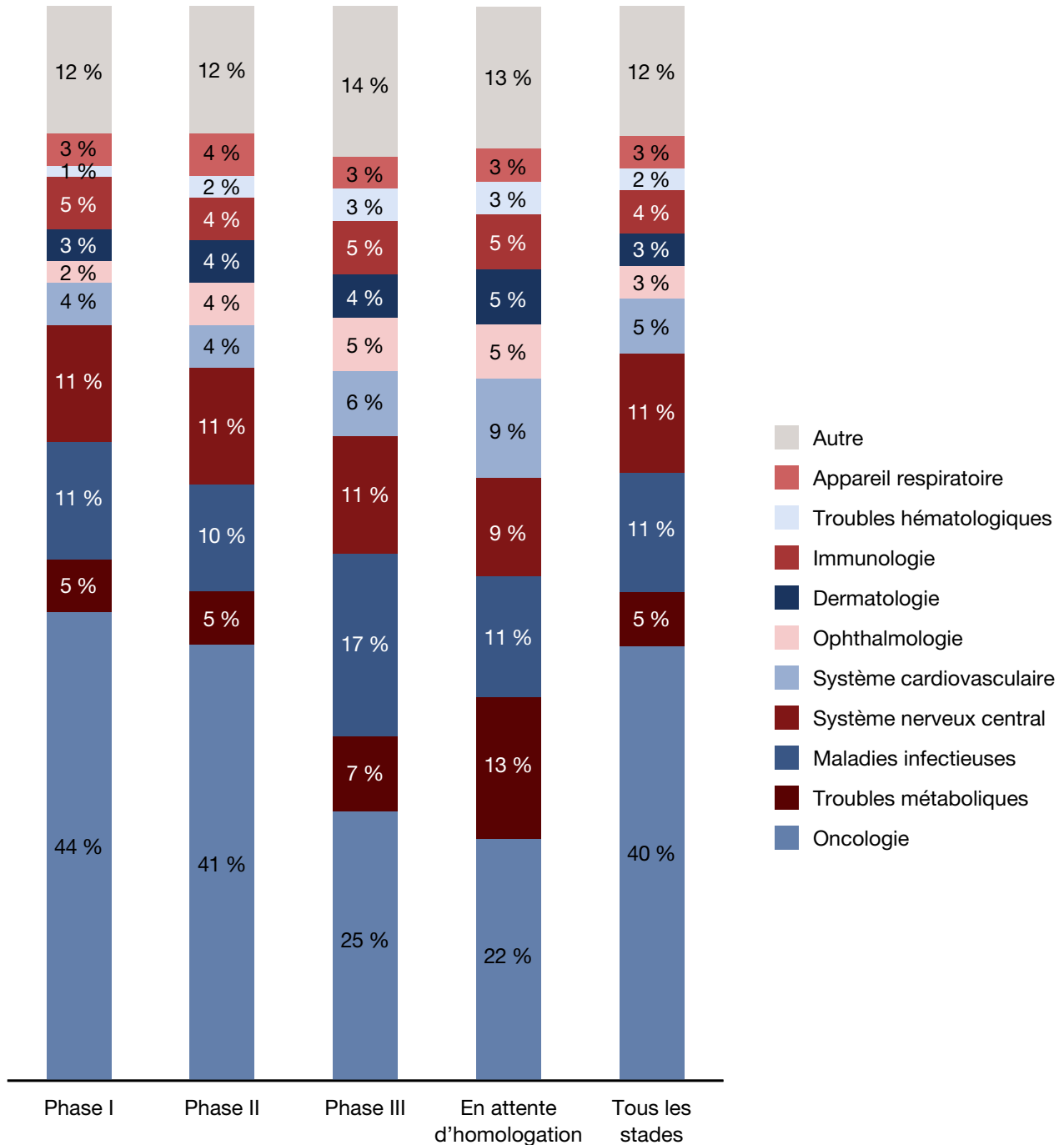


Sources de données : Base de données GlobalData Drugs (consultée de 2021 à 2025); base de données MIDAS<sup>MD</sup> d'IQVIA.

La figure 3 représente la répartition des nouveaux médicaments par domaine thérapeutique, de la phase I à l'attente d'homologation. L'oncologie reste le domaine thérapeutique le plus courant pour les nouveaux médicaments, comptant pour 40 % de l'ensemble des médicaments émergents et 22 % des médicaments en attente d'homologation. Après les médicaments oncologiques, les médicaments contre les maladies infectieuses constituent la classe la

plus courante et occupent la deuxième place depuis l'aperçu de 2020. Les médicaments pour le système nerveux central arrivent au troisième rang. Bien qu'ils ne représentent que 5 % de l'ensemble des médicaments émergents, les médicaments contre les troubles métaboliques constituent un pourcentage disproportionné de 13 % des médicaments en attente d'homologation.

**Figure 3. Répartition par classe thérapeutique des nouveaux médicaments émergents par stade de développement le plus avancé, 2025**



Sources des données : Base de données GlobalData Drugs (consultée en août 2025).

Le tableau 3a présente les indications regroupant le plus grand nombre de médicaments en développement, parmi les dix plus grands domaines thérapeutiques, en attente d'homologation. Pour certains domaines thérapeutiques ne comptant pas suffisamment de cas où plusieurs médicaments

sont en développement pour une même indication, une sélection a été retenue afin d'illustrer l'étendue du développement dans ce domaine. Le tableau 3b présente les indications de phase III les plus courantes pour ces mêmes domaines.

**Tableau 3a. Principales indications des principaux domaines thérapeutiques associés aux médicaments en attente d'homologation, 2025**

| Domaine thérapeutique (% en attente d'homologation) | Indication  | Médicaments |
|---|---|-------------|
| Oncologie (22 %)                                    | Cancer non précisé  | 9           |
|   | Cancer du sein négatif pour le récepteur 2 du facteur de croissance épidermique humain (cancer du sein HER2-) | 4           |
|   | Cancer du poumon non à petites cellules   | 4           |
| Troubles métaboliques (13 %)                        | Diabète de type 2   | 8           |
|   | Diabète   | 3           |
|   | Hyperlipidémie  | 3           |
| Maladies infectieuses (11 %)                        | Infections à influenza non précisée   | 3           |
|   | Infections au virus de l'influenza A  | 2           |
|   | Rage  | 2           |
| Système nerveux central (9 %)                       | Maladie d'Alzheimer   | 2           |
|   | Insomnie  | 2           |
|   | Douleur postopératoire  | 2           |
| Système cardiovasculaire (9 %)                      | Hypertension  | 3           |
|   | Ischémie critique des membres   | 2           |
|   | Troubles cardiovasculaires non précisés   | 2           |
| Ophtalmologie (5 %)                                 | Kératoconjonctivite sèche (sécheresse oculaire)   | 3           |
|   | Glaucome  | 2           |
|   | Dégénérescence maculaire humide (néovasculaire/exsudative)  | 2           |
| Dermatologie (5 %)                                  | Troubles dermatologiques non précisés   | 3           |
|   | Acné vulgaire   | 2           |
|   | Dermatite atopique (eczéma atopique)  | 2           |
| Immunologie (5 %)                                   | Psoriasis en plaques (psoriasis vulgaire)   | 5           |
|   | Myasthénie grave  | 1           |
|   | Angio-œdème héréditaire (AOH) (déficit en inhibiteur de la C1 estérase [C1-INH])                              | 1           |
| Troubles hématologiques (3 %)                       | Anémie associée à la néphropathie chronique (anémie rénale)   | 2           |
|   | Purpura thrombopénique idiopathique (purpura thrombopénique immunologique)                                    | 2           |
|   | Anémie de Fanconi   | 1           |
| Appareil respiratoire (3 %)                         | Maladie pulmonaire obstructive chronique (MPOC)   | 1           |
|   | Fibrose pulmonaire idiopathique   | 1           |
|   | Pneumonie à streptocoque  | 1           |

Sources des données : Base de données GlobalData Drugs (consultée en août 2025).

**Tableau 3b. Principales indications des médicaments en essais de phase III des grands domaines thérapeutiques, 2025**

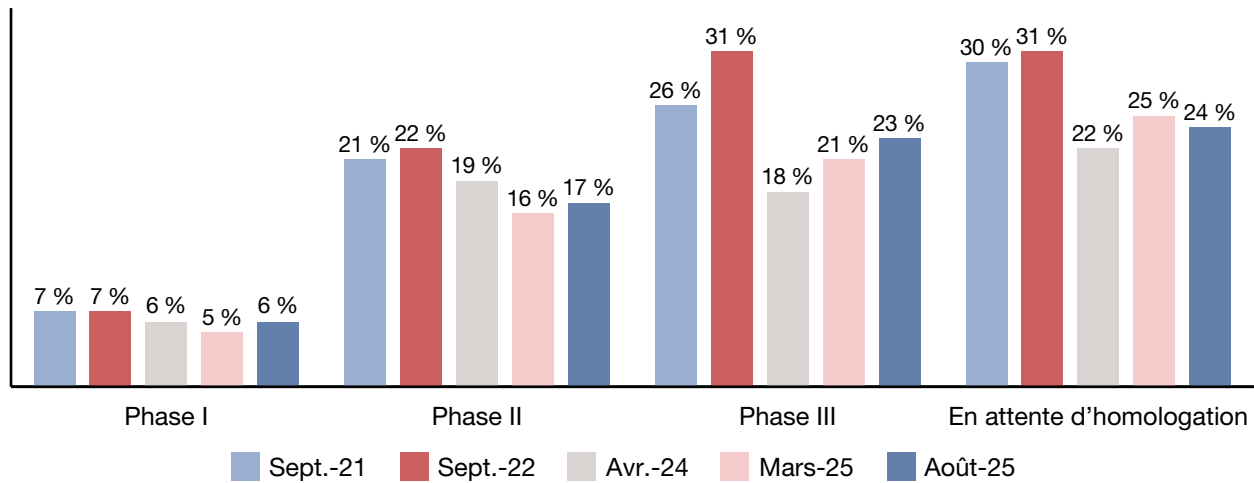
| Domaine thérapeutique (% en attente d'homologation) | Indication  | Médicaments |
|---|---|-------------|
| Oncologie (25 %)                                    | Cancer du poumon non à petites cellules   | 45          |
|   | Adénocarcinome de la jonction œsophago-gastrique  | 19          |
|   | Cancer du sein négatif pour le récepteur 2 du facteur de croissance épidermique humain (cancer du sein HER2-) | 16          |
| Troubles métaboliques (7 %)                         | Diabète de type 2   | 28          |
|   | Obésité   | 14          |
|   | Diabète de type 1 (diabète insulino-dépendant)  | 8           |
| Maladies infectieuses (17 %)                        | Maladie à coronavirus de 2019 (COVID-19)  | 69          |
|   | Diphtérie   | 6           |
|   | Poliomyélite  | 6           |
| Système nerveux central (11 %)                      | Maladie d'Alzheimer   | 12          |
|   | Douleur postopératoire  | 10          |
|   | Trouble dépressif majeur  | 9           |
| Système cardiovasculaire (6 %)                      | Hypertension idiopathique (essentielle)   | 18          |
|   | AVC ischémique aigu   | 16          |
|   | Hypertension  | 6           |
| Ophtalmologie (5 %)                                 | Kératoconjonctivite sèche (sécheresse oculaire)   | 15          |
|   | Dégénérescence maculaire humide (néovasculaire/exsudative)  | 7           |
|   | Œdème maculaire diabétique  | 4           |
| Dermatologie (4 %)                                  | Dermatite atopique (eczéma atopique)  | 16          |
|   | Acné vulgaire   | 6           |
|   | Alopécie androgénique   | 4           |
| Immunologie (5 %)                                   | Psoriasis en plaques (psoriasis vulgaire)   | 11          |
|   | Angio-œdème héréditaire (AOH) (déficit en inhibiteur de la C1 estérase [C1-INH])                              | 7           |
|   | Myasthénie grave  | 4           |
| Troubles hématologiques (3 %)                       | Hémophilie A (déficit en facteur VIII)  | 7           |
|   | Purpura thrombopénique idiopathique (purpura thrombopénique immunologique)                                    | 6           |
|   | Hémoglobinurie paroxystique nocturne  | 3           |
| Appareil respiratoire (3 %)                         | Maladie pulmonaire obstructive chronique (MPOC)   | 7           |
|   | Asthme  | 5           |
|   | Pneumonie à streptocoque  | 5           |

Sources des données : Base de données GlobalData Drugs (consultée en août 2025).

Les médicaments orphelins, tels qu'ils sont répertoriés dans la base de données GlobalData Drugs, représentaient en 2025 une part croissante de chaque étape successive des médicaments émergents à l'échelle mondiale, comme l'illustre la figure 4. Dans l'aperçu le plus récent, 24 % des médicaments en attente d'homologation et 23 % de ceux en phase III avaient reçu une désignation

de médicaments orphelins. Des informations sur les médicaments orphelins de la liste des médicaments émergents sont disponibles dans le rapport complémentaire *Veille des médicaments mis en marché*, qui recense les désignations orphelines pour les médicaments recevant une première autorisation de la part de Santé Canada, de la FDA ou de l'EMA<sup>1</sup>.

**Figure 4. Part des médicaments orphelins en cours de développement selon la dernière phase d'évaluation clinique atteinte, 2021-2025**



Sources des données : Base de données GlobalData Drugs (consultée de 2021 à 2025).












# Pleins feux sur le Canada : médicaments en cours d'examen








Cette section comprend une liste de médicaments en cours d'examen prioritaire par Santé Canada qui pourraient obtenir, à court terme, une autorisation de mise en marché au Canada. Les médicaments figurant sur cette liste sont nouveaux au Canada, mais peuvent avoir été approuvés dans d'autres pays.

Le tableau 4 présente cinq médicaments figurant actuellement sur les listes des présentations de médicaments et de produits de santé en cours d'examen (PCE) de Santé Canada en juillet 2025. Parmi les six médicaments en cours d'examen présentés dans l'édition 2023, tous sauf un ont depuis obtenu une autorisation de mise sur le marché de Santé Canada. Le traitement du syndrome de la phosphoinositide 3-kinase delta activée (SPDA) par le léniolisib demeure en examen prioritaire par Santé Canada, comme l'indique le tableau.

Tableau 4. Nouveaux médicaments sélectionnés en cours d'examen par Santé Canada, 2025

| Critères de sélection  |  |  | Principaux attributs  |   |  |   |  |   |
|--|--|--|---|---|--|---|--|---|
| <br>Innocuité et efficacité accrues   | <br>Nouveau mécanisme | <br>Thérapie génique ou cellulaire  | <br>Découverte | <br>Processus accéléré | <br>Examen prioritaire | <br>Essais cliniques au Canada | <br>Désignation de médicament pour maladies rares ou orphelines | <br>Produit biologique |
| Médicament (nom commercial) entreprise   | Indication(s) anticipée(s) <sup>†</sup>  | Description et principaux attributs  |   |   |  |   |  |   |
| <b>Troubles immunologiques</b>   |  |  |   |   |  |   |  |   |
| <b>Léniolisib</b><br><b>Joenja (États-Unis)</b><br>Pharming Technologies BV<br> | Syndrome de la phosphoinositide 3-kinase delta activée (SPDA)  |  <ul style="list-style-type: none"> <li>Il s'agit d'un inhibiteur de la sous-unité catalytique delta de la phosphatidylinositol -4,5-bisphosphate 3-kinase (BGB-10188).</li> <li>Administré par voie orale</li> <li>Approuvé par la FDA des États-Unis (Joenja; 24 mars 2023) pour le traitement du syndrome de la phosphoinositide 3-kinase delta activée<sup>2</sup>.</li> <li>L'examen de l'Agence européenne des médicaments (EMA) est en cours<sup>3</sup>.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>D'après une analyse provisoire d'une étude de prolongation ouverte à groupe unique en cours, le médicament a été bien toléré et a permis d'obtenir des résultats durables concernant une période d'exposition allant jusqu'à 5 ans chez 37 patients souffrant du SPDA<sup>4</sup>.</li> <li>Une étude de suivi portant sur six patients issus de l'essai initial de détermination de la dose de léniolisib a mis en évidence des améliorations positives et durables sur une période de six ans, appuyant l'utilisation du léniolisib comme traitement à long terme du SPDA chez les patients appropriés<sup>5</sup>.</li> <li>Un autre médicament est actuellement mis au point pour la même indication, mais la phase II n'est pas encore amorcée.</li> </ul> |   |   |  |   |  |   |

| Médicament (nom commercial) entreprise   | Indication(s) anticipée(s) <sup>†</sup>                    | Description et principaux attributs  |
|--|--|--|
| <b>Maladies infectieuses</b>   |  |  |
| <p><b>Imipénème, cilastatine et rélébactam</b><br/> <b>Recarbrio</b><br/> <b>(États-Unis, UE)</b><br/> Merck Canada Inc.</p>  | <p>Infections causées par des bactéries à Gram négatif</p> |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un inhibiteur des bêta-lactamases, de la dipeptidyl-peptidase 1 et de la protéine liant la pénicilline.</li> <li>• Administré par voie intraveineuse.</li> <li>• Approuvé par la FDA des États-Unis (Recarbrio, 2019) pour le traitement des infections urinaires et intra-abdominales compliquées causées par des bactéries Gram négatif sensibles<sup>6</sup>.</li> <li>• Approuvé par l'EMA le 13 février 2020 pour le traitement de la pneumonie nosocomiale, de la bactériémie secondaire à la pneumonie, ainsi que des infections causées par des bactéries à Gram négatif<sup>7</sup>.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Une analyse de huit essais portant sur l'association imipénème-cilastatine-rélébactam, utilisée contre diverses bactéries à Gram négatif multirésistantes, a conclu qu'elle était bien tolérée et non inférieure à l'association pipéracilline/tazobactam, ainsi qu'à l'association imipénème/cilastatine utilisée seule ou en combinaison avec la colistine, pour le traitement des infections compliquées<sup>8</sup>.</li> <li>• Il existe 10 autres médicaments en phase II de développement ciblant trois infections bactériennes traitées par Recarbrio, mais aucun ne présente le même mécanisme d'action.</li> </ul> |
| <b>Troubles métaboliques</b>   |  |  |
| <p><b>Olezarsen sodique</b><br/> <b>Tryngolza</b><br/> <b>(États-Unis, UE)</b><br/> Theratechnologies Inc.</p>              | <p>Syndrome d'hyperchylomicronémie familiale (SHCF)</p>    |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un inhibiteur de l'apolipoprotéine C-III.</li> <li>• Administré par voie sous-cutanée.</li> <li>• Approuvé par la FDA des États-Unis (Tryngolza; 19 décembre 2024) pour le traitement du syndrome d'hyperchylomicronémie familiale<sup>9</sup>.</li> <li>• Approuvé par l'EMA le 19 septembre 2025 pour le traitement du syndrome d'hyperchylomicronémie familiale (SHCF) génétiquement confirmé<sup>10</sup>.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Un essai de phase III a affirmé une réduction significative des triglycérides chez les patients recevant 80 mg d'olezarsen après six mois, comparativement au placebo. Après 53 semaines, 11 épisodes de pancréatite aiguë ont été recensés dans le groupe placebo, contre un épisode dans chacun des groupes traités par l'olezarsen<sup>11</sup>.</li> <li>• Deux autres médicaments sont actuellement en phase II du développement clinique pour la même indication. Tous deux partagent le même mécanisme d'action que l'olezarsen et le plozasiran (voir ci-dessous).</li> </ul>  |

| Médicament (nom commercial) entreprise  | Indication(s) anticipée(s) <sup>†</sup>  | Description et principaux attributs   |
|---|--|---|
| <p><b>Plozasiran</b><br/>Arrowhead Pharmaceuticals Inc.</p>    | <p>Syndrome d'hyperchylomicronémie familiale (SHCF)</p>  |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un inhibiteur de l'apolipoprotéine C-III.</li> <li>• Administré par voie sous-cutanée.</li> <li>• L'examen de la FDA est en cours<sup>12</sup>.</li> <li>• L'examen de la EMA est en cours<sup>13</sup>.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Dans un essai de phase III comparatif contre placebo, les patients ont reçu soit des injections de 25 mg ou 50 mg de plozasiran, soit un placebo, tous les trois mois pendant douze mois. Les patients ayant reçu du plozasiran présentaient des taux de triglycérides significativement plus faibles et avaient des événements indésirables moins graves et sévères par rapport au groupe placebo<sup>14</sup>.</li> <li>• Deux autres médicaments sont actuellement en phase II du développement clinique pour la même indication. Tous deux partagent le même mécanisme d'action que le plozasiran et l'olezarsen (voir ci-dessus).</li> <li>• Le plozasiran et l'olezarsen n'ont pas directement été comparés dans le cadre d'un essai clinique<sup>15</sup>.</li> </ul>   |
| <p><b>Sépiaptérine</b><br/><b>Sephience</b><br/><b>(États-Unis, UE)</b><br/>PTC Therapeutics International Ltd.</p>  | <p>Hyperphénylalaninémie (HPA) chez les adultes et les enfants atteints de phénylcétonurie (PCU)</p> |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un remplacement à la tétrahydrobioptérine.</li> <li>• Administrée par voie orale.</li> <li>• Approuvé par la FDA des États-Unis (Sephience; 28 juillet 2025) pour le traitement de l'hyperphénylalaninémie chez les patients atteints de phénylcétonurie sensible au sépiaptérine, en association avec une alimentation restreinte en phénylalanine<sup>16</sup>.</li> <li>• Approuvé par l'EMA le 19 juin 2025 pour le traitement de l'hyperphénylalaninémie (HPA, concentrations sanguines excessives de phénylalanine) chez les adultes et les enfants atteints de phénylcétonurie (PCU)<sup>17</sup>.</li> <li>• Un médicament ayant la même indication, la saproptérine (Kuvan), a reçu un avis de conformité de Santé Canada en 2010<sup>18</sup>.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Après six semaines, les patients traités par la sépiaptérine dans le cadre d'un essai de phase III ont affirmé une réduction moyenne significative de la concentration sanguine de phénylalanine (-63 %) par rapport au placebo. La sépiaptérine a été bien tolérée, sans événement indésirable grave ou sévère<sup>19</sup>.</li> <li>• Il n'y a aucun autre médicament en phase II du développement clinique pour la même indication.</li> </ul> |

<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 4 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'AMC.

Sources de données : base de données GlobalData Drugs.

# Médicaments émergents en 2026



Les tableaux suivants présentent les médicaments figurant dans l'édition précédente qui ont depuis obtenu une autorisation de mise sur le marché (tableau 5), les mises à jour concernant les médicaments conservés des éditions antérieures de *L'Observateur des médicaments émergents* (tableau 6) et les nouveaux médicaments candidats sélectionnés pour 2026 (tableau 7).

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) si les données affirment qu'ils répondent à un besoin thérapeutique non comblé, offrent un mécanisme d'action nouveau ou un avantage thérapeutique par rapport aux traitements existants, ou traitent une affection grave).

## Sélection des nouveaux médicaments candidats

Des 43 médicaments émergents présentés dans l'édition précédente, 11 ont reçu une autorisation de mise sur le marché au Canada, aux États-Unis ou en Europe en date du 30 août 2025 (tableau 5). Six d'entre eux ont été retirés de la liste en raison de l'arrêt des essais cliniques, du rejet ou du retrait de dossiers de demande d'autorisation, ou encore parce qu'ils sont désormais indiqués comme inactifs dans la base de données GlobalData Drugs. Vingt-six ont été maintenus, car des données subséquentes continuent de revendiquer des bénéfices cliniques prometteurs et de remplir les critères de sélection (tableau 6).

Sur les 1 460 nouveaux médicaments dans la liste des médicaments émergents en phase III du développement clinique et en attente d'homologation en août 2025, 708 avaient une zone géographique d'autorisation répertoriée au Canada, aux États-Unis ou en Europe dans la base de données GlobalData

Drugs. Vingt-quatre d'entre eux ont été sélectionnés en vue d'être inclus dans la liste des nouveaux médicaments sélectionnés (tableau 7).









Un grand nombre des nouveaux médicaments sélectionnés sont premiers de leur classe ou représentent un nouveau mécanisme d'action. La description de chaque nouveau médicament dans le tableau 7 indique la présence de médicaments en cours d'essais de phase II pour la même indication ainsi que ceux partageant le même mécanisme d'action. Le fait de disposer d'un aperçu des autres médicaments à un stade plus précoce de développement permet d'apporter un contexte supplémentaire quant à la place thérapeutique potentielle des nouveaux médicaments candidats sélectionnés dans la liste des médicaments émergents.













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 28,9 % des médicaments candidats en développement passant à la phase III<sup>20</sup>.

## Biosimilaires émergents

Des biosimilaires sont en cours de développement dans un large éventail de domaines thérapeutiques, et leur future entrée sur le marché pourrait entraîner des répercussions considérables sur l'éventail de traitements et de coûts au Canada. L'annexe A (tableau A1) fournit une liste des biosimilaires faisant l'objet d'essais cliniques de phase III et indique la zone géographique des médicaments au Canada, aux États-Unis ou en Europe. Les indications des biosimilaires en cours de développement sont répertoriées, de même que l'entreprise qui les met au point, le nom du produit biologique de référence au Canada, et les autres biosimilaires déjà approuvés ou en cours d'examen par Santé Canada, le cas échéant.



















Tableau 5. Médicaments émergents de l'édition 2023 de *L'Observateur des médicaments émergents* ayant reçu une autorisation de mise sur le marché














| Critères de sélection   |  |   |   |   |  | Principaux attributs  |  |   |
|---|--|---|---|---|--|---|--|---|
| <br>Innocuité et efficacité accrues  | <br>Nouveau mécanisme | <br>Thérapie génique ou cellulaire   | <br>Découverte | <br>Processus accéléré | <br>Examen prioritaire | <br>Essais cliniques au Canada | <br>Désignation de médicament pour maladies rares ou orphelines | <br>Produit biologique |
| Médicament (nom commercial) entreprise  | Indication(s)  | Statut d'approbation et principaux attributs  |   |   |  |   |  |   |
| <b>Système nerveux central</b>  |  |   |   |   |  |   |  |   |
| <b>Xanoméline-tropium</b><br>(Cobenfy)<br>Bristol Myers Squibb<br>                    | Schizophrénie;<br>Psychose   | <br><b>APPROBATION</b><br>• Approuvé par la FDA des États-Unis le 26 septembre 2024 <sup>21</sup> .  |   |   |  |   |  |   |
| <b>Dermatologie</b>   |  |   |   |   |  |   |  |   |
| <b>Pradémagène zamikéracel</b><br>(Zevaskyn)<br>Abeona Therapeutics Inc.<br>      | Épidermolyse bulleuse  |  <br><b>APPROBATION</b><br>• Approuvé par la FDA des États-Unis le 18 avril 2025 <sup>22</sup> .  |   |   |  |   |  |   |
| <b>Troubles de l'appareil digestif</b>  |  |   |   |   |  |   |  |   |
| <b>Séladelpar lysine</b><br>(Livdelzi/Lyvdelzi)<br>CymaBay Therapeutics Inc.<br>  | Cholangite biliaire primitive (cirrhose biliaire primitive)  |  <br><b>APPROBATION</b><br>• Approuvé par la FDA des États-Unis le 14 août 2024 <sup>23</sup> .<br>• Autorisation de mise sur le marché conditionnelle reçue de l'EMA le 20 février 2025 <sup>24</sup> .<br>• Avis de conformité de Santé Canada le 16 octobre 2025 <sup>25</sup> . |   |   |  |   |  |   |
| <b>Système génito-urinaire et hormones sexuelles</b>  |  |   |   |   |  |   |  |   |
| <b>Mésylate de gépotidacine</b><br>(Blujepa)<br>GSK plc.<br>                      | Cystite; infections urinaires  | <b>APPROBATION</b><br>• Approuvé par la FDA des États-Unis le 25 mars 2025 <sup>26</sup> .  |   |   |  |   |  |   |
| <b>Troubles hématologiques</b>  |  |   |   |   |  |   |  |   |
| <b>Fitusiran</b><br>(Qfitlia)<br>Sanofi<br>                                       | Hémophilie A;<br>Hémophilie B  |  <br><b>APPROBATION</b><br>• Approuvé par la FDA des États-Unis le 28 mars 2025 <sup>27</sup> .   |   |   |  |   |  |   |









| Médicament (nom commercial) entreprise   | Indication(s)   | Statut d'approbation et principaux attributs  |
|--|---|---|
| <b>Troubles hormonaux</b>  |   |   |
| <b>Palopegtériparatide</b><br>(Yorvipath)<br>Ascendis Pharma AS<br>               | Hypoparathyroïdie   | <br><b>APPROBATION</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Approuvé par la FDA des États-Unis le 9 août 2024<sup>28</sup>.</li> <li>• Autorisation de mise sur le marché délivrée par l'EMA le 17 novembre 2023<sup>29</sup>.</li> </ul>  |
| <b>Troubles immunologiques</b>   |   |   |
| <b>Garadacimab</b><br>(Andembry)<br>CSL Ltd.<br>                                  | Angio-œdème héréditaire (AOH)(déficit en inhibiteur de la C1 estérase [C1-INH]) | <br><b>APPROBATION</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Approuvé par la FDA des États-Unis le 16 juin 2025<sup>30</sup>.</li> <li>• Avis de conformité de Santé Canada le 6 août 2025<sup>31</sup>.</li> <li>• Autorisation de mise sur le marché délivrée par l'EMA le 2 octobre 2025<sup>32</sup>.</li> </ul>              |
| <b>Oncologie</b>   |   |   |
| <b>Datopotamab déruxtécán</b><br>(Datroway)<br>Daiichi Sankyo Co Ltd.<br>       | Cancer du sein (HR+, HER2-)   | <br><b>APPROBATION</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Approuvé par la FDA des États-Unis le 17 janvier 2025<sup>33</sup>.</li> <li>• Autorisation de mise sur le marché délivrée par l'EMA le 4 avril 2025<sup>34</sup>.</li> </ul>  |
| <b>Citrate de révuménib</b><br>(Revuforj)<br>Syndax Pharmaceuticals Inc.<br>    | Leucémie myéloïde aiguë réfractaire;<br>Leucémie myéloïde aiguë récidivante     | <br><b>APPROBATION</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Approuvé par la FDA des États-Unis le 15 novembre 2024<sup>35</sup>.</li> </ul>  |
| <b>Citrate de vorasidenib</b><br>(Voranigo)<br>Les Laboratoires Servier SAS<br> | Astrocytome;<br>Oligodendrogliome   | <br><b>APPROBATION</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Approuvé par la FDA des États-Unis le 6 août 2024<sup>36</sup>.</li> <li>• Avis de conformité de Santé Canada le 27 août 2024<sup>37</sup>.</li> <li>• Autorisation de mise sur le marché délivrée par l'EMA le 17 septembre 2025<sup>38</sup>.</li> </ul>         |
| <b>Zolbétuximab</b><br>(Vyloy)<br>Astellas Pharma Inc.<br>                      | Adénocarcinome de la jonction œsophago-gastrique; cancer de l'estomac           | <br><b>APPROBATION</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Autorisation de mise sur le marché délivrée par l'EMA le 19 septembre 2024<sup>39</sup>.</li> <li>• Approuvé par la FDA des États-Unis le 18 octobre 2024<sup>40</sup>.</li> <li>• Avis de conformité de Santé Canada le 13 décembre 2024<sup>41</sup>.</li> </ul> |










Sources de données : base de données GlobalData Drugs.











Tableau 6. Mise à jour sur les médicaments émergents conservés de l'édition 2023 de *L'Observateur des médicaments émergents*











| Critères de sélection  |  |  |   |   |  | Principaux attributs  |  |   |
|--|--|--|---|---|--|---|--|---|
| <br>Innocuité et efficacité accrues   | <br>Nouveau mécanisme | <br>Thérapie génique ou cellulaire  | <br>Découverte | <br>Processus accéléré | <br>Examen prioritaire | <br>Essais cliniques au Canada | <br>Désignation de médicament pour maladies rares ou orphelines | <br>Produit biologique |
| Médicament (nom commercial) Entreprise   | Indication(s)  | Mise à jour  |   |   |  |   |  |   |
| Système cardiovasculaire   |  |  |   |   |  |   |  |   |
| <b>Abélacimab</b><br>Anthos Therapeutics Inc.<br>   | Thrombose veineuse profonde (TVP); embolie pulmonaire; fibrillation auriculaire                        |  <br><b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Selon une étude coût-efficacité, l'abélacimab pourrait permettre une économie potentielle de 50 000 \$ US et une amélioration de 1,5 année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ) par personne sur un horizon temporel à vie par rapport au rivaroxaban, qui est un anticoagulant administré directement par voie orale<sup>42</sup>.</li> <li>• Deux essais de phase III sur la thromboembolie veineuse (TEV) associée au cancer sont en cours, avec une date d'achèvement primaire estimée à décembre 2026 pour les deux<sup>43,44</sup>.</li> <li>• Un essai de phase III pour les patients souffrant de fibrillation auriculaire (FA) est en cours, la fin de l'essai primaire étant estimée à août 2026<sup>45</sup>.</li> </ul>   |   |   |  |   |  |   |
| <b>Aficamten</b><br>Cytokinetics Inc.<br>    | Cardiomyopathie hypertrophique   |  <br><b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Son efficacité est similaire à celle du mavacamten (Camzyos), qui est également un inhibiteur de la myosine cardiaque, mais sa demi-vie est plus courte et les interactions médicamenteuses sont moins nombreuses<sup>46</sup>, ce qui laisse supposer une meilleure innocuité. La demi-vie plus courte permet d'augmenter rapidement la dose, se traduisant par un soulagement plus rapide des symptômes<sup>47</sup>.</li> <li>• Les essais de phase III SEQUOIA-HCM et MAPLE-HCM ont été achevés, affirmant respectivement : « des améliorations substantielles sur un large éventail de mesures d'efficacité cliniquement pertinentes » [traduction]<sup>48</sup> et que « la monothérapie par l'aficamten était supérieure à la monothérapie par le métoprolol pour améliorer la consommation maximale d'oxygène, les paramètres hémodynamiques et réduire les symptômes » [traduction]<sup>49</sup>.</li> <li>• Quatre essais de phase III sont en cours de recrutement ou enrôlement, et un essai est actuellement actif<sup>50</sup>.</li> </ul> |   |   |  |   |  |   |

| Médicament (nom commercial) Entreprise  | Indication(s)  | Mise à jour   |
|---|--|---|
| <b>Étripamil</b><br>Milestone<br>Pharmaceuticals Inc.<br>  | Tachycardie supraventriculaire   | <br><b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• L'essai de phase III a été achevé en décembre 2024<sup>51</sup>.</li> <li>• Les résultats d'un essai de phase III achevé affirment que l'étripamil a été bien toléré et efficace, avec un profil d'innocuité constant<sup>52</sup>.</li> <li>• Un essai de phase III recrute actuellement des patients atteints de tachycardie<sup>53</sup>, tandis qu'un autre essai portant sur la fibrillation auriculaire est prévu pour débuter en 2026<sup>54</sup>.</li> <li>• Le médicament a été présenté à la FDA des États-Unis aux fins d'examen<sup>55</sup>.</li> </ul> |
| <b>Nérinétide</b><br>NoNO Inc.<br>                | AVC ischémique aigu  |  <br><b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Trois essais de phase III sont terminés<sup>56,57,58</sup>.</li> <li>• Une méta-analyse des essais achevés fait état d'une sous-population de patients ayant des bénéfices cliniquement significatifs du traitement par le nérinétide, ce qui suggère une cible pour de futurs essais<sup>59</sup>.</li> </ul>  |
| <b>Obicétrapib</b><br>NewAmsterdam<br>Pharma Company<br>   | Dyslipidémie; hypercholestérolémie familiale hétérozygote (HFHe); athérosclérose | <br><b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Trois essais de phase III sont terminés. Il a été constaté que l'obicétrapib avait « ralenti de manière significative la progression des biomarqueurs de l'athérosclérose cardiovasculaire sur 12 mois chez des participants atteints de [maladie cardiovasculaire athérosclérotique]<sup>60</sup>, » [traduction], et qu'en association avec l'ézétimibe, il « réduisait significativement le cholestérol LDL » [traduction]<sup>61</sup>.</li> <li>• Trois autres essais de phase III sont en cours<sup>62</sup>.</li> </ul>  |
| <b>Pelacarsen sodique</b><br>Novartis AG<br>  | Maladie cardiovasculaire; hyperlipidémie   | <br><b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Un essai de phase III a été achevé; les résultats ne sont pas encore disponibles. Cinq autres essais sont actifs ou en cours de recrutement<sup>63</sup>.</li> </ul>  |
| Système nerveux central   |  |   |
| <b>Fosigotifator</b><br>Calico Life Sciences LLC<br>   | Sclérose latérale amyotrophique (SLA)  | <br><b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Un essai de phase III a été achevé, évaluant l'innocuité et l'efficacité du traitement de la SLA<sup>64</sup>. Un autre est en cours et devrait être achevé en avril 2026<sup>65</sup>.</li> </ul>  |

| Médicament (nom commercial) Entreprise  | Indication(s)   | Mise à jour  |
|---|---|--|
| <b>Latozinémab</b><br><b>(anciennement AL-001)</b><br>Alector Inc.<br>   | Démence frontotemporale (DFT)                                     |  <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Dans le cadre d'un essai de phase II, le traitement au latozinémab de la démence frontotemporale n'a pas affirmé d'effet significatif sur la progression de la maladie, bien que le traitement ait été sûr et bien toléré, en général<sup>66</sup>.</li> <li>L'essai de phase III est toujours en cours; il devrait être achevé en août 2027<sup>67</sup>. Une étude de prolongation de la phase III a été amorcée; le recrutement des patients est en cours<sup>68</sup>.</li> </ul> |
| <b>ND-0612</b><br><b>(lévodopa-carbidopa pour perfusion sous-cutanée)</b><br>Neuroderm,<br>une filiale de Mitsubishi Tanabe Pharma Corp.<br> | Maladie de Parkinson (MP)   | <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Des résultats positifs tirés des essais de phase III ont été rapportés<sup>69</sup> et publiés<sup>70</sup>.</li> <li>Un essai de phase III est en cours; il devrait être achevé en février 2027<sup>71</sup>.</li> </ul>   |
| <b>Résinifératoxine</b><br>Grunenthal GmbH  | Douleur liée à l'arthrose   |  <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Trois essais de phase III sur la douleur associée à l'arthrose du genou ont été réalisés; les résultats ne sont pas encore disponibles<sup>72</sup>.</li> </ul>   |
| <b>Valiltramiprosate</b><br><b>(anciennement ALZ-801)</b><br>Alzheon Inc.<br>  | Maladie d'Alzheimer (MA)  |  <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>L'essai de phase III a été achevé. Les résultats obtenus dans la population atteinte de la maladie d'Alzheimer à un stade précoce n'ont pas affirmé « d'efficacité clinique significative à 78 semaines », mais ont affirmé « un ralentissement significatif de l'atrophie cérébrale » [traduction]<sup>73</sup>.</li> <li>Une étude de prolongation de phase III à long terme est en cours<sup>74</sup>.</li> </ul>  |
| Troubles gastro-intestinaux   |   |  |
| <b>Efruxifermin</b><br>Akero Therapeutics Inc.<br>   | Stéatohépatite associée à un dysfonctionnement métabolique (MASH) |  <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Le recrutement de patients aux fins d'un nouvel essai de phase III est en cours<sup>75</sup>. Un recrutement est aussi en cours pour un autre essai<sup>76</sup>.</li> <li>Un essai de phase III est actif et devrait être achevé en octobre 2026<sup>77</sup>.</li> </ul>  |
| <b>Obéfazimod</b><br>Abivax SA<br>   | Colite ulcéreuse  |  <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Deux essais de phase III ont été achevés<sup>78</sup>. Un troisième essai d'innocuité de longue durée est actif; l'étude devrait être achevée en mai 2030<sup>79</sup>.</li> </ul>  |



















| Médicament (nom commercial) Entreprise   | Indication(s)   | Mise à jour  |
|--|---|--|
| <b>Troubles génétiques</b>   |   |  |
| <b>Fazirsiran sodique</b><br>Arrowhead Pharmaceuticals Inc.<br>   | Déficit en alpha-1-antitrypsine (DA1A)  | <br><b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Deux essais de phase III sont en cours de recrutement<sup>80</sup>. Une étude de prolongation à long terme est active; l'étude devrait être achevée en 2033<sup>81</sup>.</li> </ul>   |
| <b>Système génito-urinaire et hormones sexuelles</b>   |   |  |
| <b>Inaxapline (VX19-147)</b><br>Vertex Pharmaceuticals Inc.<br>   | Glomérulosclérose segmentaire et focale (GSF); Maladie rénale chronique (insuffisance rénale chronique) | <br><b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>L'essai adaptatif de phase II/III est en cours; il devrait être achevé en juin 2026<sup>82</sup>.</li> </ul>   |
| <b>Troubles hématologiques</b>   |   |  |
| <b>Bentracimab</b><br>SFJ Pharmaceuticals Inc.<br>               | Troubles hémorragiques et de la coagulation   | <br><ul style="list-style-type: none"> <li>La désignation orpheline a été accordée le 18 mars 2025 par la FDA<sup>83</sup>.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Un essai de phase III a été achevé en septembre 2024<sup>84</sup>. Des résultats présentés lors d'une conférence en 2025 affirment qu'il a permis de « rétablir la fonction plaquettaire en quelques minutes et n'a pas été associé à des réactions allergiques graves ni à des arrêts de traitement liés aux effets indésirables » [traduction]<sup>85</sup>.</li> </ul> |
| <b>Maladies infectieuses</b>   |   |  |
| <b>Zoliflodacin</b><br>Innoviva Inc.<br>                        | Gonorrhée urétrale et cervicale non compliquée  | <ul style="list-style-type: none"> <li>Examen prioritaire accordé par la FDA en juin 2025<sup>86</sup>.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les résultats tirés de l'essai de phase III ont été positifs<sup>87</sup>. Le zoliflodacin « a démontré sa non-infériorité pour obtenir une guérison microbiologique au siège urogénital de l'infection et a été généralement bien toléré » [traduction]<sup>88</sup>.</li> </ul>  |
| <b>Troubles métaboliques</b>   |   |  |
| <b>Clémidsogène lanparvovec (RGX-121)</b><br>RegenzBio Inc.<br> | Mucopolysaccharidose de type II (MPS II) (maladie de Hunter)  | <br><ul style="list-style-type: none"> <li>Examen prioritaire accordé par la FDA en mai 2025<sup>88</sup>.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>L'essai CAMPSIITE de phase I/II/III est en cours; il devrait être achevé en août 2025<sup>89</sup>.</li> </ul>   |




| Médicament (nom commercial) Entreprise   | Indication(s)  | Mise à jour  |
|--|--|--|
| <b>Oncologie</b>   |  |  |
| <b>Bémarituzumab</b><br>Amgen Inc.<br>                              | Adénocarcinome de la jonction œsophago-gastrique; cancer de l'estomac; cancer de la vessie; carcinome de la jonction œsophago-gastrique                    |  <ul style="list-style-type: none"> <li>Désignation orpheline accordée par l'EMA le 21 août 2024<sup>90</sup>.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Deux essais de phase III sont en cours; ils devraient être achevés en juin 2026<sup>91</sup> et en janvier 2027<sup>92</sup>.</li> </ul>   |
| <b>Gemcitabine (GemRIS)</b><br>Johnson & Johnson<br>                | Cancer de la vessie non invasif sur le plan musculaire (CVNIM)(cancer superficiel de la vessie); cancer de la vessie invasif sur le plan musculaire (CVIM) |  <ul style="list-style-type: none"> <li>La désignation orpheline a été accordée le 1<sup>er</sup> juillet 2025 par la FDA<sup>93</sup>.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Un essai de phase III pour le CVIM devrait être achevé en décembre 2028<sup>94</sup>.</li> <li>Deux essais de phase III pour le CVIM sont actifs; ils devraient être achevés en 2029<sup>95</sup> et en 2031<sup>96</sup>.</li> </ul> |
| <b>Dichlorhydrate de navitoclax</b><br>AbbVie Inc.<br>            | Myélofibrose   |  <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Un essai de phase III a été achevé en janvier 2025<sup>97</sup>. Un autre est en cours et devrait être achevé en décembre 2026<sup>98</sup>.</li> </ul>   |
| <b>Chlorhydrate de patidégib</b><br>Sol-Gel Technologies Ltd.<br> | Syndrome de Gorlin (naevomatose basocellulaire)  |  <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Un essai de phase III est en cours; il devrait être achevé en août 2026<sup>99</sup>.</li> <li>Les résultats d'un essai de phase II laissent entendre que le patidégib a réduit les carcinomes basocellulaires avec des effets indésirables minimes<sup>100</sup>.</li> </ul>   |
| <b>Acétate de rusfertide</b><br>Protagonist Therapeutics Inc.<br> | Polycythémie vraie (PV)  |  <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Un autre essai de phase III a commencé, en plus de celui en cours; les dates d'achèvement estimées sont respectivement en avril et en juin 2027<sup>101,102</sup>.</li> </ul>   |







| Médicament (nom commercial) Entreprise  | Indication(s)                      | Mise à jour   |
|---|------------------------------------|---|
| <b>SGX-301 - Hypéricine sodique (hypéricine synthétique)</b><br>Soligenix Inc.<br>    | Lymphome T cutané (LTC)            |  <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>L'entreprise a présenté à la FDA des États-Unis une demande de drogue nouvelle en décembre 2022. Après un examen préliminaire, la FDA a estimé que la demande de drogue nouvelle n'était pas suffisamment détaillée pour permettre un examen approfondi<sup>103</sup>. Par suite de discussions avec la FDA, un essai de confirmation de phase III a été amorcé<sup>104,105</sup>.</li> <li>Le recrutement de patients aux fins d'un essai de confirmation de phase III est en cours; l'étude devrait être achevée en octobre 2026<sup>106</sup>.</li> </ul>   |
| <b>Appareil respiratoire</b>  |                                    |   |
| <b>AD-109 (atomoxétine + R-oxybutynine)</b><br>Apnimed, Inc.<br>    | Apnée obstructive du sommeil (AOS) |  <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Deux essais de phase III ont été achevés<sup>107,108</sup>. Un recrutement de patients est en cours aux fins d'un troisième essai; l'essai devrait s'achever en juin 2026<sup>109</sup>.</li> </ul>  |
| <b>Brensocatib</b><br>Insmad Inc.<br>   | Bronchectasie                      |  <ul style="list-style-type: none"> <li>Examen prioritaire accordé par la FDA en février 2025<sup>110</sup>.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Un essai de phase III a été achevé pour le traitement de la COVID-19 et n'a affirmé aucune amélioration de l'état clinique chez les patients hospitalisés<sup>111</sup>.</li> <li>L'essai de phase III pour la bronchectasie s'est achevé en octobre 2024<sup>112</sup>. Le brensocatib administré une fois par jour « a entraîné un taux annualisé d'exacerbations pulmonaires inférieur à celui du placebo, et la diminution du volume expiratoire maximal en une seconde (VEMS<sub>1</sub>) était moindre avec la dose de 25 mg de brensocatib qu'avec le placebo » [traduction]<sup>113</sup>.</li> </ul> |





Sources de données : base de données GlobalData Drugs




Tableau 7. Nouveaux médicaments émergents sélectionnés pour l'édition 2026 de *L'Observateur des médicaments émergents*




| Critères de sélection  |  |   |   |   |  | Principaux attributs  |  |   |
|--|--|---|---|---|--|---|--|---|
| <br>Innocuité et efficacité accrues   | <br>Nouveau mécanisme   | <br>Thérapie génique ou cellulaire   | <br>Découverte | <br>Processus accéléré | <br>Examen prioritaire | <br>Essais cliniques au Canada | <br>Désignation de médicament pour maladies rares ou orphelines | <br>Produit biologique |
| Médicament (nom commercial) Entreprise   | Indication(s)  | Description et principaux attributs   |   |   |  |   |  |   |
| Système nerveux central  |  |   |   |   |  |   |  |   |
| <b>Bexicasérine</b><br>Longboard Pharmaceuticals Inc.<br>  | Syndrome de Dravet (épilepsie myoclonique sévère du nourrisson); encéphalopathie épileptique et développementale (EED); syndrome de Lennox-Gastaut |   <ul style="list-style-type: none"> <li>La bexicasérine (LP-352) agit comme agoniste du récepteur 5-hydroxytryptamine 2C (5-HT<sub>2C</sub>).</li> <li>Le 5-HT<sub>2C</sub> est un récepteur couplé aux protéines G (GPCR)<sup>14</sup>.</li> <li>Administrée par voie orale.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Essais de phase III non publiés à ce jour.</li> <li>L'étude de phase II PACIFIC (1b/2a) était un essai à double insu auprès de patients atteints du syndrome de Dravet et d'autres EED (non publié)<sup>15</sup>.</li> <li>L'essai DEEP SEA est un essai multicentrique à double insu de phase III qui prévoit le recrutement de 320 patients (de 2 à 65 ans) qui recevront de la bexicasérine ou un placebo pendant 12 semaines. Les patients admissibles qui terminent cette étude peuvent s'inscrire à un essai de prolongation de 52 semaines (annoncé en octobre 2024). L'étude recrute activement des patients<sup>16</sup>.</li> <li>Il existe un médicament en essai de phase II pour le traitement du syndrome de Dravet et un autre pour le syndrome de Lennox-Gastaut. Ils n'ont toutefois pas le même mécanisme d'action que la bexicasérine.</li> </ul> |   |   |  |   |  |   |
| <b>Tanruprubart</b><br>Annexon Inc.<br>                | Syndrome de Guillain-Barré   |    <ul style="list-style-type: none"> <li>Le tanruprubart (ANX005) est un anticorps monoclonal qui inhibe la molécule C1q, qui initie la voie classique du complément menant à la neuro-inflammation et aux lésions nerveuses<sup>17</sup>.</li> <li>Administré par perfusion intraveineuse.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Un essai de phase III a été mené auprès de 241 participants au Bangladesh et aux Philippines<sup>18</sup>, qui ont reçu des doses de 30 mg/kg ou 75 mg/kg d'ANX005. Annexon Biosciences a publié des résultats affirmant que la dose de 30 mg/kg supprimait le C1q pendant une semaine et que la dose plus élevée le supprimait pendant 2 à 3 semaines, selon des données non publiées<sup>19</sup>.</li> <li>Aucun médicament ayant cette indication n'est en essai de phase II.</li> </ul>  |   |   |  |   |  |   |





| Médicament (nom commercial) Entreprise   | Indication(s)  | Description et principaux attributs   |
|--|--|---|
| <b>Dermatologie</b>  |  |   |
| <p><b>SkinTE</b><br/>Regen ETP Inc.,<br/>PolarityBio</p>  | <p>Ulcères diabétiques du pied</p>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'une thérapie cellulaire régénérative personnalisée et autologue.</li> <li>• Administré par voie topique.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• La désignation de découverte (<i>Breakthrough</i>) de la FDA a été accordée à la suite des résultats d'un essai de phase II démontrant l'efficacité du traitement. Chez soixante-dix pour cent des patients recevant SkinTE en plus du traitement standard, la fermeture de la plaie est survenue à 12 semaines, contre 34 % des patients recevant uniquement le traitement standard. La réduction de la surface en pourcentage (PAR) était également significativement plus importante dans le groupe SkinTE, atteignant 80,7 % contre 26,8 %, sans entraîner davantage d'événements indésirables que le traitement standard<sup>120</sup>.</li> <li>• Un essai de phase III est en cours; des résultats sont attendus en 2026<sup>121</sup>.</li> <li>• Un protocole de traitement en accès élargi a été approuvé par la FDA et ouvert par le fabricant en septembre 2025 afin de permettre l'accès à SkinTE pour les patients présentant des ulcères du pied diabétique de grade 1 à l'échelle de Wagner<sup>122</sup>.</li> <li>• Cinq médicaments ayant cette indication sont en essai de phase II. Aucun n'a le même mécanisme d'action que SkinTE.</li> </ul> |
| <b>Troubles gastro-intestinaux</b>   |  |   |
| <p><b>Pégozafermine</b><br/>89bio Inc.</p>              | <p>Stéatohépatite associée à un dysfonctionnement métabolique (MASH ou NASH) et ses complications associées.</p> |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• La pégozafermine (BI089-100) est un analogue du facteur de croissance des fibroblastes 21 (FGF21), modifié par glycosylation et pégylation, qui agit comme agoniste des récepteurs FGFR1c, 2c et 3c en présence de bêta-klotho.</li> <li>• Administré par voie sous-cutanée.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Dans un essai de phase IIb, le pourcentage de patients répondant aux critères de résolution de la NASH était de 2 % dans le groupe placebo, de 37 % dans le groupe recevant 15 mg de pégozafermine (différence par rapport au placebo : 35 points de pourcentage; IC à 95 % : 10 à 59), de 23 % dans le groupe recevant 30 mg (différence : 21 points de pourcentage; IC à 95 % : 9 à 33) et de 26 % dans le groupe recevant 44 mg (différence : 24 points de pourcentage; IC à 95 % : 10 à 37)<sup>123</sup>.</li> <li>• Un essai de phase III est en cours<sup>124</sup> et deux autres sont en phase de recrutement<sup>125,126</sup>.</li> <li>• Douze médicaments ayant cette indication sont en essai de phase II. Aucun n'a le même mécanisme d'action que la pégozafermine.</li> </ul>   |






| Médicament (nom commercial) Entreprise   | Indication(s)  | Description et principaux attributs  |
|--|--|--|
| <b>Troubles génétiques</b>   |  |  |
| <b>Histidinate de cuivre</b><br>Sentynl Therapeutics Inc.<br> | Maladie de Menkes  |  <ul style="list-style-type: none"> <li>Il s'agit d'un traitement de remplacement qui augmente les concentrations de cuivre dans le cerveau, tout en évitant l'absorption gastro-intestinale.</li> <li>Administré par voie sous-cutanée.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les résultats d'un petit essai de phase I/II et d'un essai de phase III plus large, ouvert et à groupe unique, ont été comparés à ceux de cohortes historiques non traitées, et des bénéfices statistiquement significatifs quant à la survie globale ont été observés<sup>127,128</sup>.</li> <li>Aucun médicament ayant cette indication n'est en essai de phase II.</li> </ul>  |
| <b>Efsudénermine alfa</b><br>EspeRare Foundation<br>          | Dysplasie ectodermique hypohidrotique liée à l'X (XLHED) |  <ul style="list-style-type: none"> <li>Il s'agit d'une protéine de fusion recombinante agissant comme agoniste du récepteur de l'ectodysplasine A (EDAR).</li> <li>Administrée par voie intraveineuse et intra-amniotique.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>L'essai EDELIFE de phase II (NCT04980638) est actuellement en phase de recrutement afin d'évaluer l'innocuité et l'efficacité de l'ER-004 administrée par voie intra-amniotique chez des fœtus de sexe masculin atteints de dysplasie ectodermique hypohidrotique liée à l'X (XLHED). Les dates d'achèvement prévues sont février 2027 (primaire) et décembre 2032 (complet). Une phase de suivi à long terme sur cinq ans suivra la période d'essai initiale<sup>129</sup>.</li> <li>Aucun médicament ayant cette indication n'est en essai de phase II.</li> </ul>  |
| <b>Setrusumab</b><br>Ultragenyx<br>                         | Ostéogenèse imparfaite (maladie des os de verre)         |  <ul style="list-style-type: none"> <li>Il s'agit d'un anticorps monoclonal anti-sclérostine. La sclérostine est une protéine qui inhibe la formation osseuse.</li> <li>Administré par voie intraveineuse.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>La désignation de découverte (<i>Breakthrough</i>) de la FDA a été accordée en octobre 2024 en fonction de résultats affirmant une « diminution rapide et cliniquement significative du taux de fracture » [traduction] lors d'une étude en cours de phase II<sup>130</sup>.</li> <li>Trois essais de phase III sont en cours pour évaluer la réduction du taux de fracture chez les patients pédiatriques recevant du setrusumab<sup>131</sup>, chez les patients recevant du setrusumab comparativement à un placebo<sup>132</sup>, et chez les patients pédiatriques recevant du setrusumab comparativement à des bisphosphonates IV<sup>133</sup>.</li> <li>Aucun médicament ayant cette indication n'est en essai de phase II.</li> </ul> |








| Médicament (nom commercial) Entreprise  | Indication(s)                 | Description et principaux attributs  |
|---|-------------------------------|--|
| <b>Immunologie</b>  |                               |  |
| <p><b>Navénibart</b><br/>Astria Therapeutics Inc.</p>  | <p>Angioœdème héréditaire</p> |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un anticorps monoclonal qui inhibe la kallikréine plasmatique, une enzyme dont l'activité perturbe le processus de coagulation dans le cerveau.</li> <li>• Administré par voie sous-cutanée.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Les résultats finaux d'ALPHA-STAR, un essai de validation de concept à doses variables mené chez des adultes atteints d'angioœdème héréditaire de type 1, ont démontré une réduction de 90 à 95 % du taux mensuel moyen de crises à 6 mois, ainsi qu'un profil d'innocuité favorable<sup>134</sup>.</li> <li>• Un essai multicentrique de phase III, randomisé, à double insu et contrôlé par placebo, est en cours de recrutement. Une dose sera administrée tous les trois mois ou tous les six mois<sup>135</sup>.</li> <li>• Aucun médicament ayant cette indication n'est en essai de phase II.</li> </ul> |
| <b>Maladies infectieuses</b>  |                               |  |
| <p><b>Bépirovirsén sodique</b><br/>GSK plc</p>        | <p>Hépatite B</p>             |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un oligonucléotide antisens ciblant l'ensemble des ARN du virus de l'hépatite B (VHB), y compris les ARN messagers du VHB et l'ARN pré-génomique.</li> <li>• Administré par voie sous-cutanée.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• La désignation de processus accéléré (<i>Fast Track</i>) de la FDA a été reçue en février 2024. Le bépirovirsén est le seul médicament en essai de phase III ayant « démontré le potentiel d'obtenir une réponse de guérison cliniquement significative » [traduction], d'après les résultats des essais de phase II<sup>136</sup>.</li> <li>• Deux essais de phase III sont en cours<sup>137,138</sup>.</li> <li>• Six médicaments ayant cette indication sont en essai de phase II. Aucun n'a le même mécanisme d'action que le bépirovirsén sodique.</li> </ul>  |








| Médicament (nom commercial) Entreprise   | Indication(s)  | Description et principaux attributs  |
|--|--|--|
| <p><b>Énibarcimab</b><br/>Adrenomed AG</p>                | <p>Septicémie;<br/>choc septique;<br/>choc<br/>cardiogénique</p> |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un anticorps monoclonal humanisé dirigé contre l'adrénomédulline.</li> <li>• Administré par voie intraveineuse.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• La désignation de processus accéléré (<i>Fast Track</i>) de la FDA a été reçue en avril 2024. L'essai de phase IIa AdrenOSS a inclus 301 patients présentant un choc septique précoce<sup>139</sup>. Dans un sous-groupe de patients définis par des biomarqueurs particuliers, il a affirmé une réduction relative de la mortalité à 28 jours de 60 % par rapport au placebo, et pourrait potentiellement constituer le premier traitement ciblé efficace contre le choc septique<sup>140</sup>.</li> <li>• L'essai de phase III mené dans le traitement du choc cardiogénique n'a pas amélioré la survie à 30 ou 90 jours, mais il a été bien toléré<sup>141</sup>.</li> <li>• Aucun médicament ayant cette indication n'est en essai de phase II.</li> </ul>  |
| <p><b>Ganaplacide + luméfantrine</b><br/>Novartis AG</p>  | <p>Paludisme (malaria)</p>                                       | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un inhibiteur de <i>Plasmodium falciparum</i> non dérivé de l'artémisinine. Le ganaplacide cible la voie interne de sécrétion des protéines du parasite, tandis que la luméfantrine inhibe la conversion, par le parasite, de l'hème toxique en hématozoïne non toxique.</li> <li>• Administré par voie orale.</li> <li>• Des cas de souches de paludisme résistantes aux traitements à base d'artémisinine (ACT) ont été rapportés, et comme les ACT constituent la pierre angulaire du traitement, la mise au point de nouveaux médicaments pour lutter contre cette résistance est devenue une priorité selon l'OMS<sup>142</sup>.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• L'essai de phase IIb KALUMI (randomisé, ouvert, de non-infériorité) a évalué l'efficacité et l'innocuité de cette combinaison par rapport à l'artéméther-luméfantrine chez des enfants âgés de 6 mois à 12 ans. Dans les deux cas, le taux de réussite était de 99 % au jour 29<sup>143</sup>.</li> <li>• Les essais de phase III KALUMA (actif, mais ne recrutant plus à l'heure actuelle) et PLATINUM (en cours de recrutement) sont en cours. Ces essais compareront le traitement oral ganaplacide + luméfantrine au traitement antipaludique standard<sup>144,145</sup>.</li> <li>• Trois médicaments ayant cette indication sont en essai de phase II. Aucun n'a le même mécanisme d'action que l'association ganaplacide + luméfantrine.</li> </ul> |






| Médicament (nom commercial) Entreprise   | Indication(s)                          | Description et principaux attributs  |
|--|--|--|
| <p><b>LMN-201</b><br/>Lumen Bioscience Inc.</p>                         | <p>Infection à <i>C. difficile</i></p> | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un cocktail biologique de protéines thérapeutiques qui neutralise la bactérie <i>C. difficile</i><sup>146</sup>.</li> <li>• Administrée par voie orale.</li> <li>• L'infection à <i>C. difficile</i> est une « menace urgente » de résistance aux antimicrobiens selon les CDC des États-Unis, en raison d'une résistance croissante au principal antibiotique utilisé dans le traitement de l'infection à <i>C. difficile</i><sup>147</sup>.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• La partie A de l'essai RePreve est terminée. Vingt-et-un patients atteints d'une infection à <i>C. difficile</i> ont été recrutés. Tous les participants de cette cohorte ouverte ont reçu le LMN-201 en plus des antibiotiques, dans les 7 jours suivant le diagnostic. Tous les patients (21/21) ont obtenu une résolution clinique initiale<sup>148</sup>.</li> <li>• La phase III de l'essai RePreve a commencé<sup>149</sup>.</li> <li>• Un médicament ayant cette indication est en essai de phase II. Ce médicament n'a pas le même mécanisme d'action que le LMN-201.</li> </ul> |
| <p><b>VLA-15 (vaccin contre la maladie de Lyme)</b><br/>Valneva SE</p>  | <p>Maladie de Lyme</p>                 |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un vaccin à sous-unités protéiques multivalent basé sur la protéine de surface externe A (OspA).</li> <li>• Administré par injection intramusculaire.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Jusqu'à présent, VLA-15 a présenté un profil d'innocuité favorable lors des essais cliniques. Sous réserve de résultats positifs de l'essai VALOR, Pfizer prévoit de soumettre des demandes d'autorisation à la FDA et à l'EMA en 2026<sup>150</sup>.</li> <li>• Un essai de phase III visant à étudier l'innocuité du produit chez les patients pédiatriques s'est achevé en juillet 2025<sup>151</sup>.</li> <li>• L'essai de phase III VALOR est toujours en cours; il devrait être achevé en décembre 2025<sup>152</sup>.</li> <li>• Aucun médicament ayant cette indication n'est en essai de phase II.</li> </ul>  |

| Médicament (nom commercial) Entreprise  | Indication(s)   | Description et principaux attributs   |
|---|---|---|
| <b>Troubles métaboliques</b>  |   |   |
| <p><b>Diamyd</b><br/>Diamyd Medical AB</p>                                   | <p>Diabète de type 1 (diabète insulino-dépendant)</p> |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'une forme recombinante humaine de la glutamate décarboxylase isoforme 65 (GAD65), qui agit en ciblant l'auto-antigène des cellules bêta pancréatiques dans le diabète auto-immun.</li> <li>• L'administration se fait par voie sous-cutanée, intra-inguinale et intralympatique.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• La désignation de processus accéléré (<i>Fast Track</i>) de la FDA a été accordée en février 2024, à la suite des résultats de phase IIb affirmant une modification statistiquement significative du C-peptide stimulé ainsi qu'une réduction du nombre et de la gravité des événements d'hyperglycémie<sup>153</sup>. Les enquêteurs ont constaté que le traitement était bien toléré et qu'il constituait un traitement modificateur de la maladie pour le DT1<sup>154</sup>.</li> <li>• Un essai de phase III est en cours; il devrait être achevé en 2027<sup>155</sup>.</li> <li>• Deux médicaments ayant cette indication sont en essai de phase II. Ils n'ont toutefois pas le même mécanisme d'action que Diamyd.</li> </ul> |
| <p><b>Pariglasgène brécaparvec</b><br/>Ultragenyx<br/>Pharmaceuticals</p>  | <p>Glycogénose de type 1A</p>                         |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'une thérapie génique utilisant un vecteur adéno-associé (AAV) qui permet d'activer l'enzyme glucose-6-phosphatase (G6Pase).</li> <li>• Administré par voie intraveineuse.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Une étude de phase I/II portant sur l'innocuité et la détermination de dose chez des adultes atteints de glycogénose de type 1A (GSD1a) a affirmé, après un an, un profil d'efficacité et d'innocuité positif<sup>156,157</sup>.</li> <li>• Un essai de phase III est en cours; il devrait être achevé en 2026<sup>158</sup>.</li> <li>• Aucun médicament ayant cette indication n'est en essai de phase II.</li> </ul>   |

| Médicament (nom commercial) Entreprise  | Indication(s)                                  | Description et principaux attributs  |
|---|--|--|
| <b>Troubles musculosquelettiques</b>  |  |  |
| <b>RGX-202</b><br>RegenxBio<br>  | Dystrophie musculaire de Duchenne              |  <ul style="list-style-type: none"> <li>Il s'agit d'un vecteur adéno-associé de sérotype 8 (AAV8) contenant un transgène codant pour un nouveau gène de microdystrophine.</li> <li>Administré par voie intraveineuse.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les données cliniques intermédiaires affirment que le RGX-202 a été bien toléré aux deux niveaux de dose et a « démontré une expression robuste de la microdystrophine par le RGX-202 chez des garçons atteints de DMD âgés de 4 à 12 ans » [traduction]<sup>159</sup></li> <li>L'essai ouvert de phase I/II/III AFFINITY est en cours de recrutement; l'essai devrait être achevé en août 2028. L'objectif est d'évaluer l'innocuité, la tolérabilité et l'efficacité clinique d'une dose intraveineuse (IV) unique de RGX-202<sup>160</sup>.</li> <li>Deux médicaments ayant cette indication sont en essai de phase II. Ils n'ont toutefois pas le même mécanisme d'action que RGX-202.</li> </ul> |
| <b>TPX-115</b><br>Tego Science Inc.<br>                                     | Déchirure partielle de la coiffe des rotateurs | <ul style="list-style-type: none"> <li>Il s'agit d'une injection de fibroblastes allogéniques utilisée en thérapie cellulaire.</li> <li>Administré par voie intratendineuse.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>La FDA a autorisé le passage direct en phase II aux États-Unis, sans résultats de phase I, sur la base des données d'une étude de phase I/II menée en Corée du Sud<sup>161</sup>.</li> <li>L'essai de phase IIb/III est en cours de recrutement; il devrait être achevé en janvier 2027<sup>162</sup>.</li> <li>Aucun médicament ayant cette indication n'est en essai de phase II.</li> </ul>  |
| <b>Oncologie</b>  |  |  |
| <b>Aglatimagène bésadénovec (PancAtak)</b><br>Candel Therapeutics Inc.<br> | Adénocarcinome canalaire pancréatique          |  <ul style="list-style-type: none"> <li>Il s'agit d'un inhibiteur de l'ADN polymérase.</li> <li>Administré par voie intratumorale.</li> </ul> <b>ESSAIS CLINIQUES</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>Essai actif de phase II en association avec le valacyclovir ou l'acyclovir pour les patients atteints d'un carcinome pancréatique à résécabilité limitée et traités par chimioradiothérapie néoadjuvante ou par radiothérapie stéréotaxique corporelle. Aucun résultat n'a été publié à ce jour; l'étude devrait s'achever en juillet 2026<sup>163</sup>.</li> <li>Il fait également l'objet d'un essai actif de phase III pour le cancer de la prostate, qui devrait s'achever en 2030<sup>164</sup>.</li> <li>Il existe 131 médicaments ayant cette indication en essai de phase II. L'un d'eux a le même mécanisme d'action que l'aglatimagène bésadénovec.</li> </ul>  |

| Médicament (nom commercial) Entreprise   | Indication(s)  | Description et principaux attributs   |
|--|--|---|
| <p><b>Chlorhydrate de bérubicine</b><br/>CNS Pharmaceuticals Inc.</p>    | <p>Glioblastome multiforme récurrent (GBM)</p>       |   <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un dérivé de l'anthracycline qui agit comme un inhibiteur de la topo-isomérase II de l'ADN.</li> <li>• Administré par voie intraveineuse, orale et vaginale sous forme de poudre ou de solution.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Un essai de phase II pour des patients atteints de GBM récidivant après l'échec du traitement standard de première intention est en cours; l'essai devrait s'achever en mars 2026<sup>165</sup>.</li> <li>• Il s'agit de la première anthracycline qui semble capable de traverser la barrière hémato-encéphalique pour traiter le GBM. L'analyse provisoire des données de l'essai de phase II a trouvé une efficacité comparable à celle de la lomustine quant à la survie globale<sup>166</sup>.</li> <li>• Il existe 36 médicaments ayant cette indication en essai de phase II. Aucun n'a le même mécanisme d'action que le chlorhydrate de bérubicine.</li> </ul>  |
| <p><b>Bria-IMT</b><br/>BriaCell Therapeutics Corp</p>    | <p>Cancer du sein (HER2-, HER2+, triple négatif)</p> | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un activateur du facteur de stimulation des colonies de granulocytes-macrophages (GM-CSF).</li> <li>• Administré par voie intradermique.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Les données de survie de phase II laissent entendre que Bria-IMT, en association avec un inhibiteur de point de contrôle immunitaire (IPCI), « pourrait constituer une option thérapeutique intéressante pour des patientes ayant épuisé plusieurs lignes de traitement antérieures » [traduction]. La survie globale médiane était supérieure à celle indiquée par les données publiées pour des traitements comparateurs dans le cancer du sein triple négatif et la maladie à récepteurs hormonaux positifs<sup>167</sup>.</li> <li>• Un essai de phase III pour le traitement du cancer du sein métastatique avancé ou localement récidivant est en cours de recrutement et devrait s'achever en juin 2026<sup>168</sup></li> <li>• Il existe 105 médicaments en essai de phase II ayant une indication pour le traitement du cancer du sein HER-, 44 ayant une indication pour le cancer du sein HER2+, et 182 ayant une indication pour le cancer du sein triple négatif (CSTN). Un médicament a le même mécanisme d'action que Bria-IMT et est indiqué pour les trois mêmes types de cancers du sein. Un autre médicament ayant le même mécanisme d'action ne partage que l'indication pour le CSTN.</li> </ul> |

| Médicament (nom commercial) Entreprise   | Indication(s)   | Description et principaux attributs   |
|--|---|---|
| <p><b>Darovasertib</b><br/>Ideaya Biosciences Inc.</p>   | <p>Mélanome uvéal;<br/>mélanome uvéal<br/>métastatique</p>  |   <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un inhibiteur de la protéine kinase C.</li> <li>• Administrée par voie orale.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• L'essai de phase II a généré des données cliniques positives à l'appui du darovasertib comme potentiel « premier traitement systémique pour le traitement néoadjuvant du mélanome uvéal primaire » [traduction]. Un total de 37,5 % des patients recommandés pour l'énucléation et de 44,7 % des patients admissibles à la curiethérapie par plaque ont présenté une réduction de la taille tumorale <math>\geq 30</math> %<sup>169</sup>.</li> <li>• Deux essais de phase III sont en cours de recrutement : l'un portant sur des patients atteints de mélanome uvéal métastatique, et l'autre sur le mélanome uvéal primitif non métastatique. Les dates prévues pour l'achèvement de l'étude sont respectivement 2028 et 2031<sup>170,171</sup>.</li> <li>• Il existe 17 médicaments en essai de phase II indiqués pour le mélanome uvéal et 15 pour le mélanome uvéal métastatique. Aucun n'a le même mécanisme d'action que le darovasertib.</li> </ul>  |
| <p><b>Intisméran autogène</b><br/>Moderna Inc.</p>     | <p>Divers cancers (vaccin), notamment le mélanome, le mélanome métastatique, le cancer du poumon non à petites cellules, le carcinome épidermoïde du poumon non à petites cellules, le carcinome épidermoïde cutané localement résecable à un stade avancé (LA-cSCC), ainsi que le cancer du poumon à petites cellules.</p> |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• Il s'agit d'un vaccin à ARNm.</li> <li>• Administré par injection intramusculaire.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Les résultats intermédiaires de l'essai de phase IIb KEYNOTE-942 ont affirmé que le « traitement adjuvant par mRNA-4157 (V940) en association avec KEYTRUDA continuait de démontrer une amélioration cliniquement significative et durable de la survie sans récurrence (RFS), critère d'évaluation primaire de l'étude, réduisant de 49 % le risque de récurrence ou de décès » [traduction]<sup>172</sup>.</li> <li>• Plusieurs essais de phase II et III sont en cours. Presque tous les essais évaluent l'intisméran autogène en association avec le pembrolizumab.</li> <li>• Deux essais de phase III actifs portent sur le traitement du carcinome épidermoïde cutané localement résecable à un stade avancé (achèvement prévu en mars 2026)<sup>173</sup> et sur le traitement du mélanome à haut risque (septembre 2030)<sup>174</sup>.</li> <li>• Le recrutement est en cours pour des essais de phase III portant sur un cancer du poumon non à petites cellules (CPNPC)<sup>175</sup> de stade II, IIIA ou IIIB (à marges négatives et complètement résecué, avec atteinte ganglionnaire N2), ainsi que sur le cancer du poumon non à petites cellules<sup>176</sup>. L'achèvement de ces essais évaluant la survie sans maladie est prévu respectivement pour 2035 et 2038.</li> <li>• Huit autres vaccins à ARNm en essai de phase II partagent au moins une indication avec l'intisméran autogène. Ils induisent tous une réponse immunitaire dirigée contre les cellules cancéreuses, similaire à celle déclenchée par l'intisméran autogène.</li> </ul> |

| Médicament (nom commercial) Entreprise  | Indication(s)  | Description et principaux attributs  |
|---|--|--|
| <b>Ophthalmologie</b>   |  |  |
| <p><b>4D-150</b><br/>4D Molecular Therapeutics Inc.</p>    | <p>Œdème maculaire diabétique; dégénérescence maculaire humide (néovasculaire / exsudative).</p> |  <ul style="list-style-type: none"> <li>Il s'agit d'un inhibiteur du facteur de croissance de l'endothélium vasculaire (VEGF-A, B, C et facteur de croissance du placenta).</li> <li>Administré par injection intravitréenne.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Les résultats intermédiaires d'un essai de phase II en cours chez des patients atteints d'œdème maculaire diabétique ont affirmé une « efficacité notable, avec des gains soutenus d'acuité visuelle (+8,4 lettres) et une réduction de l'épaisseur du sous-champ central (CST) de -194 µm jusqu'à 32 semaines » [traduction]. Aucune inflammation intraoculaire ni aucun problème d'innocuité grave n'ont été observés<sup>177</sup>. L'essai devrait s'achever en février 2029<sup>178</sup>.</li> <li>Les essais de phase III pour le traitement de la dégénérescence maculaire liée à l'âge sont en cours de recrutement<sup>179,180</sup>.</li> <li>On compte 36 médicaments indiqués pour l'œdème maculaire diabétique en essai de phase II; 17 ont le même mécanisme d'action que le 4D-150.</li> </ul>   |
| <p><b>Acétate de gilueurétinol</b><br/>Alkeus Pharmaceuticals</p>   | <p>Dégénérescence maculaire juvénile (maladie de Stargardt); atrophie géographique</p>           |  <ul style="list-style-type: none"> <li>Il s'agit d'une vitamine A enrichie en deutérium (D3-vitamine A).</li> <li>Administrée par voie orale.</li> </ul> <p><b>ESSAIS CLINIQUES</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>En novembre 2024, la FDA lui a accordé les désignations de maladie pédiatrique rare (<i>Rare Pediatric Disease</i>) et de processus accéléré (<i>Fast Track</i>) pour le traitement de la maladie de Stargardt, pour laquelle il n'existe pas de traitement approuvé<sup>181</sup>.</li> <li>Les résultats intermédiaires de l'étude de phase II TEASE, portant sur cinq patients atteints d'une forme précoce de la maladie de Stargardt, ont affirmé une moindre perte de la zone ellipsoïde (EZ) et que « l'évolution globale de la maladie demeurerait relativement stable sous traitement, sur une période allant de deux à sept ans » [traduction]<sup>182</sup>.</li> <li>Un essai de phase II/III pour le traitement de l'atrophie géographique secondaire à la dégénérescence maculaire liée à l'âge a été achevé en juin 2024<sup>183</sup>. Les résultats affirment une réduction du critère d'évaluation principal, à savoir le taux de croissance des lésions de l'AG à 24 mois. Le profil d'innocuité était cohérent avec d'autres études sur la maladie de Stargardt<sup>184</sup>.</li> <li>Trois médicaments ayant cette indication sont en essai de phase II. Aucun n'a le même mécanisme d'action que l'acétate de gilueurétinol.</li> </ul> |

Sources de données : base de données GlobalData Drugs.

# Annexe A

Tableau A1 : Biosimilaires en phase III ou en attente d'homologation dont les produits biologiques de référence sont commercialisés au Canada

| Médicament  | Produit de référence au Canada | Entreprise vendant un produit de référence au Canada | Autres produits biosimilaires commercialisés au Canada à l'heure actuelle (O/N) | Entreprises dont les produits biosimilaires sont en cours d'examen par Santé Canada                         | Entreprises mettant au point un produit biosimilaire en phase III ou en attente d'homologation  | Indications des biosimilaires  |
|-------------|--------------------------------|--|---|---|---|--|
| Adalimumab  | Humira                         | AbbVie Corporation                                   | 0   | JAMP Pharma Corporation (supplément à une présentation)   | Outlook Therapeutics Inc.   | Psoriasis en plaques (psoriasis vulgaire)  |
| Aflibercept | Eylea                          | Bayer Inc.   | 0   | Celltrion Inc.<br>Samsung Bioepis Co., Ltd.<br>Sandoz Canada Inc.<br>Formycon AG<br>JAMP Pharma Corporation | Alteogen Inc.<br>Alvotech SA<br>Biolitec Pharma Ltd.<br><br>Alteogen Inc.<br>Alvotech SA<br>Biolitec Pharma Ltd.<br><br>Alvotech SA<br>Alteogen Inc.<br>Alvotech SA | Néovascularisation choroïdienne<br><br>Œdème maculaire diabétique<br><br>Rétinopathie diabétique<br><br>Œdème maculaire<br><br>Occlusion veineuse rétinienne |

| Médicament  | Produit de référence au Canada | Entreprise vendant un produit de référence au Canada | Autres produits biosimilaires commercialisés au Canada à l'heure actuelle (O/N) | Entreprises dont les produits biosimilaires sont en cours d'examen par Santé Canada  | Entreprises mettant au point un produit biosimilaire en phase III ou en attente d'homologation  | Indications des biosimilaires   |
|-------------|--------------------------------|--|---|--|---|---|
| Aflibercept | Eylea                          | Bayer Inc.   | O   | Celltrion Inc.<br>Samsung Bioepis Co., Ltd.<br>Sandoz Canada Inc.<br>Formycon AG<br>JAMP Pharma Corporation  | Alteogen Inc.<br>Alvotech SA<br>Biotech Pharma Ltd.<br>Kissei Pharmaceutical Co., Ltd.  | Dégénérescence maculaire humide (néovasculaire/exsudative)  |
| Bevacizumab | Avastin                        | Hoffmann-La Roche Limited                            | O   | Curateq Biologics Pvt Ltd.   | Curateq Biologics Pvt Ltd<br><br>Curateq Biologics Pvt Ltd<br>Prestige BioPharma Ltd<br><br>Zhaoke (Guangzhou) Ophthalmology Pharmaceutical Ltd | Cancer colorectal métastatique<br><br>Cancer du poumon non à petites cellules<br><br>Dégénérescence maculaire humide (néovasculaire/exsudative) |
| Daratumumab | Darzalex                       | Janssen Inc.   | N   | -  | Celltrion Inc.<br><br>Celltrion Inc.  | Myélome multiple réfractaire<br><br>Myélome multiple récidivant   |
| Denosumab   | Prolia                         | Amgen Canada Inc.                                    | O   | Apotex Inc.<br>Biosimilar Collaborations Ireland Limited<br>Celltrion Inc.<br>Fresenius Kabi Canada Ltd.<br>Mantra Pharma Inc.<br>Samsung Bioepis Co., Ltd.<br>Shanghai Henlius Biotech Inc. | Shanghai Henlius Biotech Inc.   | Tumeur osseuse à cellules géantes   |

| Médicament     | Produit de référence au Canada | Entreprise vendant un produit de référence au Canada | Autres produits biosimilaires commercialisés au Canada à l'heure actuelle (O/N) | Entreprises dont les produits biosimilaires sont en cours d'examen par Santé Canada  | Entreprises mettant au point un produit biosimilaire en phase III ou en attente d'homologation                    | Indications des biosimilaires  |
|----------------|--------------------------------|--|---|--|---|--|
| Denosumab      | Prolia                         | Amgen Canada Inc.                                    | O   | Apotex Inc.<br>Biosimilar Collaborations Ireland Limited<br>Celltrion Inc.<br>Fresenius Kabi Canada Ltd.<br>Mantra Pharma Inc.<br>Samsung Bioepis Co., Ltd.<br>Shanghai Henlius Biotech Inc. | Alvotech SA<br>Curateq Biologics Pvt Ltd.<br>Shanghai Henlius Biotech Inc.<br>Teva Pharmaceutical Industries Ltd. | Ostéoporose postménopausique   |
| Dulaglutide    | Trulicity                      | Eli Lilly Canada Inc.                                | N   | -  | Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd.   | Diabète de type 2  |
| Golimumab      | Simponi                        | Janssen Inc.   | N   | JAMP Pharma Corporation  | Bio-Thera Solutions Ltd.<br><br>Alvotech SA<br><br>Bio-Thera Solutions Ltd.<br><br>Bio-Thera Solutions Ltd.       | Spondylarthrite ankylosante<br><br>Polyarthrite rhumatoïde<br><br>Colite ulcéreuse<br><br>Arthrite psoriasique |
| Insulin aspart | NovoRapid                      | Novo Nordisk Canada Inc.                             | O   | -  | Amphastar Pharmaceuticals Inc.<br><br>Amphastar Pharmaceuticals Inc.  | Diabète de type 1 (diabète insulino-dépendant)<br><br>Diabète de type 2  |
| Nivolumab      | Opdivo                         | Bristol-Myers Squibb Canada                          | N   | -  | Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd.<br><br>Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd.                                | Adénocarcinome de la jonction œsophago-gastrique<br><br>Cancer colorectal                                      |

| Médicament                            | Produit de référence au Canada                               | Entreprise vendant un produit de référence au Canada | Autres produits biosimilaires commercialisés au Canada à l'heure actuelle (O/N) | Entreprises dont les produits biosimilaires sont en cours d'examen par Santé Canada | Entreprises mettant au point un produit biosimilaire en phase III ou en attente d'homologation | Indications des biosimilaires                          |
|---------------------------------------|--|--|---|---|--|--|
| Nivolumab                             | Opdivo   | Bristol-Myers Squibb Canada                          | N   | -   | Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd.  | Carcinome épidermoïde de l'œsophage (CEO)              |
|                                       |  |  |   |   | Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd.  | Cancer de l'estomac                                    |
|                                       |  |  |   |   | Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd.  | Carcinomes de la jonction œsogastrique (JOG)           |
|                                       |  |  |   |   | Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd.  | Carcinome épidermoïde de la tête et du cou (CECC)      |
|                                       |  |  |   |   | Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd.  | Carcinome hépatocellulaire                             |
|                                       |  |  |   |   | Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd.  | Lymphome de Hodgkin (lymphome hodgkinien à cellules B) |
|                                       |  |  |   |   | Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd.  | Mésothéliome pleural malin                             |
|                                       |  |  |   |   | Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd.  | Mélanome   |
|                                       |  |  |   |   | Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd.  | Cancer du poumon non à petites cellules                |
|                                       |  |  |   |   | Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd.  | Carcinome à cellules rénales                           |
| Shandong Boan Biotechnology Co., Ltd. | Carcinome à cellules transitionnelles (carcinome urothélial) |  |   |   |  |  |

| Médicament         | Produit de référence au Canada | Entreprise vendant un produit de référence au Canada | Autres produits biosimilaires commercialisés au Canada à l'heure actuelle (O/N) | Entreprises dont les produits biosimilaires sont en cours d'examen par Santé Canada | Entreprises mettant au point un produit biosimilaire en phase III ou en attente d'homologation | Indications des biosimilaires  |
|--------------------|--------------------------------|--|---|---|--|--|
| Ocrelizumab        | Ocrevus                        | Hoffmann-La Roche Limited                            | N   | -   | Celltrion Inc.   | Sclérose en plaques récurrente-rémittente (SEP-RR)   |
| Omalizumab         | Xolair                         | Novartis Pharmaceuticals Canada Inc.                 | O   | -   | Kashiv BioSciences, LLC<br>Kashiv BioSciences, LLC<br>Kashiv BioSciences, LLC                  | Asthme allergique<br>Urticaire chronique<br>Rhinosinusite  |
| OnabotulinumtoxinA | Botox                          | AbbVie Corporation                                   | N   | -   | Aquavit Pharmaceuticals Inc.   | Troubles neurologiques non précisés  |
| Pembrolizumab      | Keytruda                       | Merck Canada Inc.                                    | N   | -   | Celltrion Inc.   | Cancer du poumon non à petites cellules  |
| Pertuzumab         | Perjeta                        | Hoffmann-La Roche Limited                            | N   | Shanghai Henlius Biotech Inc.   | Shanghai Henlius Biotech Inc.  | Cancer du sein positif pour le récepteur -2 du facteur de croissance épidermique humain (cancer du sein HER2+) |
| Ranibizumab        | Lucentis                       | Novartis Pharmaceuticals Canada Inc.                 | O   | -   | Lupin Ltd.   | Dégénérescence maculaire humide (néovasculaire/exsudative)   |
| Secukinumab        | Cosentyx                       | Novartis Pharmaceuticals Canada Inc.                 | N   | -   | Bio-Thera Solutions Ltd.   | Psoriasis en plaques (psoriasis vulgaire)  |
| Teriparatide       | Forteo                         | Eli Lilly Canada Inc.                                | O   | -   | MiGenTra GmbH  | Ostéoporose  |

| Médicament  | Produit de référence au Canada | Entreprise vendant un produit de référence au Canada | Autres produits biosimilaires commercialisés au Canada à l'heure actuelle (O/N) | Entreprises dont les produits biosimilaires sont en cours d'examen par Santé Canada                                 | Entreprises mettant au point un produit biosimilaire en phase III ou en attente d'homologation  | Indications des biosimilaires  |
|-------------|--------------------------------|--|---|---|---|--|
| Tocilizumab | Actemra                        | Hoffmann-La Roche Limited                            | 0   | Biogen Canada Inc.<br>Celltrion Inc.  | Gedeon Richter Plc.<br><br>Gedeon Richter Plc.<br><br>Gedeon Richter Plc.<br><br>Gedeon Richter Plc.<br>Mochida Pharmaceutical Co., Ltd.<br><br>Gedeon Richter Plc. | Maladie à coronavirus de 2019 (COVID-19)<br><br>Syndrome de libération de cytokines (orage cytokinique)<br><br>Artérite à cellules géantes (artérite temporale / artérite crânienne / maladie de Horton)<br><br>Arthrite juvénile idiopathique polyarticulaire (AJIp)<br><br>Polyarthrite rhumatoïde<br><br>Arthrite juvénile idiopathique à début systémique (maladie de Still) |
| Trastuzumab | Herceptin                      | Hoffmann-La Roche Limited                            | 0   | Trois produits en cours d'examen; noms des entreprises non disponibles (présentations acceptées avant octobre 2018) | Tanvex BioPharma Inc.<br><br>Qilu Pharmaceutical Co., Ltd.  | Cancer du sein positif pour le récepteur -2 du facteur de croissance épidermique humain (cancer du sein HER2+)<br><br>Cancer du sein métastatique  |

Source des données : Base de données GlobalData Drugs, Base de données sur les produits pharmaceutiques de Santé Canada, listes des présentations en cours d'examen (PCE) de Santé Canada.

# Références



- 1 CEPMB. 2025. Veille des médicaments mis en marché. Ottawa : Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés. Accessible à l'adresse suivante : <https://www.canada.ca/en/patented-medicine-prices-review/services/npduis/analytical-studies/meds-entry-watch-9th-edition.html>
- 2 FDA. 2025. Novel Drug Approvals for 2023. 10 janvier 2025. <https://www.fda.gov/drugs/novel-drug-approvals-fda/novel-drug-approvals-2023>
- 3 Pharming Group N.V. Communiqué de presse, 2024. Pharming Group provides update on ongoing regulatory review of leniolisib for the treatment of APDS in the European Union. 30 mai 2024. <https://www.pharming.com/news/pharming-group-provides-update-ongoing-regulatory-review-leniolisib-treatment-apds-european-union>
- 4 Rao VK, Kulm E, Šedivá A, Plebani A, Schuetz C, et al. Interim analysis: Open-label extension study of leniolisib for patients with APDS. *J Allergy Clin Immunol.* 2024 Jan;153(1):265-274.e9. doi: 10.1016/j.jaci.2023.09.032. Epub 2023 Oct 4.
- 5 Rao VK, Kulm E, Grossman J, Buchbinder D, Chong H, Bradt J, Webster S, Šedivá A, Dalm VA, Uzel G. Long-term treatment with selective PI3K $\delta$  inhibitor leniolisib in adults with activated PI3K $\delta$  syndrome. *Blood Adv.* 2024 Jun 25;8(12):3092-3108. doi: 10.1182/bloodadvances.2023011000. PMID: 38593221; PMCID: PMC11222951.
- 6 RECARBRIO (*imipenem, cilastatin, and relebactam*). *FDA Label.* 2019. [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/label/2019/212819s000lbl.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2019/212819s000lbl.pdf)
- 7 Recarbrio (*imipenem/cilastatin/relebactam*). Agence européenne des médicaments (EMA). <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/recarbrio>
- 8 Sansone P, Giaccari LG, Di Flumeri G, Pace MC, Pota V, Coppolino F, Brunetti S, Aurilio C. Imipenem/Cilastatin/Relebactam for Complicated Infections: A Real-World Evidence. *Life (Basel).* 2024 May 10;14(5):614. doi: 10.3390/life14050614. PMID: 38792635; PMCID: PMC11122335.
- 9 FDA. 2025. Novel Drug Approvals for 2024. 14 juillet 2025. <https://www.fda.gov/drugs/novel-drug-approvals-fda/novel-drug-approvals-2024>
- 10 Ionis Pharmaceuticals, Inc. Communiqué de presse, 2025. TRYNGOLZA® (olezarsen) approved in the European Union for familial chylomicronemia syndrome (FCS). 19 septembre 2025. <https://ir.ionis.com/news-releases/news-release-details/tryngolzar-olezarsen-approved-european-union-familial>
- 11 Stroes ESG, Alexander VJ, Karwatowska-Prokopczuk E, Hegele RA, Arca M, Ballantyne CM, Soran H, Prohaska TA, Xia S, Ginsberg HN, Witztum JL, Tsimikas S; Balance Investigators. Olezarsen, Acute Pancreatitis, and Familial Chylomicronemia Syndrome. *N Engl J Med.* 2024 May 16;390(19):1781-1792. doi: 10.1056/NEJMoa2400201. Epub 2024 Apr 7. PMID: 38587247.

- 12 Arrowhead Pharmaceuticals. Communiqué de presse, 2025. Arrowhead Pharmaceuticals Announces Acceptance of New Drug Application by U.S. FDA of Plozasiran for the Treatment of Familial Chylomicronemia Syndrome. 17 janvier 2025. <https://arrowheadpharma.com/en-us/newsroom/arrowhead-pharmaceuticals-announces-acceptance-new-drug>
- 13 European Medicines Agency. Applications for new human medicines under evaluation by the CHMP. 1<sup>er</sup> août 2025. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/report/applications-new-human-medicines-under-evaluation-august-2025\\_en.xlsx](https://www.ema.europa.eu/en/documents/report/applications-new-human-medicines-under-evaluation-august-2025_en.xlsx)
- 14 Watts GF, Rosenson RS, Hegele RA, Goldberg IJ, Gallo A, Mertens A, Baass A, Zhou R, Muhsin M, Hellowell J, Leeper NJ, Gaudet D; PALISADE Study Group. Plozasiran for Managing Persistent Chylomicronemia and Pancreatitis Risk. *N Engl J Med*. 2025 Jan 9;392(2):127-137. doi: 10.1056/NEJMoa2409368. Epub 2024 Sep 2. PMID: 39225259.
- 15 Pharmaceutical Technology. 2025. Arrowhead's plozasiran set for FDA review as Tryngolza challenge looms. 20 janvier 2025. <https://www.pharmaceutical-technology.com/news/arrowhead-plozasiran-set-for-fda-review-as-tryngolza-challenge-looms/?cf-view>
- 16 FDA. 2026. Novel Drug Approvals for 2025. 27 février 2026. <https://www.fda.gov/drugs/novel-drug-approvals-fda/novel-drug-approvals-2025>
- 17 Sephience (*sepiapterin*). Agence européenne des médicaments (EMA). <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/sephience>
- 18 Kuvan (*sapropterin dihydrochloride*). Santé Canada - Base de données des avis de conformité. 30 avril 2010. <https://health-products.canada.ca/noc-ac/nocInfo?no=11343>
- 19 Muntau AC, Longo N, Ezgu F, Schwartz IVD, Lah M, Bratkovic D, Margvelashvili L, Kiykim E, Zori R, Campistol Plana J, Bélanger-Quintana A, Lund A, Guilder L, Chakrapani A, Mungan HN, Guimas A, Cabrales Guerra IDC, MacDonald A, Ingalls K, Smith N; APHENITY study group. Effects of oral sepiapterin on blood Phe concentration in a broad range of patients with phenylketonuria (APHENITY): results of an international, phase 3, randomised, double-blind, placebo-controlled trial. *Lancet*. 2024 Oct 5;404(10460):1333-1345. doi: 10.1016/S0140-6736(24)01556-3. PMID: 39368841.
- 20 Biotechnology Innovation Organization. 2021. Clinical Development Success Rates and Contributing Factors 2011-2020. [https://go.bio.org/rs/490-EHZ-999/images/ClinicalDevelopmentSuccessRates2011\\_2020.pdf](https://go.bio.org/rs/490-EHZ-999/images/ClinicalDevelopmentSuccessRates2011_2020.pdf)
- 21 Cobenfy (*xanomeline and trospium chloride*). Lettre d'approbation de la FDA : [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/applletter/2024/216158Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/applletter/2024/216158Orig1s000ltr.pdf)
- 22 Zevaskyn (*prademagene zamikerace*). Lettre d'approbation de la FDA : <https://www.fda.gov/media/186513/download?attachment>
- 23 Livdelzi (*seladelpar*). Lettre d'approbation de la FDA : [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/applletter/2024/217899Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/applletter/2024/217899Orig1s000ltr.pdf)
- 24 Lyvdelzi (*seladelpar lysine dihydrate*). Agence européenne des médicaments (EMA). <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/lyvdelzi>
- 25 Lyvdelzi (*seladelpar lysine*). Santé Canada - Base de données des avis de conformité. 16 octobre 2025. <https://health-products.canada.ca/noc-ac/nocInfo?no=36189>
- 26 Blujepa (*gepotidacin*). Lettre d'approbation de la FDA : [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/applletter/2025/218230Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/applletter/2025/218230Orig1s000ltr.pdf)

- 27 Qfitlia (*fitusiran*). Lettre d'approbation de la FDA : [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/appletter/2025/219019Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/appletter/2025/219019Orig1s000ltr.pdf)
- 28 Yorvipath (*palopegteriparatide*). Lettre d'approbation de la FDA : [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/appletter/2024/216490Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/appletter/2024/216490Orig1s000ltr.pdf)
- 29 Yorvipath (*palopegteriparatide*). Agence européenne des médicaments (EMA). <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/yorvipath>
- 30 Andembry (*garadacimab*). Lettre d'approbation de la FDA : [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/appletter/2025/761367Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/appletter/2025/761367Orig1s000ltr.pdf)
- 31 Andembry (*garadacimab*). Santé Canada - Base de données des avis de conformité. 6 août 2025. <https://health-products.canada.ca/noc-ac/nocInfo?no=35821>
- 32 Andembry (*garadacimab*). Agence européenne des médicaments (EMA). <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/andembry>
- 33 Datroway (*datopotamab deruxtecán*). Lettre d'approbation de la FDA : [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/appletter/2025/761394Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/appletter/2025/761394Orig1s000ltr.pdf)
- 34 Datroway (*datopotamab deruxtecán*). Agence européenne des médicaments (EMA). <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/datroway>
- 35 Revuforj (*revumenib*). Lettre d'approbation de la FDA : [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/appletter/2024/218944Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/appletter/2024/218944Orig1s000ltr.pdf)
- 36 Voranigo (*vorasidenib*). Lettre d'approbation de la FDA : [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/appletter/2024/218784Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/appletter/2024/218784Orig1s000ltr.pdf)
- 37 Voranigo (*vorasidenib*). Santé Canada - Base de données des avis de conformité. 27 août 2024. <https://health-products.canada.ca/noc-ac/nocInfo?no=33876>
- 38 Voranigo (*vorasidenib*). Agence européenne des médicaments (EMA). <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/voranigo>
- 39 Vyloy (*zolbetuximab*). Agence européenne des médicaments (EMA). <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/vyloy>
- 40 Vyloy (*zolbetuximab*). Lettre d'approbation de la FDA : [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/appletter/2024/761365Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/appletter/2024/761365Orig1s000ltr.pdf)
- 41 Vyloy (*zolbetuximab*). Santé Canada - Base de données des avis de conformité. 13 décembre 2024. <https://health-products.canada.ca/noc-ac/nocInfo?no=34557>
- 42 Anthos Therapeutics Inc. Communiqué de presse, 2024. First-Ever Cost-Effectiveness Analysis of a Factor XI Inhibitor Demonstrates that Abelacimab, if Approved, Could Offer Significant Cost Savings as Compared to a Current Standard of Care Anticoagulant. 6 mai 2024. <https://anthostherapeutics.com/press-release/anthos-2024-08-15-release-16/>
- 43 A Multicenter, Randomized, Open-label, Blinded Endpoint Evaluation, Phase 3 Study Comparing the Effect of Abelacimab Relative to Apixaban on Venous Thromboembolism (VTE) Recurrence and Bleeding in Patients With Cancer Associated VTE. ClinicalTrials.gov : NCT05171049 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05171049>

- 44 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. ClinicalTrials.gov : NCT05171075 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05171075>
- 45 A Phase 3, Multicenter, Randomized, Double-blind, Placebo-controlled, Parallel-group Study to evaluate the efficacy and Safety of abelacimab in High-risk Patients With Atrial Fibrillation Who Have Been Deemed Unsuitable for Oral anticoagulation (LILAC-TIMI 76). ClinicalTrials.gov : NCT05712200 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05712200>
- 46 Sebastian SA, Padda I, Lehr EJ, Johal G. Aficamten: A Breakthrough Therapy for Symptomatic Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. *Am J Cardiovasc Drugs*. 2023 Sep;23(5):519-532. doi: 10.1007/s40256-023-00599-0. Epub 2023 Aug 1.
- 47 TCTMD. 2024. SEQUOIA-HCM: Aficamten Boosts Exercise Capacity in Obstructive HCM. 13 mai 2024. <https://www.tctmd.com/news/sequoia-hcm-aficamten-boosts-exercise-capacity-obstructive-hcm>
- 48 Maron MS, Masri A, Nassif ME, Barriales-Villa R, Abraham TP, Arad M, Cardim N, Choudhury L, Claggett B, Coats CJ, Düngen HD, Garcia-Pavia P, Hagege AA, Januzzi JL, Kulac I, Lee MMY, Lewis GD, Ma CS, Michels M, Oreziak A, Owens AT, Spertus JA, Solomon SD, Tfelt-Hansen J, van Sinttruije M, Veselka J, Watkins HC, Jacoby DL, Heitner SB, Kupfer S, Malik FI, Meng L, Wohltman A, Olivotto I; SEQUOIA-HCM Investigators. Impact of Aficamten on Disease and Symptom Burden in Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy: Results From SEQUOIA-HCM. *J Am Coll Cardiol*. 2024 Nov 5;84(19):1821-1831. doi: 10.1016/j.jacc.2024.09.003. Epub 2024 Sep 30. PMID: 39352339.
- 49 Garcia-Pavia P, Maron MS, Masri A, Merkely B, Nassif ME, Peña-Peña ML, Barriales-Villa R, Bilen O, Burroughs M, Claggett B, Costabel JP, Correia EB, Dybro AM, Elliott P, Hegde SM, Lakdawala NK, Lewis GD, Mann A, Miao ZM, Nair A, Poulsen SH, Reant P, Schulze PC, Solomon SD, Wang A, Sohn R, Berhane I, Heitner SB, Jacoby DL, Kupfer S, Malik FI, Wohltman A, Fifer MA; MAPLE-HCM Investigators. Aficamten or Metoprolol Monotherapy for Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. *N Engl J Med*. 2025 Sep 11;393(10):949-960. doi: 10.1056/NEJMoa2504654. Epub 2025 Aug 30. PMID: 40888697.
- 50 A Phase 3, Multi-Center, Randomized, Double-Blind Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of Aficamten Compared to Placebo in Adults With Symptomatic Non-Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. ClinicalTrials.gov : NCT06081894 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06081894>
- 51 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. ClinicalTrials.gov : NCT05410860 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05410860>
- 52 Ip JE, Coutu B, Ip JH, Noseworthy PA, Parody ML, Rafii F, Sears SF, Singh N, Stambler BS, Tahirkheli NK, Agudelo-Urbe J, Hu D, Shardonofsky S, Sheikh MB, Holz A, Bharucha DB, Camm AJ. Etripamil Nasal Spray for Recurrent Paroxysmal Supraventricular Tachycardia Conversion: Results From the NODE-303 Open-Label Study. *J Cardiovasc Electrophysiol*. 2025 Sep 11. doi: 10.1111/jce.70086. Epub ahead of print. PMID: 40931676.
- 53 An Open Label Extension Study of Etripamil Nasal Spray in Patients With Paroxysmal Supraventricular Tachycardia. ClinicalTrials.gov : NCT04952610 (recrutement sur invitation). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04952610>
- 54 Multi-Center, Placebo-Controlled, Phase 3 Study of Etripamil Nasal Spray (NS) in Patients With Atrial Fibrillation and Rapid Ventricular Rate (RVR). ClinicalTrials.gov : NCT06716021 (recrutement non amorcé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06716021>

- 55 Iapoce C. 2023. Etripamil Nasal Spray Application Submitted to FDA for PSVT Treatment. 24 octobre 2023. <https://www.hcplive.com/view/etripamil-nasal-spray-application-submitted-fda-psvt-treatment>
- 56 A Multicentre, Randomized, Double-blinded, Placebo-controlled, Parallel Group, Single-dose Design to Determine the Efficacy and Safety of Nerinetide in Participants With Acute Ischemic Stroke Undergoing Endovascular Thrombectomy Excluding Thrombolysis. ClinicalTrials.gov: NCT04462536 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04462536?intr=Nerinetide&aggFilters=phase:3&rank=1>
- 57 A Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study to Determine the Efficacy and Safety of Intravenous NA-1 Initiated by Paramedics in the Field for Acute Cerebral Ischemia Within Three Hours of Symptom Onset. ClinicalTrials.gov: NCT02315443 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT02315443?intr=Nerinetide&aggFilters=phase:3&rank=2>
- 58 A Multicentre, Randomized, Double-blinded, Placebo-controlled, Parallel Group, Single-dose Design to Determine the Efficacy and Safety of Intravenous NA-1 in Subjects With Acute Ischemic Stroke Undergoing Endovascular Thrombectomy. ClinicalTrials.gov: NCT02930018 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT02930018?intr=Nerinetide&aggFilters=phase:3&rank=3>
- 59 Tymianski M et al. Safety and efficacy of nerinetide in patients with acute ischaemic stroke enrolled in the early window: a post-hoc meta-analysis of individual patient data from three randomised trials. The Lancet Neurology, Volume 24, Issue 3, 208 - 217. March 2025. [https://www.thelancet.com/journals/lanneur/article/PIIS1474-4422\(24\)00515-5/abstract](https://www.thelancet.com/journals/lanneur/article/PIIS1474-4422(24)00515-5/abstract)
- 60 Davidson MH et al. Effect of obicetrapib, a potent cholesteryl ester transfer protein inhibitor, on p-tau217 levels in patients with cardiovascular disease. J Prev Alzheimers Dis. 2026 Jan;13(1):100394. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/41109840/>
- 61 Sarraju A et al. Fixed-dose combination of obicetrapib and ezetimibe for LDL cholesterol reduction (TANDEM): a phase 3, randomised, double-blind, placebo-controlled trial. Lancet. 2025 May 17;405(10491):1757-1768. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40347969/>
- 62 ClinicalTrials.gov. Consultation en octobre 2025. <https://clinicaltrials.gov/search?intr=Obicetrapib&aggFilters=phase:3>
- 63 ClinicalTrials.gov. Consultation en octobre 2025. <https://clinicaltrials.gov/search?intr=Pelacarsen&aggFilters=phase:3>
- 64 HEALEY ALS Platform Trial - Regimen F ABBV-CLS-7262. ClinicalTrials.gov: NCT05740813 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05740813>
- 65 HEALEY ALS Platform Trial. ClinicalTrials.gov: NCT04297683 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04297683>
- 66 Meglio M. 2023. Latozinemab Shows No Impact on Disease Progression in C9orf72 Frontotemporal Dementia Despite increasing Progranulin Expression. 1<sup>er</sup> novembre 2023. <https://www.neurologylive.com/view/latozinemab-shows-no-impact-disease-progression-c9orf72-frontotemporal-dementia-increasing-progranulin-expression>
- 67 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. ClinicalTrials.gov: NCT04374136 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04374136>
- 68 A Continuation Study of Latozinemab in Participants With Neurodegenerative Disease. ClinicalTrials.gov: NCT06111014 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06111014>

- 69 NeuroDerm Ltd. News Release. 2023. NeuroDerm Announces Highly Positive Results from the Pivotal Phase III BouNDless Trial Evaluating ND0612 in Parkinson's Disease Patients with Motor Fluctuations. 9 janvier 2023. <https://www.prnewswire.com/news-releases/neuroderm-announces-highly-positive-results-from-the-pivotal-phase-iii-boundless-trial-evaluating-nd0612-in-parkinsons-disease-patients-with-motor-fluctuations-301715848.html>
- 70 Espay AJ, Stocchi F, Pahwa R, Albanese A, Ellenbogen A, et al; BouNDless Study Group. Safety and efficacy of continuous subcutaneous levodopa-carbidopa infusion (ND0612) for Parkinson's disease with motor fluctuations (BouNDless): a phase 3, randomised, double-blind, double-dummy, multicentre trial. *Lancet Neurol.* 2024 May;23(5):465-476. doi: 10.1016/S1474-4422(24)00052-8. Epub 2024 Mar 15.
- 71 Efficacy, Safety and Tolerability Study of ND0612 vs. Oral Immediate Release Levodopa/Carbidopa (IR-LD/CD) in Subjects With Parkinson's Disease Experiencing Motor Fluctuations (BouNDless). *ClinicalTrials.gov*: NCT04006210 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04006210>
- 72 *ClinicalTrials.gov*. Consultation en octobre 2025. <https://clinicaltrials.gov/search?intr=grt-7039>
- 73 Abushakra S et al. Clinical Efficacy, Safety and Imaging Effects of Oral Valiltramiprosate in APOE $\epsilon$ 4/ $\epsilon$ 4 Homozygotes with Early Alzheimer's Disease: Results of the Phase III, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, 78-Week APOLLOE4 Trial. *Drugs.* 2025 Nov;85(11):1455-1472. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/41015981/>
- 74 Long-term Extension of 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. *ClinicalTrials.gov*: NCT06304883 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06304883>
- 75 A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study Evaluating the Safety and Efficacy of Efruxifermin in Subjects With Compensated Cirrhosis Due to NASH/MASH. *ClinicalTrials.gov*: NCT06528314 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06528314>
- 76 A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study Evaluating the Safety and Efficacy of Efruxifermin in Subjects With Non-Cirrhotic Nonalcoholic Steatohepatitis (NASH)/Metabolic Dysfunction-Associated Steatohepatitis (MASH) and Fibrosis. *ClinicalTrials.gov*: NCT06215716 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06215716>
- 77 A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study Evaluating the Safety and Efficacy of Efruxifermin in Subjects With Non-invasively Diagnosed Nonalcoholic Steatohepatitis (NASH)/Metabolic Dysfunction-Associated Steatohepatitis (MASH) and Nonalcoholic Fatty Liver Disease (NAFLD)/Metabolic Dysfunction-Associated Steatotic Liver Disease (MASLD). *ClinicalTrials.gov*: NCT06161571 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06161571>
- 78 *ClinicalTrials.gov*. Consultation en octobre 2025. <https://clinicaltrials.gov/search?intr=Obefazimod&aggFilters=phase:3>
- 79 A Randomized, Double-blind, Multicenter Phase III Study to Evaluate the Long-term Efficacy and Safety of ABX464 25 mg or 50 mg Once Daily as a Maintenance Therapy in Subjects With Moderately to Severely Active Ulcerative Colitis. *ClinicalTrials.gov*: NCT05535946 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05535946>
- 80 *ClinicalTrials.gov*. Consultation en octobre 2025. <https://clinicaltrials.gov/search?intr=Fazirsiran&aggFilters=phase:3>
- 81 A Phase 3, Open-Label Extension Study to Evaluate the Long-Term Safety and Efficacy of Fazirsiran in Participants With Alpha-1 Antitrypsin Deficiency-Associated Liver Disease. *ClinicalTrials.gov*: NCT05899673 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05899673>

- 82 A Phase 2/3 Adaptive, Double-blind, Placebo-Controlled Study to Evaluate the Efficacy and Safety of VX-147 in Adult and Pediatric Subjects With APOL1-mediated Proteinuric Kidney Disease. ClinicalTrials.gov: NCT05312879 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05312879>
- 83 Bentracimab. FDA Orphan Drug Designations and Approvals. 18 mars 2025. <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/detailedIndex.cfm?cfgridkey=991423>
- 84 A Phase 3, Multicenter, Open-Label, Single-Arm Study of Bentracimab (PB2452) in Ticagrelor-Treated Patients With Uncontrolled Major or Life-Threatening Bleeding or Requiring Urgent Surgery or Invasive Procedure (REVERSE-IT Trial). ClinicalTrials.gov: NCT04286438 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04286438>
- 85 American Journal of Managed Care. 2025. Ticagrelor Antidote Bentracimab Safely Reverses Antiplatelet Effects in Phase 3 REVERSE-IT Trial. 30 mars 2025. <https://www.ajmc.com/view/ticagrelor-antidote-bentracimab-safely-reverses-antiplatelet-effects-in-phase-3-reverse-it-trial>
- 86 Innoviva Specialty Therapeutics, Inc. Communiqué de presse, 2025. FDA Grants Priority Review for Zoliflodacin New Drug Application for the Treatment of Uncomplicated Gonorrhoea and Assigns Target PDUFA Date of December 15, 2025. 12 juin 2025. <https://finance.yahoo.com/news/fda-grants-priority-review-zoliflodacin-110000593.html>
- 87 Global Antibiotic Research & Development Partnership (GARDP) News. 2023. Positive results announced in largest pivotal phase 3 trial of a first-in-class oral antibiotic to treat uncomplicated gonorrhoea. 1<sup>er</sup> novembre 2023. <https://gardp.org/positive-results-announced-in-largest-pivotal-phase-3-trial-of-a-first-in-class-oral-antibiotic-to-treat-uncomplicated-gonorrhoea/>
- 88 REGENXBIO Inc. Communiqué de presse, 2025. REGENXBIO Announces FDA Acceptance and Priority Review of the BLA for RGX-121 for MPS II. 13 mai 2025. <https://ir.regenxbio.com/news-releases/news-release-details/regenxbio-announces-fda-acceptance-and-priority-review-bla-rgx>
- 89 A Phase 1/2/3 Multicenter, Open-Label Study to Evaluate the Efficacy, Safety, Tolerability, and Pharmacodynamics of RGX-121 in Pediatric Subjects With MPS II (Hunter Syndrome). ClinicalTrials.gov: NCT03566043 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03566043>
- 90 European Medicines Agency. 2024. EU/3/24/2966 - orphan designation for treatment of gastric cancer: bemarituzumab. 21 août 2024. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-24-2966>
- 91 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. ClinicalTrials.gov: NCT05052801 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05052801>
- 92 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. ClinicalTrials.gov: NCT05111626 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05111626>
- 93 Gemcitabine liposome injection. FDA Orphan Drug Designations and Approvals. 1<sup>er</sup> juillet 2025. <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/detailedIndex.cfm?cfgridkey=1082325>
- 94 Phase 3, Multi-center, Randomized Study Evaluating Efficacy of TAR-200 in Combination With Cetrelimab Versus Concurrent Chemoradiotherapy in Participants With Muscle-Invasive Urothelial Carcinoma (MIBC) of the Bladder Who Are Not Receiving Radical Cystectomy. ClinicalTrials.gov: NCT04658862 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04658862>

- 95 A Phase 3, Open-Label, Multi-Center, Randomized Study Evaluating the Efficacy and Safety of TAR-200 in Combination With Cetrelimab or TAR-200 Alone Versus Intravesical Bacillus Calmette-Guérin (BCG) in Participants With BCG-naïve High-Risk Non-Muscle Invasive Bladder Cancer. ClinicalTrials.gov: NCT05714202 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05714202>
- 96 A Phase 3, Randomized, Open-label, Multi-center Study Evaluating the Efficacy and Safety of TAR-200 Versus Investigator's Choice of Intravesical Chemotherapy in Participants Who Received Bacillus Calmette-Guérin (BCG) and Recurred With High-risk Non-muscle-invasive Bladder Cancer (HR-NMIBC) and Who Are Ineligible for or Elected Not to Undergo Radical Cystectomy. ClinicalTrials.gov: NCT06211764 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06211764>
- 97 A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Phase 3 Study Of Navitoclax In Combination With Ruxolitinib Versus Ruxolitinib In Subjects With Myelofibrosis (TRANSFORM-1). ClinicalTrials.gov: NCT04472598 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04472598>
- 98 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), Incorporating Extension Arm C - Continued Access for Navitoclax to Roll Over Subjects From Studies M10-166, M16-109, M16-191, and M19-753. ClinicalTrials.gov: NCT04468984 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04468984>
- 99 A Multicenter, Randomized, Double Blind, Vehicle-controlled, Phase 3 Efficacy and Safety Study of Patidegib Gel 2% for the Reduction of Disease Burden of Persistently Developing Basal Cell Carcinomas (BCCs) in Subjects With Gorlin Syndrome. ClinicalTrials.gov: NCT06050122 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06050122>
- 100 John T Lear, Catherine A Harwood, Zeeshaan Hasan, Jonathan Kentley, Jason Thomson, Andre Khoo, Alix Alderman, Mark DeSouza, Ervin H Epstein, Gerd G Kochendoerfer, Jean Y Tang, Topical application of the Hedgehog inhibitor patidegib in patients with Gorlin syndrome: a phase II trial, *British Journal of Dermatology*, Volume 192, Issue 4, April 2025, Pages 611–617, <https://doi.org/10.1093/bjd/ljae444>
- 101 An Extension Study to Evaluate the Long-term Safety of Rusfertide (PTG-300) in Subjects With Polycythemia Vera (THRIVE). ClinicalTrials.gov: NCT06033586 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06033586>
- 102 A Phase 3 Study of the Hepcidin Mimetic Rusfertide (PTG-300) in Patients With Polycythemia Vera. ClinicalTrials.gov: NCT05210790 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05210790>
- 103 Soligenix, Inc. Communiqué de presse 2023. Soligenix Receives Refusal to File Letter from U.S. FDA for HyBryte™ New Drug Application in the Treatment of Cutaneous T-Cell Lymphoma. 14 février 2023. <https://ir.soligenix.com/2023-02-14-Soligenix-Receives-Refusal-to-File-Letter-from-U-S-FDA-for-HyBryte-TM-New-Drug-Application-in-the-Treatment-of-Cutaneous-T-Cell-Lymphoma>
- 104 Soligenix, Inc. Communiqué de presse 2023. Soligenix Announces Scheduling of Type A Meeting with the U.S. FDA to Review Proposed Study Design for a Second Phase 3 Study Evaluating HyBryte™ in the Treatment of Cutaneous T-Cell Lymphoma, 11 mai 2023. <https://ir.soligenix.com/2023-05-11-Soligenix-Announces-Scheduling-of-Type-A-Meeting-with-the-U-S-FDA-to-Review-Proposed-Study-Design-for-a-Second-Phase-3-Study-Evaluating-HyBryte-TM-in-the-Treatment-of-Cutaneous-T-Cell-Lymphoma>
- 105 Soligenix, Inc. Communiqué de presse 2023. HyBryte™ Expanded Treatment Trial in Cutaneous T-Cell Lymphoma Opens Enrollment. 10 août 2023. <https://ir.soligenix.com/2023-08-10-HyBryte-TM-Expanded-Treatment-Trial-in-Cutaneous-T-Cell-Lymphoma-Opens-Enrollment>
- 106 A Confirmatory Phase 3 Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study of the Efficacy of Topical HyBryte™ (Hypericin Sodium) and Visible-Light Activation for the Treatment of Cutaneous T-Cell Lymphoma (CTCL). ClinicalTrials.gov: NCT06470451 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06470451>

- 107 Phase 3 Randomized Double-Blind Placebo-Controlled 1-year Parallel-Arm Study to Compare a Fixed Dose Combination of Aroxybutynin/Atomoxetine (AD109) to Placebo in Obstructive Sleep Apnea (LunAIRo Study). ClinicalTrials.gov: NCT05811247 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05811247>
- 108 Phase 3 Randomized Double-Blind Placebo-Controlled 6-month Parallel-Arm Study to Compare a Fixed Dose Combination of Aroxybutynin/Atomoxetine (AD109) to Placebo in Obstructive Sleep Apnea (SynAIRgy Study). ClinicalTrials.gov: NCT05813275 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05813275>
- 109 A Phase 3 Open Label Continuation Protocol of a Fixed Dose Combination of Aroxybutynin and Atomoxetine (AD109) in Obstructive Sleep Apnea. ClinicalTrials.gov: NCT06566820 (recrutement sur invitation). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06566820>
- 110 Insmmed Incorporated. Communiqué de presse, 2025. FDA Grants Priority Review to Insmmed's Brensocatib for Treatment of Bronchiectasis with PDUFA Target Action Date Set for August 12, 2025. 6 février 2025. <https://investor.insmed.com/2025-02-06-FDA-Grants-Priority-Review-to-Insmmeds-Brensocatib-for-Treatment-of-Bronchiectasis-with-PDUFA-Target-Action-Date-Set-for-August-12,-2025>
- 111 Pulmonology Advisor. 2022. Brensocatib Proves Ineffective for Patients Hospitalized With COVID-19. 6 octobre 2022. <https://www.pulmonologyadvisor.com/news/brensocatib-proves-ineffective-for-patients-hospitalized-with-covid-19/>
- 112 A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study to Assess the Efficacy, Safety, and Tolerability of Brensocatib Administered Once Daily for 52 Weeks in Subjects With Non-Cystic Fibrosis Bronchiectasis - The ASPEN Study. ClinicalTrials.gov: NCT04594369 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04594369>
- 113 Chalmers JD et al. Phase 3 Trial of the DPP-1 Inhibitor Brensocatib in Bronchiectasis. N Engl J Med. 2025 Apr 24;392(16):1569-1581. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40267423/>
- 114 Peng Y et al. 5-HT2C Receptor Structures Reveal the Structural Basis of GPCR Polypharmacology. Cell. 2018 Feb 8;172(4):719-730.e14. <https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC6309861/>
- 115 Randomized, Double-blind, Placebo-controlled, Parallel-group, Dose-escalation Study to Investigate the Safety, Tolerability, PK, PD, and Exploratory Efficacy of LP352 in Subjects With Developmental and Epileptic Encephalopathies. ClinicalTrials.gov: NCT05364021 (terminé). <https://www.clinicaltrials.gov/study/NCT05364021>
- 116 A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Multicenter Study to Investigate the Efficacy, Safety, and Tolerability of LP352 in the Treatment of Seizures in Children and Adults With Dravet Syndrome. ClinicalTrials.gov: NCT06660394 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06660394>
- 117 Advances in Clinical Neuroscience and Rehabilitation. 2025. First potential targeted therapy for Guillain-Barré Syndrome (GBS). 10 avril 2025. <https://acnr.co.uk/guillain-barré-syndrome/>
- 118 A Randomized, Double-blind, Placebo-controlled Phase 3 Study to Evaluate the Efficacy, Safety, Pharmacokinetics, and Pharmacodynamics of ANX005 in Subjects With Guillain-Barré Syndrome. ClinicalTrials.gov: NCT04701164 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04701164>
- 119 MedPage Today. 2025. Targeted Treatment Improves Disability in Guillain-Barre Syndrome. 12 avril 2025. <https://www.medpagetoday.com/meetingcoverage/aan/115094>
- 120 PolarityBio. Communiqué de presse, 2025. PolarityBio Receives U.S. FDA Breakthrough Therapy Designation for Treatment of Wagner Grade I Diabetic Foot Ulcers (DFU). 20 février 2025. <https://www.globenewswire.com/news-release/2025/02/20/3029651/0/en/PolarityBio-Receives-U-S-FDA-Breakthrough-Therapy-Designation-for-Treatment-of-Wagner-Grade-I-Diabetic-Foot-Ulcers-DFU.html>

- 121 Multi-Center, Prospective, Randomized Controlled Trial Evaluating SkinTE® for the Treatment of Wagner 1 Diabetic Foot Ulcers. Closure Obtained With Vascularized Epithelial Regeneration for DFUs With SkinTE® II (COVER DFUS II). ClinicalTrials.gov: NCT06140303 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06140303>
- 122 PolarityBio. Communiqué de presse, 2025. PolarityBio Announces Launch of Expanded Access Treatment Protocol to Provide Continued Access to SkinTE® for Patients with Wagner 1 Diabetic Foot Ulcers. 2 septembre 2025. <https://www.globenewswire.com/news-release/2025/09/02/3142698/0/en/PolarityBio-Announces-Launch-of-Expanded-Access-Treatment-Protocol-to-Provide-Continued-Access-to-SkinTE-for-Patients-with-Wagner-1-Diabetic-Foot-Ulcers.html>
- 123 Loomba R et al. Randomized, Controlled Trial of the FGF21 Analogue Pegzofermin in NASH. N Engl J Med 2023;389:998-1008. [Randomized, Controlled Trial of the FGF21 Analogue Pegzofermin in NASH | New England Journal of Medicine](https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2304286) <https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2304286>
- 124 A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Pegzofermin in Subjects With Severe Hypertriglyceridemia (SHTG): The ENTRUST Study. ClinicalTrials.gov: NCT05852431 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05852431>
- 125 A Phase 3 Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Pegzofermin in Subjects With Metabolic Dysfunction-Associated Steatohepatitis (MASH) and Fibrosis. ClinicalTrials.gov: NCT06318169 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06318169>
- 126 A Phase 3 Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Pegzofermin in Subjects With Compensated Cirrhosis Due to Metabolic Dysfunction-Associated Steatohepatitis (MASH) (ENLIGHTEN-Cirrhosis). ClinicalTrials.gov: NCT06419374 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06419374>
- 127 Early Copper Histidine Therapy in Menkes Disease. ClinicalTrials.gov: NCT00001262 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT00001262>
- 128 Kaler S et al. Poster presentation, 2021. Copper Histidinate Treatment for Menkes Disease (Kinky Hair Syndrome). American Academy of Pediatrics National Conference & Exhibition. 8-12 octobre 2021. [https://www.cypriumtx.com/wp-content/uploads/2021/10/Kaler-et-al-AAP-Poster\\_final-draft\\_24SEP2021.pdf](https://www.cypriumtx.com/wp-content/uploads/2021/10/Kaler-et-al-AAP-Poster_final-draft_24SEP2021.pdf)
- 129 A Prospective, Open-label, Genotype-match Controlled, Multicenter Clinical Trial to Investigate the Efficacy and Safety of Intra-amniotic ER004 as a Prenatal Treatment for Male Subjects With XLHED. ClinicalTrials.gov: NCT04980638 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04980638>
- 130 Ultragenyx Pharmaceutical Inc. Communiqué de presse, 2024. Ultragenyx Receives Breakthrough Therapy Designation for Setrusumab (UX143) in Osteogenesis Imperfecta. 7 octobre 2024. <https://ir.ultragenyx.com/news-releases/news-release-details/ultragenyx-receives-breakthrough-therapy-designation-setrusumab>
- 131 An Open-label Phase 3 Study of Setrusumab in Pediatric Japanese Subjects With Osteogenesis Imperfecta Type I, III, or IV. ClinicalTrials.gov: NCT06636071 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06636071>
- 132 An Operationally Seamless, Randomized Phase 2/3 Study Consisting of a Phase 2 Single-Blind, Dose-Evaluation Phase and a Phase 3 Double-Blind, Placebo-Controlled Phase to Assess the Efficacy and Safety of Setrusumab in Subjects With Osteogenesis Imperfecta. ClinicalTrials.gov: NCT05125809 (actif, pas de recrutement). <https://www.clinicaltrials.gov/study/NCT05125809>
- 133 An Open-label, Randomized, Active-Controlled, Phase 3 Study of Setrusumab Compared With Bisphosphonates in Pediatric Subjects With Osteogenesis Imperfecta Types I, III or IV. ClinicalTrials.gov: NCT05768854 (actif, pas de recrutement). <https://www.clinicaltrials.gov/study/NCT05768854>

- 134 Rare Disease Advisor. 2024. Navenibart Demonstrates HAE Attack Prevention in ALPHA-STAR Trial. 16 décembre 2024. <https://www.rarediseaseadvisor.com/news/navenibart-demonstrated-hae-attack-prevention-in-trial/>
- 135 A Phase 3, Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of Navenibart in Participants With Hereditary Angioedema (HAE). ClinicalTrials.gov: NCT06842823 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06842823>
- 136 GSK plc. Communiqué de presse, 2024. GSK receives US FDA Fast Track designation for bepirovirsen in chronic hepatitis B. 12 février 2024. <https://www.gsk.com/en-gb/media/press-releases/gsk-receives-us-fda-fast-track-designation-for-bepirovirsen-in-chronic-hepatitis-b/>
- 137 Phase 3 Multicenter, Randomized, Double-Blind, Study to Assess the Efficacy and Safety of Treatment With Bepirovirsen in Nucleos(t)ide Analogue-treated Participants With Chronic Hepatitis B Virus (B-Well 1). ClinicalTrials.gov: NCT05630807 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05630807>
- 138 Phase 3 Multicenter, Randomized, Double-Blind, Study to Assess the Efficacy and Safety of Treatment With Bepirovirsen in Nucleos(t)ide Analogue-treated Participants With Chronic Hepatitis B Virus (B-Well 2). ClinicalTrials.gov: NCT05630820 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05630820>
- 139 A Double-Blind, Placebo-Controlled, Randomized, Multicenter, Proof of Concept and Dose-Finding Phase II Clinical Trial to Investigate the Safety, Tolerability and Efficacy of ADRECIZUMAB in Patients With Septic Shock and Elevated Adrenomedullin. ClinicalTrials.gov: NCT03085758 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03085758>
- 140 AdrenoMed AG. Communiqué de presse, 2024. AdrenoMed Receives FDA Fast Track Designation for Enibarcimab for Treatment of Septic Shock. 10 avril 2024. <https://adrenomed.com/2024-04-10-adrenomed-fda-fast-track-enibarcimab/>
- 141 Karakas M et al. Single-dose of adrecizumab versus placebo in acute cardiogenic shock (ACCOST-HH): an investigator-initiated, randomised, double-blinded, placebo-controlled, multicentre trial. Lancet Respir Med. 2022 Mar;10(3):247-254. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34895483/>
- 142 Organisation mondiale de la Santé. 2025. Paludisme : résistance partielle à l'artémisine. 9 janvier 2025. <https://www.who.int/news-room/questions-and-answers/item/artemisinin-resistance>
- 143 West African Network for Clinical Trials of Antimalarial Drugs. Communiqué de presse, 2024. WANECAM2 consortium reports positive results from Phase 2b study of novel treatment for children with malaria. 14 novembre 2024. <https://wanecam.org/wanecam2-consortium-reports-positive-results-from-phase-2b-study-of-novel-treatment-for-children-with-malaria/>
- 144 A Randomized, Open-label, Multicenter Study to Compare Efficacy, Safety and Tolerability of KLU156 With Coartem® in the Treatment of Uncomplicated Plasmodium Falciparum Malaria in Adults and Children Followed by an Extension Phase With Repeated KLU156 Treatment. ClinicalTrials.gov: NCT05842954 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05842954>
- 145 A Multi-part, Multi-center PLATform Study to Assess the Efficacy, Safety, Tolerability and Pharmacokinetics of Anti-malarial Agents Administered as Monotherapy and/or Combination Therapy IN Patients With Uncomplicated Plasmodium Falciparum Malaria. ClinicalTrials.gov: NCT05750628 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05750628>
- 146 Contagion Live. 2023. Lumen Bioscience Awarded Government Funding for its Trial for C Diff Oral Therapy. 18 octobre 2023. <https://www.contagionlive.com/view/lumen-bioscience-awarded-government-funding-for-its-trial-for-c-diff-oral-therapy>

- 147 Lumen Bioscience. Communiqué de presse, 2025. LMN-201 Achieves 100% Initial C. difficile Clinical Cure in Preliminary Cohort of RePreve Trial. 2 avril 2025. <https://www.lumen.bio/news/2025/04/02/lmn-201-achieves-100-initial-c-difficile-clinical-cure-in-preliminary-cohort-of-re-preve-trial>
- 148 Lumen Bioscience. Communiqué de presse, 2025. LMN-201 Achieves 100% Initial C. difficile Clinical Cure in Preliminary Cohort of RePreve Trial. 2 avril 2025. <https://www.lumen.bio/news/2025/04/02/lmn-201-achieves-100-initial-c-difficile-clinical-cure-in-preliminary-cohort-of-re-preve-trial>
- 149 A Phase 2, Randomized, Double-blind, Placebo-controlled Study of LMN-201 for Prevention of C. Difficile Infection Recurrence. ClinicalTrials.gov: NCT05330182 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05330182>
- 150 Pfizer Inc. Communiqué de presse, 2024. Phase 3 VALOR Lyme Disease Trial: Valveva and Pfizer Announce Primary Vaccination Series Completion. 17 juillet 2024. <https://www.pfizer.com/news/press-release/press-release-detail/phase-3-valor-lyme-disease-trial-valveva-and-pfizer>
- 151 A Phase 3, Randomized, Placebo-controlled, Observer-blinded Trial to Evaluate the Safety of a 6-valent OspA-based Lyme Disease Vaccine (VLA15) in Healthy Children 5 through 17 Years of Age. ClinicalTrials.gov: NCT05634811 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05634811>
- 152 A Phase 3, Multicenter, Placebo-Controlled, Randomized, Observer-Blinded Trial to Evaluate the Efficacy, Safety, Tolerability, Immunogenicity, and Lot Consistency of a 6-Valent OspA-Based Lyme Disease Vaccine in Healthy Participants  $\geq 5$  Years of Age. ClinicalTrials.gov: NCT05477524 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05477524>
- 153 Medical Professionals Reference. 2024. Diamyd, an Immunotherapy for Type 1 Diabetes, Gets Fast Track Designation. 15 février 2024. <https://www.empr.com/home/news/drugs-in-the-pipeline/diamyd-an-immunotherapy-for-type-1-diabetes-gets-fast-track-designation/>
- 154 Ludvigsson J et al. Intralymphatic Glutamic Acid Decarboxylase With Vitamin D Supplementation in Recent-Onset Type 1 Diabetes: A Double-Blind, Randomized, Placebo-Controlled Phase IIb Trial. Diabetes Care. July 2021;44(7):1604-1612. <https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC8323180/>
- 155 A Phase III, Randomized, Double-blind, Placebo-controlled, Multicenter Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of Diamyd® to Preserve Endogenous Beta Cell Function in Adolescents and Adults With Recently Diagnosed Type 1 Diabetes, Carrying the Genetic HLA DR3-DQ2 Haplotype. ClinicalTrials.gov: NCT05018585 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05018585>
- 156 A Phase 1/2, Open-Label Safety and Dose-Finding Study of Adeno-Associated Virus (AAV) Serotype 8 (AAV8)-Mediated Gene Transfer of Glucose-6- Phosphatase (G6Pase) in Adults With Glycogen Storage Disease Type Ia (GSDIa). ClinicalTrials.gov: NCT03517085 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03517085>
- 157 Weinstein D. et al. Safety and Efficacy of DTX401, an AAV8-Mediated Liver-Directed Gene Therapy, in Adults With Glycogen Storage Disease Type I a (GSDIa). Journal of Inherited Metabolic Disease, Volume 48, Issue 2. March 2025. <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/full/10.1002/jimd.70014>
- 158 A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study of Adeno-Associated Virus Serotype 8-Mediated Gene Transfer of Glucose-6-Phosphatase in Patients With Glycogen Storage Disease Type Ia. ClinicalTrials.gov: NCT05139316 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05139316>
- 159 Dastgir J. et al. 407P RGX-202, an investigational gene therapy for the treatment of Duchenne muscular dystrophy: interim clinical data. Neuromuscular Disorders, Volume 43, Supplement 1. October 2024. <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0960896624004516>

- 160 A Phase 1/2/3 Open-label Study to Evaluate the Safety, Tolerability, Efficacy, Pharmacodynamics, and Pharmacokinetics of Intravenous RGX-202 Gene Therapy in Males With Duchenne Muscular Dystrophy (DMD). ClinicalTrials.gov: NCT05693142 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05693142>
- 161 Korea Biomedical Review. 2025. Tego Science wins FDA nod for phase 2 trial of TPX-115 in rotator cuff tears. 17 février 2025. <https://www.koreabiomed.com/news/articleView.html?idxno=26634>
- 162 A Multi-center, Randomized, Double Blinded, Placebo-controlled, Phase 2b/3 Clinical Trial to Evaluate the Safety and Efficacy of TPX-115 in Patients With Partial-thickness Rotator Cuff Tear. ClinicalTrials.gov: NCT06414005 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06414005>
- 163 Neoadjuvant CAN-2409 Plus Prodrug in Combination With Chemoradiation or Stereotactic Body Radiation Therapy for Borderline Resectable Pancreatic Adenocarcinoma. ClinicalTrials.gov: NCT02446093 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT02446093>
- 164 A Randomized Controlled Trial of ProstAtak® as Adjuvant to Up-front Radiation Therapy For Localized Prostate Cancer. ClinicalTrials.gov: NCT01436968 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT01436968>
- 165 A Multicenter, Open-Label Study With a Randomized Control Arm of the Efficacy, Safety, and Pharmacokinetics of Intravenously Infused Berubicin in Adult Patients With Recurrent Glioblastoma Multiforme After Failure of Standard First Line Therapy. ClinicalTrials.gov: NCT04762069 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04762069>
- 166 CNS Pharmaceuticals, Inc. Communiqué de presse, 2024. CNS Pharmaceuticals Achieves Completion of Planned Enrollment in Potentially Pivotal Study of Berubicin for the Treatment of Glioblastoma Multiforme (GBM). 17 janvier 2024. <https://finance.yahoo.com/news/cns-pharmaceuticals-achieves-completion-planned-134500591.html>
- 167 Targeted Oncology. 2025. Bria-IMT Shows Promising OS in Advanced Metastatic Breast Cancer. 16 juillet 2025. [Bria-IMT Shows Promising OS in Advanced Metastatic Breast Cancer | Targeted Oncology - Immunotherapy, Biomarkers, and Cancer Pathways](https://www.targetedoncology.com/news/bria-imt-shows-promising-os-in-advanced-metastatic-breast-cancer)
- 168 Randomized, Open-Label Study of the Bria-IMT Regimen and Check Point Inhibitor vs Physicians' Choice in Advanced Metastatic Breast Cancer. ClinicalTrials.gov: NCT06072612 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06072612>
- 169 IDEAYA Biosciences, Inc. Communiqué de presse, 2025. IDEAYA Biosciences Announces Positive Phase 2 Data for Darovasertib in the Neoadjuvant Setting of Primary Uveal Melanoma in a Proffered Paper Oral Presentation at ESMO 2025. 20 octobre 2025. <https://www.prnewswire.com/news-releases/ideaya-biosciences-announces-positive-phase-2-data-for-darovasertib-in-the-neoadjuvant-setting-of-primary-uveal-melanoma-in-a-proffered-paper-oral-presentation-at-esmo-2025-302588310.html>
- 170 IDE196 (Darovasertib) in Combination With Crizotinib Versus Investigator's Choice of Treatment as First-line Therapy in HLA-A2 Negative Metastatic Uveal Melanoma (DAR-UM-2). ClinicalTrials.gov: NCT05987332 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05987332>
- 171 A Randomized, Phase 3, Open-label Study of Neoadjuvant Darovasertib in Subjects With Primary Non-metastatic Uveal Melanoma (OptimUM-10). ClinicalTrials.gov: NCT07015190 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT07015190>
- 172 Merck & Co., Inc. Communiqué de presse, 2024. Moderna & Merck Announce 3-Year Data For mRNA-4157 (V940) in Combination With KEYTRUDA® (pembrolizumab) Demonstrated Sustained Improvement in Recurrence-Free Survival & Distant Metastasis-Free Survival Versus KEYTRUDA in Patients With High-Risk Stage III/IV Melanoma Following Complete Resection. 3 juin 2024. <https://www.merck.com/news/moderna-merck-announce-3-year-data-for-mrna-4157-v940-in-combination-with-keytruda-pembrolizumab-demonstrated-sustained-improvement-in-recurrence-free-survival-distant-metastasis-free-su/>

- 173 A Phase 2/3, Adaptive, Randomized, Open-label, Clinical Study to Evaluate Neoadjuvant and Adjuvant Intimeran Autogene (mRNA-4157) in Combination With Pembrolizumab (MK-3475) Versus Standard of Care, and Pembrolizumab Monotherapy in Participants With Resectable Locally Advanced Cutaneous Squamous Cell Carcinoma (LA cSCC) (INTerpath-007). ClinicalTrials.gov: NCT06295809 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06295809>
- 174 A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo- and Active-Comparator-Controlled Clinical Study of Adjuvant V940 (mRNA-4157) Plus Pembrolizumab Versus Adjuvant Placebo Plus Pembrolizumab in Participants With High-Risk Stage II-IV Melanoma (INTerpath-001). ClinicalTrials.gov: NCT05933577 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05933577>
- 175 A Phase 3, Randomized, Double-blind, Placebo- and Active-Comparator-Controlled Clinical Study of Adjuvant V940 (mRNA-4157) Plus Pembrolizumab Versus Adjuvant Placebo Plus Pembrolizumab in Participants With Resected Stage II, IIIA, IIIB (N2) Non-small Cell Lung Cancer (INTerpath-002). ClinicalTrials.gov: NCT06077760 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06077760>
- 176 A Phase 3 Randomized Double-blind Study of Adjuvant Pembrolizumab With or Without V940 in Participants With Resectable Stage II to IIIB (N2) NSCLC Not Achieving pCR After Receiving Neoadjuvant Pembrolizumab With Platinum-based Doublet Chemotherapy (INTerpath-009). ClinicalTrials.gov: NCT06623422 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06623422>
- 177 Retinal Physician. 2025. Interim Results Reported From 4D-150 SPECTRA Clinical Trial in DME. 14 janvier 2025. <https://retinalphysician.com/news/2025/4dmt-spectra-trial-interim-results/>
- 178 A Phase 2 Randomized, Active-Controlled, Double-masked Trial of Intravitreal 4D-150 Gene Therapy in Adults With Diabetic Macular Edema (SPECTRA). ClinicalTrials.gov: NCT05930561 (actif, pas de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05930561>
- 179 A Phase 3, Randomized, Double-Masked, Active-Controlled Trial of a Single Intravitreal Injection of 4D-150 in Adults With Macular Neovascularization Secondary to Age-Related Macular Degeneration. ClinicalTrials.gov: NCT07064759 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT07064759>
- 180 A Phase 3, Randomized, Double-Masked, Active-Controlled Trial of a Single Intravitreal Injection of 4D-150 in Adults With Macular Neovascularization Secondary to Age-Related Macular Degeneration. ClinicalTrials.gov: NCT06864988 (en cours de recrutement). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06864988>
- 181 Alkeus Pharmaceuticals, Inc. Communiqué de presse, 2024. Alkeus Pharmaceuticals Receives FDA Rare Pediatric Disease and Fast Track Designations for Gildeuretinol as a Treatment for Stargardt Disease. 18 novembre 2024. <https://alkeuspharma.com/alkeus-pharmaceuticals-receives-fda-rare-pediatric-disease-and-fast-track-designations-for-gildeuretinol-as-a-treatment-for-stargardt-disease/>
- 182 Alkeus Pharmaceuticals, Inc. Communiqué de presse, 2025. Alkeus Pharmaceuticals Announces Presentation of Positive Interim TEASE-3 Study Data in Early-Stage Stargardt Disease Patients Treated with Oral Gildeuretinol. 7 août 2025. <https://www.biospace.com/press-releases/alkeus-pharmaceuticals-announces-presentation-of-positive-interim-tease-3-study-data-in-early-stage-stargardt-disease-patients-treated-with-oral-gildeuretinol>
- 183 A Phase 2/3 Multicenter, Randomized, Double-masked, Parallel-group, Placebo-controlled Study to Investigate the Safety, Pharmacokinetics, Tolerability, and Efficacy of ALK-001 in Geographic Atrophy Secondary to Age-related Macular Degeneration. ClinicalTrials.gov: NCT03845582 (terminé). <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03845582>
- 184 Alkeus Pharmaceuticals, Inc. Communiqué de presse, 2024. Alkeus Pharmaceuticals Announces Results from the SAGA Study of Oral Gildeuretinol in Patients with Geographic Atrophy Secondary to Age-Related Macular Degeneration. 17 septembre 2024. <https://alkeuspharma.com/alkeus-pharmaceuticals-announces-results-from-the-saga-study-of-oral-gildeuretinol-in-patients-with-geographic-atrophy-secondary-to-age-related-macular-degeneration/>