

## Nouveaux principes actifs pharmaceutiques

### Bilan des approbations FDA en septembre-octobre 2025

Au cours de cette période, cinq molécules de synthèse et une association d'une molécule d'origine biologique avec une enzyme ont été approuvées.

#### Molécules de synthèse approuvées

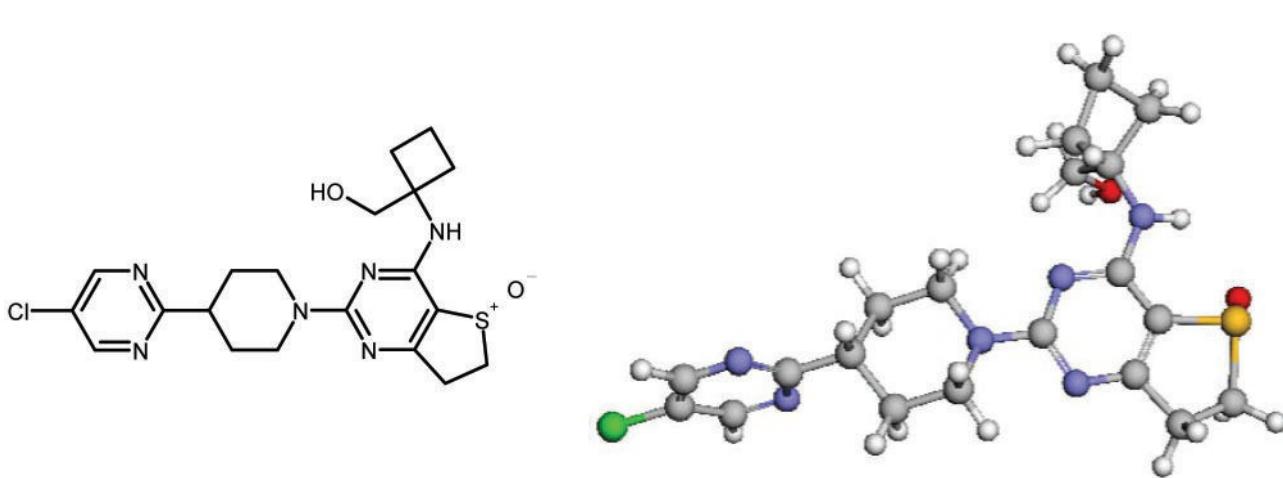
Principe actif	Compagnie	Indication
Elamipretide hydrochloride	Stealth Biotheraps	Syndrome de Barth
Imlunestrant	Eli Lilly Co	Cancer du sein
Paltusotine	Crinetics Pharma Inc	Acromégalie
Nerandomilast	Boehringer Ingelheim	Fibroses pulmonaires idiopathiques
Elinzanetant	Bayer Healthcare Pharms	Symptômes de la ménopause

L'**elamipretide** est utilisé pour le traitement du syndrome de Barth, une maladie génétique grave liée à une mutation du chromosome X qui touche essentiellement les garçons. Cette maladie peut induire de nombreux symptômes dont la cardiomyopathie et la neutropénie. L'elamipretide agit en chélatant la cardiolipine mitochondriale. Il est administré par injection sous-cutanée.

L'**imlunestrant** est utilisé dans le traitement du cancer du sein. Cet antagoniste des récepteurs d'oestrogènes est indiqué pour le traitement des patientes atteintes d'un cancer du sein avancé ou métastatique ER-positif, HER2-négatif et porteur d'une mutation ESR1, avec progression de la maladie après au moins une ligne de traitement endocrinien.

La **paltusotine** est approuvée pour le traitement de l'acromégalie, maladie rare due à une hypersécrétion d'hormone de croissance et qui donne lieu à des déformations du visage et des extrémités. C'est un agoniste des récepteurs de la somatostatine 2. La paltusotine est indiquée pour le traitement des adultes atteints d'acromégalie n'ayant pas répondu de manière satisfaisante à la chirurgie et/ou pour lesquels la chirurgie n'est pas envisageable.

Le **nerandomilast** inhibe la phosphodiésterase PDE4B, une enzyme qui joue un rôle dans l'inflammation et la fibrose. La fibrose pulmonaire est une cicatrisation anormale des tissus pulmonaires provoquant une difficulté à respirer qui s'aggrave avec le temps. Le mot idiopathique signifie que la cause de cette fibrose est encore inconnue. La FDA a accordé les désignations : « breakthrough therapy » et « orphan drug » au dossier du nerandomilast.



**Structure du nerandomilast.** Nomenclature : 1-((5R)-2-[4-(5-chloro-2-pyrimidinyl)-1-piperidinyl]-5-oxido-6,7-dihydrothieno[3,2-d]pyrimidin-4-yl)amino)cyclobutyl)methanol ; n° CAS : 1423719-30-5. La représentation 3D provient du site Drugbank<sup>(1)</sup> : [https://go.drugbank.com/structures/small\\_molecule\\_drugs/DB18237](https://go.drugbank.com/structures/small_molecule_drugs/DB18237)

**L'elizanetant** est utilisé pour le traitement des symptômes vasomoteurs modérés à sévères liés à la ménopause. C'est un antagoniste non hormonal et sélectif des récepteurs de la neurokinine 1 (NK1) et de la neurokinine 3 (NK3). En bloquant la signalisation des récepteurs NK1 et NK3, il est supposé normaliser l'activité neuronale impliquée dans la thermorégulation et le sommeil au niveau de l'hypothalamus.

### Molécules d'origine biologique approuvées

Principe actif	Type de molécule	Compagnie	Indication
Pembrolizumab ; Berahyaluronidase alfa-pmpm	Anticorps monoclonal/Enzyme	Merck Sharp Dohme	Cancer (tumeurs solides)

L'association **pembrolizumab/bérahyaluronidase alfa** est approuvée pour le traitement de nombreux types de tumeurs solides. Le pembrolizumab est un anticorps bloquant le récepteur de mort programmée 1 (PD-1) ; il était déjà approuvé pour les traitements en injection intraveineuse. La bérahyaluronidase alfa est une variante de l'hyaluronidase, enzyme qui hydrolyse l'acide hyaluronique. Ce médicament est administré par injection sous-cutanée.

(1)Drugbank est une banque de données sur les principes actifs accessible sur Internet : D.S. Wishart *et al.*, Drugbank 5.0: a major update to the Drugbank database for 2018, *Nucleic Acids Res.*, 2018, 46, p. D1074-82, <https://doi.org/10.1093/nar/gkx1037>

Cette rubrique est coordonnée et alimentée par **Jean-Marc PARIS**, ancien directeur de recherche pharmaceutique dans le groupe Rhône-Poulenc et ancien directeur scientifique de la chimie organique et biotechnologies de Rhodia (jeanmarc.paris@free.fr), et **Josette FOURNIER**, qui a présidé de 2007 à 2010 le comité d'orientation et de prospective scientifique de l'Observatoire des résidus de pesticides (ORP) (josette.fournier4@orange.fr).

## Chemistry Europe Fact Sheet

