

## Découvrir de nouveaux médicaments

---

Le patient est au cœur de tous les travaux de recherche menés par les Instituts Novartis pour la recherche biomédicale (Novartis Institutes for BioMedical Research ou NIBR) pour découvrir de nouveaux médicaments. Des scientifiques déterminent les maladies sur lesquelles concentrer les efforts de recherche sur la base de deux questions : notre compréhension de la cause ou du mécanisme responsable de la maladie est-elle suffisante ou améliorable, et la maladie en question constitue-t-elle un besoin médical non satisfait essentiel pour le bien-être de l'homme ? Si la réponse à ces deux questions est affirmative, NIBR élabore alors un programme de recherche visant à mieux comprendre la maladie et à trouver un traitement efficace.

La recherche fondamentale détermine les causes de la maladie au niveau moléculaire. Pour ce faire, nous nous appuyons sur nos propres découvertes ainsi que sur celles résultant de nos collaborations avec des scientifiques actifs au sein de plusieurs institutions dans le monde. Nous recherchons des indices en étudiant l'expérience que le patient a de la maladie, mais également la somme de connaissances médicales accumulées au fil des siècles et le volume croissant de données disponibles dans les domaines de la biologie et de la génétique humaine.

### **Sélection des cibles et des composés**

Le développement pharmaceutique traditionnel s'appuie essentiellement sur l'identification de « cibles » médicamenteuses adéquates, telles que les gènes isolés ou les protéines. Nos connaissances en biologie humaine ont évolué, tout comme notre compréhension du concept de « cibles » de découverte médicamenteuse. Nous savons aujourd'hui qu'une cible peut être constituée de voies de transmission de protéines interagissantes, qui peuvent à leur tour être à l'origine de plusieurs maladies différentes et apparemment non liées. Les scientifiques de NIBR concentrent par conséquent leurs efforts sur la découverte et l'invention, de composés susceptibles de modifier le mécanisme déclencheur de la maladie, qu'il s'agisse d'une protéine isolée ou d'une voie de transmission de protéines complexe, afin de rétablir sa fonction normale.

Le patient au cœur de nos préoccupations

Deux questions pour cibler nos recherches :  
- La maladie est-elle comprise?  
- Le besoin médical est-il satisfait ?

Priorité : modifier les maladies de façon à rétablir les fonctions normales

## Découvrir de nouveaux médicaments

---

### **Validation de la cible et optimisation du composé**

Dès qu'une cible et un composé adéquats ont été identifiés, la cible est rigoureusement « validée », ce qui signifie que son implication dans l'état pathologique doit être démontrée. Quant au composé, il est « optimisé », c'est-à-dire modifié de manière à accroître son efficacité et réduire au maximum ses éventuels effets secondaires. A ces stades, les chercheurs associent les outils de la chimie et de la biologie moderne afin d'obtenir les meilleurs candidats pour les médicaments du futur.

Validation rigoureuse des cibles

### **Essais de preuve du concept (« Proof of Concept » ou PoC)**

A la suite de cette étape, il est essentiel de tester sur les patients à la fois les composés que nous élaborons et les mécanismes ou cibles identifiés avant de compléter le développement. Afin d'allier l'expertise en laboratoire aux compétences cliniques, les scientifiques des NIBR travaillent avec le développement afin de réaliser des essais cliniques dits de « preuve du concept ». Pratiqués sur un petit nombre de patients, ces essais ont pour but de fournir des données initiales quant à l'efficacité et à l'innocuité du composé sélectionné, ainsi que de valider notre compréhension du mécanisme concerné.

Essais de « preuve du concept » pratiqués aussi rapidement que possible sur des patients

### **Perspectives**

Le processus, allant de l'identification de la cible aux essais cliniques de « preuve du concept », prend plusieurs années. Il est cependant accéléré par les avancées de la génomique et du génie chimique.

Objectif : accélérer le processus de découverte de médicaments pour en faire bénéficier les patients

La concentration de NIBR sur les besoins non satisfaits en début de processus et nos essais rigoureux de « preuve du concept » à la fin visent à réduire les risques au minimum et à concevoir de meilleurs médicaments.