

Novartis: avis positif de l'autorité européenne pour la thérapie génique Zolgensma

Zurich (CHE), 27 mars 2020 (AFP) -

Le géant pharmaceutique suisse Novartis a annoncé vendredi que le Comité des médicaments à usage humain (CHMP), instance européenne, avait rendu un avis favorable à sa nouvelle thérapie génique appelée Zolgensma pour une forme d'amyotrophie spinale.

Le CHMP, comité de l'Agence européenne des médicaments chargé d'évaluer les traitements qui peuvent être commercialisés dans l'UE, a rendu un avis favorable pour deux formes de cette maladie neurodégénérative grave, a indiqué le groupe suisse dans un communiqué.

Cet avis positif constitue "un pas supplémentaire" pour offrir une option de traitement de cette maladie jusqu'alors incurable, selon Novartis.

Les bébés touchés par cette maladie perdent rapidement les neurones moteurs pour des fonctions musculaires essentielles, telles que la respiration, la déglutition, la parole et la marche. Sans traitement, les muscles du bébé s'affaiblissent et évoluent progressivement vers une paralysie ou un décès, fréquemment avant le second anniversaire.

Ce traitement administré par intraveineuse en dose unique permet de s'attaquer directement à la racine génétique de la maladie.

Très prometteur, il a toutefois été au cœur d'un débat quant à son coût mais il a aussi été épinglé aux Etats-Unis par l'agence américaine des médicaments concernant une partie des données soumises lors du processus d'homologation.

Sans remettre en cause l'efficacité et la sûreté de cette thérapie, l'agence américaine des médicaments, la Food and Drug Administration (FDA) avait reproché à AveXis, une entreprise américaine rachetée en 2018 par Novartis, de lui avoir sciemment soumis des données manipulées sur une petite partie des tests pré-cliniques.

L'agence américaine des médicaments avait toutefois réaffirmé sa confiance dans ce traitement qu'elle avait homologué en mai 2019, estimant que l'ensemble des éléments démontrant son efficacité et son innocuité étaient "irréfutables".

Les thérapies géniques, qui consistent à introduire du matériel génétique dans des cellules pour soigner une maladie, ouvrent la voie à de nouveaux traitements pour des maladies longtemps incurables, mais elles suscitent de vifs débats quant à leurs coûts.

Aux Etats-Unis, le traitement Zolgensma coûte plus de 2 millions de dollars.

La Commission Européenne s'aligne généralement sur l'avis du CHMP, le plus souvent dans un délai de deux mois.

noo/gab/pcm

NOVARTIS

Afp le 27 mars 20 à 17 04.