



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 45748

Texte de la question

M. Rudy Salles attire l'attention de Mme la ministre de la santé et des sports sur le traitement de la maladie mortelle de la leucodystrophie métachromatique (MLD). Cette pathologie rare et jusqu'à présent incurable paralyse le système nerveux des enfants qui en sont atteints. Elle maladie serait due à la mutation d'un gène provoquant la régression ou l'arrêt du développement moteur. Des chercheurs danois et suédois ont développé une enzyme lysosomale, le Metazym, destinée au traitement de cette pathologie, pour le traitement de la maladie mortelle de la leucodystrophie métachromatique (MLD). Les familles de patients et les médecins spécialistes en neurologie pédiatrique du monde entier suivent cette recherche avec un grand intérêt. Aussi, il lui demande si la France compte participer au financement des recherches pour la mise au point du traitement.

Texte de la réponse

La spécialité Metazym (Rh arylsulfatase) est constituée d'une enzyme recombinante, destinée à combler le déficit enzymatique en arylsulfatase A constaté chez les patients atteints de leucodystrophie métachromatique (LDM), maladie orpheline. Cette spécialité ne dispose pour l'instant d'aucune autorisation de mise sur le marché (AMM) dans le monde, dans la mesure où elle est encore en cours de développement initié par le laboratoire danois Zymenex, puis repris en avril 2008 par le laboratoire Shire. Ce développement n'en est qu'au stade précoce puisque seul un essai clinique de phase I/II. Il a été mené au Danemark chez 13 enfants atteints de LDM infantile tardive dont 3 Français. Les données de cet essai communiquées en mars 2009 lors d'un congrès américain montrent une bonne tolérance de Metazym® mais ne permettent pas de conclure sur son efficacité. L'Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé (AFSSAPS) et le ministère chargé de la santé se mobilisent pour que des essais de ce médicament soient mis en place en France. Le laboratoire Shire envisage, afin de tester l'efficacité de Metazym®, de mettre en place un essai clinique international de phase II/III, dont les critères d'inclusion ne sont pas encore définis et pour lequel des centres français devraient être prévus, ce qui permettrait non seulement le recueil de données sur l'efficacité et la tolérance du médicament mais aussi le traitement de patients.

Données clés

Auteur : [M. Rudy Salles](#)

Circonscription : Alpes-Maritimes (3^e circonscription) - Nouveau Centre

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 45748

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Santé et sports

Ministère attributaire : Santé et sports

Date(s) clé(s)

Question publiée le : 31 mars 2009, page 3035

Réponse publiée le : 8 décembre 2009, page 11797