



ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

Maladie de l'ataxie de Friedreich et expérimentations de la thérapie génique

Question écrite n° 17344

Texte de la question

M. Julien Aubert appelle l'attention de Mme la ministre des solidarités et de la santé sur l'ataxie de Friedreich. Cette maladie héréditaire rare et incurable est caractérisée par une atteinte neurodégénérative, une atteinte du cœur et un risque accru de diabète. Actuellement, cette maladie ne présente aucun traitement. Pourtant, de récentes expérimentations sur des souris, conduites par l'Institut de génétique et de biologie moléculaire et cellulaire (IBGMC) de Strasbourg, ont démontré l'efficacité de la thérapie génique sur l'atteinte neurodégénérative associée à l'ataxie de Friedreich. Cette thérapie est avancée et profite de quelques années de recherche en phase préclinique mais n'est malheureusement pas encore accessible, à ce jour, aux patients. L'ataxie de Friedreich étant une maladie neurodégénérative induisant une détérioration de jour en jour, il lui demande ce qu'envisage le Gouvernement, en termes d'expérimentation, de la thérapie génique en direction des patients qui souhaiteraient pouvoir en bénéficier sans attendre.

Texte de la réponse

Consciente des attentes spécifiques des patients souffrant de maladies génétiques graves altérant le pronostic fonctionnel et vital et sans alternative thérapeutique, telle la maladie l'ataxie de Friedreich, la ministre des solidarités et de la santé a saisi l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM), particulièrement mobilisée dans l'accès précoce aux produits de thérapie génique. Un contact a été établi avec l'Institut de génétique et de biologie moléculaire et cellulaire (IBGMC), afin de connaître plus précisément l'état d'avancement des travaux scientifiques engagés sur ce produit de thérapie génique à base de vecteur viral et d'apprécier la faisabilité d'une mise à disposition dès à présent à un patient (usage clinique). En effet, il importe de savoir, si le médicament est susceptible de présenter un bénéfice dans la situation du patient et si l'état des connaissances scientifiques laisse préjuger de son efficacité et de sa sécurité. A ce stade, il apparaît que le produit est en phase d'expérimentation animale (phase non-clinique), avec des premiers résultats d'efficacité encourageants chez un modèle de souris mimant la pathologie. Or, un accès précoce en clinique nécessiterait notamment d'avoir caractérisé le profil de sécurité du produit chez l'animal et d'avoir défini une dose permettant d'escompter un bénéfice thérapeutique avec une tolérance acceptable pour le patient. Par ailleurs, en ce qui concerne les options développées en thérapie génique dans cette pathologie, l'ANSM a identifié une structure américaine, PTC therapeutics, ayant développé un produit de thérapie génique à base d'un vecteur viral dans cette pathologie et pour lequel une mise à disposition en clinique pourrait être envisagée aux Etats-Unis courant 2019. Ce produit pourrait être à un stade plus avancé notamment en termes de détermination d'un niveau de dose et de niveau de caractérisation au plan de la qualité pour un usage clinique. Cependant, à ce stade, il est difficile d'apprécier dans quelle mesure le laboratoire pourrait envisager un accès précoce en France, accès qui pourrait nécessiter d'être élargi à l'Union européenne. Au regard de la complexité de production des produits de thérapie génique, la capacité de production permettant de répondre à une demande d'accès précoce élargie est un sujet difficile. Dans l'immédiat, il n'existe pas d'essais cliniques de produit de thérapie génique dans la maladie de l'ataxie de Friedreich.

Données clés

Auteur : [M. Julien Aubert](#)

Circonscription : Vaucluse (5^e circonscription) - Les Républicains

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 17344

Rubrique : Maladies

Ministère interrogé : [Solidarités et santé](#)

Ministère attributaire : [Solidarités et santé](#)

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [26 février 2019](#), page 1840

Réponse publiée au JO le : [16 avril 2019](#), page 3697