



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladie de Parkinson

Question écrite n° 122143

Texte de la question

M. Jean-Claude Flory attire l'attention de M. le ministre du travail, de l'emploi et de la santé sur les derniers résultats de la recherche médicale américaine concernant la maladie de Parkinson, publiés dans la revue « *the lancet* » en mars 2011. Cette maladie concerne près de 120 000 personnes en France. Elle est due à la dégénérescence de certains neurones sécrétant de la dopamine et se traduit notamment par des tremblements et des mouvements anormaux. Une équipe de l'Institut de recherche médicale, Manhasset, à New-York, a travaillé avec Neurologix avec sept centres médicaux américains sur 31 personnes malades depuis plus de 5 ans. Les 16 personnes de cette cohorte qui ont bénéficié d'un transfert de gènes au niveau du noyau subthalamique du cerveau ont vu leur état s'améliorer de 23 %. Aussi, il lui demande si les autorités sanitaires seraient favorables à l'autorisation de cette thérapie génique en France.

Texte de la réponse

La thérapie génique est une nouvelle approche thérapeutique fondée sur l'utilisation de séquences d'acide désoxyribonucléique (ADN) administrées à un patient pour restaurer ou apporter une fonction nouvelle aux cellules. Le transport de ces séquences d'ADN (ou gènes) nécessite un système vecteur qui, le plus souvent, dérive d'un virus rendu inoffensif et modifié en laboratoire pour qu'il puisse transporter le gène d'intérêt. La maladie de Parkinson est consécutive à une dégénérescence progressive d'un contingent particulier de neurones du cerveau, les neurones dopaminergiques de la voie nigro-striée. Ces neurones, au cours de leur fonctionnement normal, régulent l'activité d'autres neurones qui produisent un autre neurotransmetteur, l'acide gamma-amino butyrique (GABA). Depuis plus d'une dizaine d'années, des recherches ont été menées en laboratoire pour tenter d'apporter une solution thérapeutique à la maladie de Parkinson en utilisant les techniques de la thérapie génique. Les deux points majeurs à résoudre pour y parvenir étaient de déterminer le type de vecteur de transfert de gène adapté aux structures cérébrales et le gène potentiellement thérapeutique qui devait être administré puisque la maladie de Parkinson n'est pas une maladie génétique. La revue *Lancet* dans son numéro du mois d'avril 2011 rapporte des résultats encourageants obtenus par une équipe américaine. Les investigateurs de cet essai clinique avaient choisi d'utiliser un virus adéno-associé de sérotype 2 (AAV2) pour véhiculer le gène codant la décarboxylase de l'acide glutamique au niveau des noyaux subthalamiques du cerveau. Cette enzyme est responsable de la transformation de l'acide glutamique en GABA. Les résultats publiés ont montré une amélioration partielle, mais significative, des signes cliniques de la maladie chez certains patients. Il s'agit donc d'une première étude clinique réalisée chez un petit nombre de patients (22 patients ont reçu le vecteur de transfert de gènes) utilisant un médicament expérimental et dont les résultats nécessiteront d'autres investigations avant le dépôt d'une demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM). Ce type de produit de thérapie génique répond à la définition de Médicament de Thérapie Innovante (MTI) soumis aux dispositions du Règlement (CE) n 1394/2007/CE du Parlement européen et du Conseil du 13 novembre 2007 concernant les médicaments de thérapie innovante et modifiant la directive 2001/83/CE ainsi que le règlement (CE) n 726/2004 du 13 novembre 2007. Les autorités sanitaires françaises et notamment l'Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé (Afssaps) ont mis en place depuis de nombreuses

années un cadre réglementaire adapté (avec un régime d'autorisation des recherches biomédicales depuis 1996) et un accompagnement des projets cliniques de thérapie génique. En ce sens, l'Afssaps a notamment autorisé dès 2007, la réalisation en France d'un essai clinique de thérapie génique pour la maladie de Parkinson. Le vecteur viral utilisé était d'un type différent de celui utilisé dans l'étude américaine, de même que les gènes codés par ce vecteur. Cet essai clinique, qui est toujours en cours, prévoit l'administration par injection intra cérébrale du vecteur dans les deux striatums des patients inclus dans l'essai. Enfin, ce n'est que lorsque ces MTI de thérapie génique auront fait la preuve de leur efficacité dans des essais cliniques, qu'une demande d'AMM pourra être envisagée.

Données clés

Auteur : [M. Jean-Claude Flory](#)

Circonscription : Ardèche (3^e circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 122143

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Travail, emploi et santé

Ministère attributaire : Travail, emploi et santé

Date(s) clé(s)

Question publiée le : 15 novembre 2011, page 11956

Réponse publiée le : 1er mai 2012, page 3397