



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 3060

Texte de la question

M. Michel Voisin souhaite appeler l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse et des sports sur la situation des enfants atteints de la maladie orpheline lysosomale dite de San Filippo et sur l'étude qui est menée actuellement par le laboratoire suisse Actelion depuis une réunion qui s'est tenue en février 2006 dans son ministère. Cette maladie génétique qui apparaît dès l'âge de deux à trois ans rend hyperactifs les enfants qui en sont affectés, et donc dangereux pour eux-mêmes et pour leurs proches dans un premier temps, grabataires dès l'âge de dix ans et s'achève malheureusement par la mort du patient vers vingt ans par complication respiratoire en général. Cent trente à cent cinquante familles sont concernées en France et souffrent donc à double titre de ne pouvoir compter sur aucun remède connu pour soigner et sauver leur enfant et d'être en plus abandonnés par leur patrie, faute de rentabilité suffisante pour des laboratoires privés, suisses de surcroît. Nous arrivons au terme de la première période de six mois durant laquelle vingt-cinq jeunes patients ont reçu, pour certains d'entre eux, le médicament Zavesca, qui semble, selon les familles, donner des résultats encourageants et, pour certains, inespérés. Or, pour des raisons financières, l'étude est en passe d'être arrêtée après avoir rendu l'espoir à nombre de familles ; c'est inacceptable. Quant une chance unique et historique se présente de pouvoir guérir nos enfants, devons-nous, pouvons-nous laisser la seule logique comptable la réduire à néant et avec elle l'espoir suscité chez des centaines de familles et d'enfants en France et des milliers en Europe et dans le monde ? À chacun ses moyens. À chacun selon ses besoins : tel est l'esprit de notre système de santé et par-delà le seul traitement - impérieusement nécessaire et qui semble aujourd'hui à notre portée - de la maladie de San Filippo, c'est bien de cet état d'esprit qu'il est aujourd'hui question. C'est pourquoi il lui demande quelles sont ses intentions quant aux mesures à prendre pour rendre possible la nécessaire poursuite de ce programme de recherche et la lutte contre cette terrible maladie.

Texte de la réponse

Le médicament Zavesca bénéficie d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) délivrée par la commission européenne le 20 novembre 2002, et est exploité par les laboratoires Actélon. Il est indiqué pour le traitement par voie orale de la maladie de Gaucher de type 1 légère à modérée. Actuellement, un essai clinique est mené par les hospices civils de Lyon pour évaluer son efficacité et sa tolérance dans le traitement de la maladie de San Filippo. Il s'agit là d'un préalable à une éventuelle demande d'extension d'indication thérapeutique de l'AMM de ce produit. Cet essai clinique a obtenu préalablement à sa mise en oeuvre l'autorisation de l'Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé (Afssaps) et l'avis favorable du comité de protection des personnes (CPP) concerné. Des difficultés liées au financement de cette recherche sont apparues six mois après le début de l'essai clinique (juin 2007), mais les laboratoires Actélon s'étant engagés à fournir le médicament gracieusement, le programme d'essai a pu se poursuivre.

Données clés

Auteur : [M. Michel Voisin](#)

Circonscription : Ain (4^e circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 3060

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Santé, jeunesse et sports

Ministère attributaire : Santé, jeunesse et sports

[Date\(s\) clé\(s\)](#)

Question publiée le : 14 août 2007, page 5245

Réponse publiée le : 13 novembre 2007, page 7111