



ASSEMBLÉE NATIONALE

14ème législature

médicaments

Question écrite n° 11395

Texte de la question

M. Hervé Féron attire l'attention de Mme la ministre des affaires sociales et de la santé sur le développement de la thérapie génique. En effet, la thérapie génique fait son apparition sur le marché européen pour traiter une inflammation très rare du pancréas d'origine génétique. Le 1er novembre 2012, l'Union européenne a validé un nouveau traitement de thérapie génique, le premier sur son territoire, afin de soigner une affection rare mais potentiellement mortelle : le déficit génétique en lipoprotéine lipase. Ce médicament, conçu par la société néerlandaise UniQure, se nomme glybera. Cette pathologie touche une à deux personnes sur un million. Elle se caractérise par l'inefficacité d'une enzyme essentielle au métabolisme des graisses : la lipoprotéine lipase. Cette protéine a pour fonction de dégrader les chylomicrons, amas d'acides gras qui, s'ils s'accumulent, peuvent boucher les capillaires sanguins pancréatiques et entraîner une inflammation potentiellement mortelle. La Commission européenne, qui soutenait le dossier depuis juillet 2012, l'a validé suite à trois essais cliniques menés par UniQure qui ne laissaient apparaître aucun cas d'intolérance au traitement et révélaient l'efficacité du médicament puisqu'il restaure toutes les fonctions métaboliques et une seule dose suffit à une protection à long terme. L'inconvénient majeur réside dans son prix de revient. Il est estimé à 1,25 million d'euros par patient. Lors de sa mise sur le marché au second semestre 2013, il deviendra le soin le plus onéreux. Des négociations ont désormais lieu entre l'entreprise pharmaceutique et les gouvernements européens pour déterminer les modalités de sa mise sur le marché. Ainsi, il lui demande son appréciation sur cette nouvelle méthode de traitement par thérapie génique ainsi que les orientations que compte suivre le Gouvernement afin d'assurer une mise sur le marché efficiente, permettant un accès pérenne à ce traitement novateur.

Données clés

Auteur : [M. Hervé Féron](#)

Circonscription : Meurthe-et-Moselle (2^e circonscription) - Socialiste, républicain et citoyen

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 11395

Rubrique : Pharmacie et médicaments

Ministère interrogé : Affaires sociales et santé

Ministère attributaire : Solidarités et santé

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [20 novembre 2012](#), page 6547

Question retirée le : 20 juin 2017 (Fin de mandat)