ASSEMBLÉE NATIONALE

14ème législature

traitements

Question écrite n° 6734

Texte de la question

M. Hervé Féron attire l'attention de Mme la ministre des affaires sociales et de la santé sur les données encourageantes obtenues dans le traitement de la maladie de Gaucher. En effet, Sanofi et sa filiale Genzyme annoncent que leur première étude de phase III sur un traitement expérimental de la maladie de Gaucher, une maladie héréditaire rare, a atteint son critère d'évaluation principal. La maladie de Gaucher se caractérise par l'accumulation de lipides dans la rate, le foie et la moelle osseuse, entraînant une augmentation du volume des organes, des saignements et des ecchymoses. Selon les deux groupes, les patients traités par tartrate d'éliglustat ont montré une amélioration statistiquement significative du volume de la rate après neuf mois de traitement, comparativement à un placebo. Dans le cadre de l'étude, le volume de la rate des patients traités par le tartrate d'éliglustat a diminué en moyenne de 28 % par rapport au volume de référence, contre une augmentation moyenne de 2 % chez les patients traités par placebo. Les tests cliniques de phase III portent sur des patients atteints du type 1 de la maladie, naïfs de traitement. Ainsi, il lui demande les mesures qui s'offrent au Gouvernement afin de soutenir activement la recherche face à la maladie de Gaucher, qui est sur le point d'aboutir à un traitement efficient.

Texte de la réponse

La maladie de Gaucher est une maladie orpheline de surcharge lysosomale due à un déficit enzymatique en glucocérébrosidase (aussi appelée glucosylcéramidase ou béta-glucosidase acide) ou exceptionnellement de son activateur (saposine C). A ce jour, plusieurs médicaments sont disponibles en France dans la prise en charge des patients atteints de la maladie de Gaucher. Ainsi en est-il, d'une part des enzymothérapies de substitution au nombre desquelles figurent la spécialité CEREZYME (imiglucérase) indiquée dans le traitement de patients (adultes et enfants) présentant une maladie de Gaucher de type 1 ou de type 3 ; la spécialité VPRIV (vélaglucérase) indiquée dans le traitement de patients (adultes et enfants) présentant une maladie de Gaucher de type 1 ; ou encore, la spécialité UPLYSO (taliglucérase) qui était mise à disposition jusqu'à ce jour dans le cadre d'une autorisation temporaire d'utilisation (ATU) chez certains patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1 en l'absence d'alternative thérapeutique appropriée disponible. D'autre part, d'autres traitements peuvent également être administrés aux patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1 légère à modérée et chez lesquels la thérapie de remplacement enzymatique ne convient pas. Ainsi en est-il de la spécialité ZAVESCA (miglustat). L'ensemble de ces médicaments est donc disponible en France pour ces patients et a fait l'objet de recommandations de stratégie thérapeutique par l'Agence Nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM). Enfin, un nouveau traitement par éliglustat est actuellement en cours d'essai clinique chez les patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1. Plus généralement, depuis 2006, l'ANSM mène une politique d'aide à l'innovation en apportant un soutien administratif et technico-réglementaire aux industriels, aux chercheurs académiques et aux patients afin de favoriser l'accès à des produits innovants, dans le respect des exigences de sécurité sanitaire. Tout nouveau projet dans ce domaine est examiné avec la plus grande attention par l'ANSM. Plus spécifiquement, l'axe B du deuxième plan national « maladies rares » 2011-2014 a pour objectif de développer la recherche sur les maladies rares dont fait partie la

maladie de Gaucher. Ce plan, disponible sur le site internet du ministère des affaires sociales et de la santé (www. sante. gouv. fr), s'inscrit dans la continuité du plan national « maladies rares » 2005-2008.

Données clés

Auteur : M. Hervé Féron
Circonscription : Meurthe-et-Moselle (2e circonscription) - Socialiste, écologiste et républicain
Type de question : Question écrite
Numéro de la question : 6734
Rubrique : Santé
Ministère interrogé : Affaires sociales et santé
Ministère attributaire : Affaires sociales et santé

Date(s) clée(s)

Question publiée au JO le : 9 octobre 2012, page 5435
Réponse publiée au JO le : 22 janvier 2013, page 785