



# ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

## Madadie de l'ataxie de Friedreich

Question écrite n° 16291

### Texte de la question

M. Boris Vallaud attire l'attention de Mme la ministre des solidarités et de la santé sur la maladie de l'ataxie de Friedreich. Maladie génétique rare, grave et neurodégénérative, elle altère progressivement les muscles, le pancréas, le cœur, le cerveau et la moelle épinière et ne présente actuellement aucun traitement. Seules quelques entreprises investissent dans la recherche de cette maladie rare. L'une des solutions envisagées pour essayer de corriger, améliorer, guérir cette maladie est de pratiquer de la thérapie génique. Étudiée à l'Institut de génétique et de biologie moléculaire et cellulaire (IGBMC) à Strasbourg, la thérapie génique aurait démontré des améliorations significatives et encourageantes sur les animaux testés. En conséquence et en raison de l'évolution inéluctable de la maladie, il lui demande quelles sont les orientations du Gouvernement visant à expérimenter la thérapie génique en direction des patients pleinement conscients des risques encourus liés à la pratique d'une médecine non éprouvée.

### 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 (IGBMC), 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. Boris Vallaud](#)

**Circonscription** : Landes (3<sup>e</sup> circonscription) - Socialistes et apparentés

**Type de question** : Question écrite

**Numéro de la question** : 16291

**Rubrique** : Maladies

**Ministère interrogé** : [Solidarités et santé](#)

**Ministère attributaire** : [Solidarités et santé](#)

## Date(s) clé(s)

**Question publiée au JO le** : [29 janvier 2019](#), page 806

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