



ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

Ataxie de Friedreich - Accès aux essais cliniques

Question écrite n° 19733

Texte de la question

M. Laurent Garcia attire l'attention de Mme la ministre des solidarités et de la santé sur la situation de certains malades, porteurs de maladies génétiques rares à issue fatale, qui ont des difficultés d'accès à des soins au stade d'essais cliniques, alors même qu'aucun autre traitement n'est à leur portée et qu'ils sont volontaires pour participer à des traitements expérimentaux. Il désire souligner plus spécialement la situation des personnes atteintes par l'ataxie de Friedreich, une maladie héréditaire rare, caractérisée par une atteinte neurodégénérative, une atteinte du cœur et un risque accru de diabète, pour laquelle il n'existe aucun traitement à ce jour. Au vu d'avancées considérables en matière de recherche sur le sujet, particulièrement de la part de l'Institut de génétique et de biologie moléculaire et cellulaire (IBGMC) situé à Strasbourg, un traitement dans le cadre d'un essai clinique ne paraît plus hors de portée. Considérant l'issue fatale de la maladie, il lui demande si le Gouvernement envisage de travailler sur des procédures accélérées et adaptées pour offrir l'accès à ces essais cliniques aux malades qui ne bénéficient d'aucun traitement à visée curative. Il s'agirait ainsi de mettre le patient au cœur de la décision, en lui permettant, en toute connaissance de cause, d'accéder à un éventuel espoir de guérison.

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 (IBGMC), 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.

Données clés

Auteur : [M. Laurent Garcia](#)

Circonscription : Meurthe-et-Moselle (2^e circonscription) - Mouvement Démocrate et apparentés

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 19733

Rubrique : Maladies

Ministère interrogé : [Solidarités et santé](#)

Ministère attributaire : [Solidarités et santé](#)

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [21 mai 2019](#), page 4617

Réponse publiée au JO le : [4 juin 2019](#), page 5205