

Une avancée historique !
Première thérapie génique d'une maladie neuromusculaire autorisée aux Etats-Unis :
un formidable espoir pour les malades,
un défi majeur pour notre pays

Le 24 mai, la FDA américaine a donné son autorisation de mise sur le marché du Zolgensma®, un médicament de thérapie génique pour le traitement de l'amyotrophie spinale infantile développé par la société Avexis (Novartis).

L'AFM-Téléthon salue cette avancée historique pour les malades et familles concernés par cette maladie neuromusculaire dont la forme plus grave est mortelle avant l'âge de deux ans. Elle appelle l'agence européenne à accélérer le processus d'autorisation pour l'Europe. Et sans attendre, elle demande que les malades français puissent bénéficier des dispositifs d'accès précoce.

Cette avancée historique confirme le bien fondé des choix stratégiques de l'AFM-Téléthon qui, depuis près de 30 ans, impulse, soutient et finance le développement de la thérapie génique.

Elle confirme également le rôle majeur joué par son laboratoire Généthon, financé grâce au Téléthon. Ses recherches ont contribué de manière déterminante à la mise au point du produit et de la voie d'administration utilisés par cette thérapie génique, grâce aux travaux pionniers réalisés par la chercheuse Martine Barkats et son équipe.

Des premières victoires remportées dans les années 2000 pour des déficits immunitaires au traitement aujourd'hui des premières maladies neuromusculaires en passant par les maladies du sang, de la vision, des cancers du sang (cellules CAR-T)... **la thérapie génique arrive à maturité et fait une entrée fracassante dans l'arsenal thérapeutique, bouleversant tout un pan de la médecine.** Cette révolution médicale, équivalente à celle des vaccins ou des antibiotiques, pose, de façon cruciale, un double défi à notre pays :

-l'urgence de construire une filière française des biothérapies innovantes pour que soient développées en France, et non aux Etats-Unis, les innovations nées dans nos laboratoires.

- la nécessité de réformer le mode de fixation des prix pour que ces traitements innovants soient accessibles pour les malades et assumables par le système de santé de notre pays.

Deux conditions *sine qua non* et plus que jamais d'actualité **pour garantir notre indépendance sanitaire nationale et permettre la mise sur le marché de ces médicaments de nouvelle génération à un prix maîtrisé.**



« Depuis toujours, nous avons la conviction que la thérapie génique peut renverser le cours de nos maladies incurables et si souvent mortelles. Nous nous sommes battus, contre vents et marées, sans relâche, et l'histoire montre aujourd'hui que nous avons eu raison d'y croire ! Cette avancée historique ouvre une nouvelle ère de notre histoire : les médicaments de thérapie génique se multiplient pour les maladies rares, et nombre d'entre eux ont été développés grâce au soutien de notre Association ou au savoir-faire de nos laboratoires. Cette révolution médicale met notre pays face à des défis majeurs dont l'enjeu est, tout simplement, la vie de nos enfants ! Nous rappelons, une nouvelle fois, aux pouvoirs publics l'urgence absolue de développer une filière française de la thérapie génique pour capitaliser sur notre excellence scientifique et garantir notre indépendance sanitaire nationale. Nous renouvelons également auprès des industriels concernés notre appel à la transparence, à la modération et à la responsabilité dans leurs revendications de prix. » souligne Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM-Téléthon.

Contacts presse AFM-Téléthon :

Stéphanie Bardon : 06 79 34 15 68

Marion Delbouis : 06 58 27 57 66

- presse@afm-telethon.fr