Le premier médicament contre une myopathie a été autorisé

Compte Test - 2014-05-27 13:45:00 - Vu sur pharmacie.ma

L'ataluren, premier médicament efficace contre la myopathie de Duchenne, vient d'obtenir l'agrément temporaire de l'Agence européenne du médicament (EMA).

L'ataluren, qui sera commercialisé sous le nom de Translarna en Europe, a été développé par le laboratoire américain PTC Therapeutics. Avec l'octroi par l'EMA d'une autorisation de mise sur le marché conditionnelle, qui doit encore être confirmée par la Commission européenne, le laboratoire pourra négocier au cas par cas les conditions de remboursement avec chaque État membre.

Reposant sur une technique innovante de «chirurgie du gène», l'ataluren est efficace pour 13 % des myopathes de Duchenne. Il s'agit des patients porteurs d'une mutation spécifique, dite «mutation stop», car elle bloque prématurément la synthèse d'une protéine, la dystrophine, indispensable au bon fonctionnement musculaire. Le médicament permet d'ignorer ce signal d'arrêt.

Les résultats des essais menés par PTC Therapeutics dans une cinquantaine de centres internationaux, sur des enfants de plus de 5 ans encore capables de marcher, ont mis en lumière un ralentissement de l'évolution de la maladie, voire parfois l'amélioration de la marche. Pour évaluer l'efficacité du traitement, les chercheurs ont mesuré la distance parcourue par ces quelque 200 petits patients en 6 minutes. «Sans médicament, ils perdent en moyenne 40 mètres par an. Mais les enfants traités par ataluren sur un an ont présenté un avantage de 30 mètres», explique le Pr Thomas Voit, directeur médical et scientifique à l'Institut de myologie, l'un des quatre centres français à avoir participé aux essais. Ce qui revient, en schématisant, à une perte de la déambulation de «seulement» 10 mètres par an. «C'est un énorme avantage», évalue le Pr Voit.