

Un médicament sur mesure pour sauver une fille atteinte de la maladie de Batten

Abderrahim DERRAJI - 2018-11-05 11:41:11 - Vu sur pharmacie.ma

Pour sauver une petite fille, âgée de 6 ans, atteinte d'une maladie rarissime, des médecins se sont mobilisés pour lui fabriquer un médicament sur mesure. La petite fille qui s'appelle Mila et qui vit aux États-Unis est atteinte de la maladie de Batten (CLN7), une maladie juvénile mortelle, qui entraîne une perte de vision, un déclin intellectuel et moteur et des crises convulsives généralisées, partielles complexes, plus rarement myocloniques. Cette pathologie neurodégénérative héréditaire très rare a une incidence de 1 pour 45.000 naissances dans les pays scandinaves et 1 pour 143.000 naissances en Allemagne. Dans le cas de cette petite américaine, une équipe de médecins du Southwestern Medical Center de l'Université du Texas (États-Unis) s'est mobilisée pour lui venir en aide. Pour ce faire, un séquençage génétique approfondi a été pratiqué rapidement vu que l'état de la petite fille se dégradait vite. L'équipe de chercheurs a mis au point un médicament nommé «Milasen» qui est un oligonucléotide antisens adapté à la mutation CLN7 dont souffre la jeune fille. Ce cas clinique a été décrit lors du congrès annuel de l'American Society of Human Genetics qui s'est déroulé en octobre 2018. Les chercheurs ont fait part aux participants à ce Congrès de l'histoire de la maladie de la jeune Mila qui a pu bénéficier de ce traitement qui a obtenu le feu vert de la Food and Drug Administration (FDA). L'administration de ce médicament a permis de réduire certains symptômes de la maladie. La petite fille n'est pas pour autant tirée d'affaire, mais grâce à ce lourd traitement, son état semble s'améliorer de jour en jour ce qui constitue un espoir pour tous les enfants atteints de ce type de maladies.