Un traitement de l’hémophilie B qui coûte 3,5 millions de dollars

Abderrahim DERRAJI - 2022-11-28 08:06:22 - Vu sur pharmacie.ma

La Food and Drug Administration (FDA) vient d’accorder l’Autorisation de mise sur le marché (AMM) à Hemgenix®, un nouveau traitement de l'hémophilie B dont le prix a été fixé à 3,5 millions de dollars la dose. Avec ce prix, ce traitement mis sur le marché par le laboratoire CSL Behring détrônera le Zolgensma® de Novartis dont le prix est de 2,1 millions de dollars et le traitement de la bêta-thalassémie de Bluebird Bio se vend à 2,8 millions de dollars. L’hémophilie B est une maladie qui affecte environ 1 personne sur 40.000. Elle représente 15% des patients hémophiles à travers le monde. Le nombre de personnes vivant avec une hémophilie B aux États-Unis et en Europe avoisine les 16 millions de personnes. Ces patients ont un déficit héréditaire en facteur de coagulation IX qui est dû à une mutation. Ce déficit, qui empêche le sang de coaguler, peut être corrigé par un traitement de substitution administré par voie intraveineuse que les hémophiles doivent effectuer toute leur vie pour éviter les hémorragies. Hemgenix® fait appel à un adénovirus qui est utilisé comme vecteur pour fournir du matériel génétique. Le gène manquant au malade (facteur de coagulation IX) est acheminé dans l'organisme du malade, plus précisément dans le foie et lui transmet l'information nécessaire pour produire la protéine du facteur IX jusque-là manquante. Hemgenix® permet d'augmenter le taux sanguin du facteur IX, ce qui réduit de plus de moitié le nombre d'événements hémorragiques attendus au cours d'une année. D’après une étude clinique, 94% des patients pourraient se passer des perfusions régulières du facteur de coagulation IX. Bien que ce traitement ne nécessite qu’une seule administration et permet au malade de retrouver une vie quasi normale, il n’en reste pas moins que son prix excessif le rend inaccessible aux malades, d’autant plus que les caisses d’assurance-maladie sont déjà en difficulté à cause des nouvelles thérapies dont le mécanisme de fixation des prix manque souvent de transparence.