# Un traitement de la leucodystrophie métachromatique à 4,25 millions de dollars la dose

Compte Test - 2024-03-24 20:42:03 - Vu sur pharmacie.ma

Lenmeldy, un médicament développé en Italie, est désormais le médicament le plus cher du monde. Commercialisé sous le nom de Libmeldy en Europe, ce traitement cible une maladie très rare, la leucodystrophie métachromatique à début précoce (MLD). Cette maladie rare et souvent mortelle affecte entre 1 cas sur 40.000 et 1 cas sur 100.000 naissances vivantes en Europe et en Amérique du Nord. Le Lenmeldy vise à traiter cette maladie en ciblant une mutation génétique spécifique responsable de la production de l'enzyme arylsulfatase A (ARSA). Chez les patients atteints de MLD, cette mutation entraîne l'accumulation de graisses dans le cerveau et d'autres parties du corps, provoquant des lésions neurologiques progressives et une régression du développement. Les symptômes peuvent varier d'un malade à l'autre. Dans les cas les plus graves, les enfants perdent souvent la capacité de marcher, de parler et d'interagir avec leur entourage, conduisant généralement au décès dans les cinq à six ans suivant le début de la maladie. Le Lenmeldy offre un nouvel espoir pour les patients atteints de MLD. Les essais cliniques ont montré que ce traitement peut prolonger la survie et préserver les fonctions motrices et cognitives chez la plupart des patients, offrant ainsi une lueur d'espoir dans une maladie auparavant considérée comme irrémédiablement progressive. Cependant, ce progrès ne peut pas profiter à tous les malades eu égard à son prix exorbitant. Le coût d'une seule injection de Lenmeldy aux États-Unis est de 4,25 millions de dollars, soit environ 3,93 millions d'euros. En Europe, où le médicament est commercialisé sous le nom de Libmeldy, le prix est légèrement inférieur à 2,5 millions d'euros par injection. Lenmeldy n'est pas le seul médicament de ce type. Il rejoint l'Hemgenix, un traitement de l'hémophilie B du laboratoire CSL Behring, qui détenait auparavant le titre du médicament le plus cher du monde, avec un coût de 3,5 millions de dollars par injection. Les deux sont des thérapies géniques, une approche médicale innovante qui implique l'introduction de matériel génétique dans les cellules pour traiter une maladie. Cette technologie prometteuse offre de nouvelles perspectives pour le traitement de maladies jusqu'alors considérées comme incurables, mais elle présente également des défis considérables en termes de développement et de production. Malgré le prix exorbitant du Lenmeldy, les autorités de santé de 11 pays européens ont accepté de rembourser de manière permanente ce traitement par thérapie génique. En France, cependant, l'accès au Lenmeldy est disponible uniquement via un régime dérogatoire appelé accès précoce, ce qui signifie que son accès n'est pas garanti à long terme. Ce traitement représente un espoir pour les patients atteints de MLD, offrant la possibilité de ralentir la progression de cette maladie dévastatrice. Cependant, son prix exorbitant soulève des questions éthiques et pratiques sur l'accessibilité des traitements de thérapie génique et sur la manière dont les systèmes de santé peuvent répondre à ces nouveaux défis.