Venglustat : un espoir pour les patients atteints de la maladie de Gaucher

Compte Test - 2026-02-03 17:02:44 - Vu sur pharmacie.ma

Sanofi a annoncé que son médicament expérimental Venglustat a atteint l'ensemble des critères d'évaluation principaux et secondaires dans une étude clinique de phase 3 menée chez des adultes et des adolescents atteints de la maladie de Gaucher de type 3 (MG3). Cette pathologie lysosomale rare se caractérise notamment par des atteintes neurologiques sévères, pour lesquelles il n'existe actuellement aucun traitement approuvé. Les essais cliniques de phase 3 représentent une étape décisive dans le développement d'un médicament, car ils visent à démontrer son efficacité et sa sécurité en comparaison avec les traitements existants ou un placebo, et constituent le dernier jalon avant une éventuelle demande d'autorisation de mise sur le marché. Dans ce contexte, les résultats obtenus par le Venglustat sont particulièrement significatifs. Selon Sanofi, le Venglustat a démontré une supériorité par rapport à l'enzymothérapie substitutive pour le traitement des symptômes neurologiques de la MG3. Cette avancée est majeure, car l'enzymothérapie, bien qu'efficace sur certains aspects de la maladie, n'agit pas sur les manifestations neurologiques, qui représentent un besoin médical non couvert important. Fort de ces résultats positifs, Sanofi prévoit désormais de déposer des dossiers réglementaires à l'échelle mondiale afin d'obtenir une autorisation de commercialisation du Venglustat dans l'indication de la maladie de Gaucher de type 3. En revanche, les résultats sont plus nuancés dans une autre maladie lysosomale rare, la maladie de Fabry. Dans une étude de phase 3 portant sur cette pathologie, le Venglustat n'a pas démontré de supériorité sur le critère d'évaluation principal. Le laboratoire a toutefois indiqué qu'une étude de phase 3 supplémentaire est actuellement en cours, afin d'évaluer plus avant le potentiel du médicament dans cette indication.