Fibrodysplasie ossifiante progressive : un nouveau traitement oral autorisé aux États-Unis

Compte Test - 2026-09-27 18:19:40 - Vu sur pharmacie.ma

Un nouveau traitement vient d'être autorisé aux États-Unis pour les patients atteints de fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP). La FDA a donné son feu vert à la mise sur le marché d'Atebrioz, un médicament développé par Mirum Pharmaceuticals et dont le principe actif est le zilurgisertib. Le médicament est indiqué chez les patients âgés de 12 ans et plus. Il se présente sous la forme d'un traitement oral administré quotidiennement à la dose recommandée de 100 mg.
La FOP est une maladie génétique extrêmement rare et particulièrement invalidante. Elle provoque progressivement la transformation des muscles, des tendons et des ligaments en tissu osseux. Cette ossification anormale limite les mouvements et peut entraîner un handicap majeur. Atebrioz agit en bloquant ALK2, une protéine anormalement active chez la majorité des patients atteints de FOP et impliquée dans la formation d'os en dehors du squelette.
L'autorisation américaine repose notamment sur une étude menée auprès de 63 patients. Après 24 semaines de traitement, le zilurgisertib a significativement réduit la formation de nouveaux tissus osseux par rapport au placebo.
Les possibilités thérapeutiques restent très limitées pour les patients. Parmi les autres traitements disponibles aux États-Unis figurent Sohonos d'Ipsen ainsi que Pasatru de Regeneron, ce dernier étant administré par perfusion mensuelle. Cette innovation pose cependant, une nouvelle fois, la question du coût des médicaments destinés aux maladies ultra-rares. Mirum prévoit un lancement américain en octobre et doit annoncer son prix à cette occasion. Un analyste cité par Reuters estime que le coût pourrait avoisiner 750 000 dollars par patient et par an, une estimation qui ne constitue pas encore le prix officiel.