

Novartis comprend les préoccupations des ministres du BeNeLuxAI et s'engage dans un dialogue pour trouver des solutions

11 Février 2020

Nous comprenons les préoccupations des ministres du BeNeLuxAI concernant notre programme d'accès (*Managed Access Program, MAP*) et nous sympathisons avec les parents qui ont un bébé atteint de SMA (*Spinal Muscular Atrophy*). Il est important d'avoir un dialogue ouvert avec le gouvernement. Ensemble, nous cherchons différentes options pour fournir un accès accéléré, après approbation par l'Agence européenne des médicaments (EMA). Nous sommes également à l'écoute des questions et des propositions des associations de patients, des familles et des médecins. Leur contribution est essentielle et nous nous engageons à poursuivre l'évaluation du programme.

Le développement de la thérapie génique est un processus long, complexe et partiellement manuel. Aujourd'hui, nous n'avons qu'un seul site de production qui peut produire l'AVXS-101. Deux autres sites en construction seront prêts pour la production en 2021 en raison de la complexité du processus de production, de la validation et des procédures d'évaluation.

Notre première obligation est de livrer la thérapie génique dans les pays où elle a été approuvée (comme aux États-Unis) ou le sera dans un avenir proche. Il doit également y avoir des doses suffisantes pour mener les essais cliniques. La demande d'AVXS-101 aux États-Unis est beaucoup plus importante que prévu, ce qui limite également le nombre de doses de traitement disponibles. Afin de pouvoir offrir gratuitement les doses restantes aux patients atteints de SMA dans les pays où l'AVXS-101 n'a pas encore été approuvé, nous avons développé le MAP. Grâce au MAP, 100 patients atteints de SMA âgés de moins de 2 ans pourront bénéficier d'une meilleure qualité de vie, et ce, dans le monde entier. Nous préférons aider un nombre limité de patients avec les traitements qui sont encore disponibles, plutôt que de n'aider aucun patient.

Comme nous souhaitons créer le programme le plus éthiquement correct et le plus équitable pour les patients du monde entier, nous avons fait appel à un comité d'experts indépendants composé d'experts en éthique, de médecins et de représentants des patients. Les patients sont sélectionnés sur la base d'un certain nombre de critères médicaux. C'est le médecin traitant qui soumet le dossier de son patient. En effet, le médecin traitant est le plus proche du patient et peut donc mieux que quiconque évaluer le traitement dont le patient a besoin. Ensuite, une partie indépendante spécialisée dans les projets cliniques évalue si le patient remplit les conditions médicales.

Les thérapies géniques telles que l'AVXS-101 sont révolutionnaires elles attaquent la maladie génétique rare à sa source. Un gène manquant ou défectueux est remplacé par une copie du gène, ce qui rétablit la fonction de la protéine. AVXS-101 est la première thérapie génique unique pour la SMA, la maladie héréditaire infantile la plus mortelle. Sans traitement, la SMA peut entraîner une perte totale du contrôle musculaire, ce qui peut nécessiter une assistance respiratoire permanente dès la deuxième année de vie.

Contacts presse

Pour plus d'informations, veuillez prendre contact avec:

Gina Volkaert

Porte-parole Novartis BeLux

E: gina.volkaert@novartis.com

M: 0476 88 67 24

Source URL: <https://www.novartis.com/be-fr/news/media-releases/novartis-comprend-les-preoccupations-des-ministres-du-beneluxai-et-sengage-dans-un-dialogue-pour-trouver-des-solutions>

List of links present in page

1. <https://www.novartis.com/be-fr/news/media-releases/novartis-comprend-les-preoccupations-des-ministres-du-beneluxai-et-sengage-dans-un-dialogue-pour-trouver-des-solutions>
2. <mailto:gina.volkaert@novartis.com>