

AveXis reçoit l'approbation de la Commission européenne pour la première et seule thérapie génique destinée aux patients pédiatriques atteints d'amyotrophie spinale (SMA).

19 Mai 2020

- *L'amyotrophie spinale (SMA) est une maladie génétique rare et dévastatrice qui entraîne une faiblesse musculaire progressive, une paralysie et – en l'absence de traitement de sa forme la plus sévère – une ventilation permanente ou le décès*

Vilvorde, 19 mai 2020 – AveXis, une société de Novartis, a reçu l'approbation de la Commission européenne pour le traitement des patients pédiatriques atteints de SMA. Il s'agit d'une thérapie génique à administration unique destinée à traiter la cause fondamentale de la maladie – à savoir une mutation du gène SMN1. La thérapie est administrée par le biais d'une perfusion intraveineuse (IV) unique d'une heure, permettant l'introduction d'une copie fonctionnelle du gène SMN1 dans les cellules du patient, arrêtant ainsi la progression de la SMA.

Cette approbation est une étape importante pour la communauté SMA en Europe et donne un nouvel espoir aux familles de patients atteints par cette maladie rare mais dévastatrice,

explique Karel Fol, Country Manager AveXis BeNeLux.

Au sujet de l'amyotrophie spinale (SMA)

L'amyotrophie spinale (SMA) est une maladie neuromusculaire génétique rare et dévastatrice qui entraîne une faiblesse musculaire progressive, une paralysie et – en l'absence de traitement de sa forme la plus sévère – une ventilation permanente ou le décès. La SMA est causée par l'absence d'un gène SMN1 fonctionnel (survival motor neuron 1), induisant la perte rapide et irréversible de motoneurones, ce qui affecte les fonctions musculaires, dont notamment la respiration, la déglutition et les mouvements fondamentaux. La SMA est la cause principale de mortalité infantile génétique. En l'absence de traitement, la SMA de type 1 entraîne le décès ou la nécessité d'une ventilation permanente avant l'âge de deux ans dans plus de 90 % des cas.

À propos d'AveXis

AveXis, une division du groupe Novartis, se consacre au développement et à la commercialisation de traitements novateurs pour les patients souffrant de maladies génétiques neurologiques rares et potentiellement mortelles. En plus du développement de ce nouveau traitement, AveXis prévoit également de développer d'autres traitements novateurs pour des maladies neurologiques rares, notamment le syndrome de Rett et une forme génétique de sclérose latérale amyotrophique causée par des mutations du gène de la superoxyde dismutase 1 (SOD1). Pour plus d'informations, veuillez consulter le site <https://www.avexis.com>.

Novartis réinvente la médecine pour améliorer et prolonger la vie des personnes. En tant que leader mondial des médicaments, nous utilisons des technologies scientifiques et numériques innovantes pour créer des traitements transformateurs dans les domaines où les besoins médicaux sont importants. Animés par l'objectif de trouver de nouveaux médicaments, nous nous classons systématiquement parmi les premières sociétés mondiales en matière d'investissements dans la recherche et le développement. Les produits de Novartis touchent presque 800 millions de personnes dans le monde et nous trouvons des moyens innovants pour élargir l'accès à nos derniers traitements. Quelque 109 000 personnes de plus de 145 nationalités travaillent chez Novartis dans le monde entier. Pour en savoir plus, prière de consulter notre site internet:

<https://www.novartis.com>

Novartis est sur Twitter. Inscrivez-vous pour suivre @Novartis sur <https://twitter.com/novartis> ou suivre @NovartisNews pour les dernières actualités et mises à jour médias su <https://twitter.com/novartisnews>.

Pour du contenu multimédia de Novartis, veuillez consulter le site <https://www.novartis.com/news/media-library>.

Pour des questions relatives au site ou à l'inscription requise, veuillez contacter media.relations@novartis.com.

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/avexis-recoit-lapprobation-de-la-commission-europeenne-pour-la-premiere-et-seule-therapie-genique-destinee-aux-patients-pediatriques-atteints-damyotrophie-spinale-sma>

List of links present in page

1. <https://www.novartis.com/be-fr/news/media-releases/avexis-recoit-lapprobation-de-la-commission-europeenne-pour-la-premiere-et-seule-therapie-genique-destinee-aux-patients-pediatriques-atteints-damyotrophie-spinale-sma>
2. <https://www.avexis.com>
3. <https://www.novartis.com>
4. <https://twitter.com/novartis>
5. <https://twitter.com/novartisnews>
6. <https://www.novartis.com/news/media-library>
7. <mailto:media.relations@novartis.com>
8. <mailto:gina.volkaert@novartis.com>