

# **Novartis applaudit le Québec, la première province à inscrire ZolgensmaMD à la liste des médicaments remboursés pour le traitement des enfants atteints d'amyotrophie spinale (AS)**

19 octobre 2021

- *À compter du 20 octobre, le gouvernement du Québec remboursera le traitement pour les enfants atteints d'AS, conformément à la recommandation de l'Institut national d'excellence en santé et services sociaux.*
- *Zolgensma est la première thérapie génique à être officiellement ajoutée à une liste de traitements remboursés par une province au Canada.*

**Dorval (Québec), le 18 octobre 2021** – Novartis Pharma Canada inc. applaudit le gouvernement du Québec pour avoir décidé d'accorder le remboursement de Zolgensma<sup>MD</sup> (onasemnogène abéparvovec) pour le traitement des enfants atteints d'AS. Cette nouvelle, qui entrera en vigueur le 20 octobre, a été annoncée aujourd'hui par le ministre de la Santé, Christian Dubé, et fait suite à une recommandation formulée un peu plus tôt cette année par l'Institut national d'excellence en santé et services sociaux (INESSS), laquelle recommande l'accès aux enfants âgés de moins de six mois et au cas par cas pour les enfants de plus de 6 mois. Les critères d'utilisation reconnus seront ajoutés à la Liste de médicaments fournis en établissements de santé, disponible prochainement sur le site Web de la Régie de l'assurance maladie du Québec (RAMQ).

« C'est un jour mémorable et tant attendu par la communauté québécoise de l'AS. Je tiens à remercier le gouvernement du Québec pour avoir su montrer l'exemple, tant en prenant rapidement des mesures pour couvrir le coût de Zolgensma qu'en adoptant les recommandations de l'INESSS, ce qui permettra aux enfants âgés de six mois et moins ainsi qu'aux enfants de plus de six mois, au cas par cas, d'avoir l'occasion d'accéder à ce traitement », a déclaré Andrea Marazzi, chef de l'Organisation nationale pharmaceutique de Novartis Pharma Canada. « Nous estimons que tous les enfants canadiens atteints d'AS qui pourraient profiter de ce traitement devraient avoir la même occasion, et nous continuerons de collaborer avec les provinces, les territoires et les régimes fédéraux pour obtenir le remboursement rapide et équitable de Zolgensma par les régimes publics. »

« La nouvelle annoncée aujourd'hui par le ministre Dubé apporte de l'espoir aux familles que je soigne et qui cherchaient à obtenir l'accès à Zolgensma pour leurs enfants », a déclaré le Dr Nicolas Chrestian, chef du département de neuropédiatrie et spécialiste en troubles neuromusculaires au Centre Hospitalier Mère Enfant Soleil de l'Université Laval, à Québec. « Il est essentiel de pouvoir accéder rapidement à des traitements pouvant freiner l'évolution de l'AS, comme Zolgensma, pour permettre aux enfants de réaliser leur plein potentiel de développement. Le remboursement des coûts par la province contribue à éliminer une partie des répercussions de la maladie sur les familles. »

## **À propos de Zolgensma**

Zolgensma est une thérapie génique conçue pour s'attaquer à la cause génétique fondamentale de la maladie

en remplaçant le gène SMN1 manquant ou défaillant<sup>1</sup>. Le médicament est administré en une seule perfusion intraveineuse, permettant ainsi de transmettre une nouvelle copie fonctionnelle du gène SMN1 aux cellules du patient, de freiner l'évolution de la maladie et de rétablir la production de la protéine SMN<sup>1</sup>.

Les données sur l'efficacité et l'innocuité à l'origine de l'approbation de Zolgensma pour le traitement des enfants atteints d'AS proviennent d'essais cliniques, terminés ou en cours, comportant un seul groupe, menés en mode ouvert auprès de patients atteints d'AS infantile et présentant deux copies du gène SMN2; et des patients présymptomatiques diagnostiqués par analyse génétique et présentant 2 ou 3 copies du gène SMN2<sup>1</sup>.

### **À propos de l'amyotrophie spinale**

Au Canada, chaque année, environ un enfant sur 10 000 naît avec une AS, une maladie neuromusculaire génétique rare causée par la défaillance ou l'absence du gène SMN1<sup>2</sup>. Sans un gène SMN1 fonctionnel, les nourrissons atteints d'AS perdent les motoneurones à l'origine des fonctions musculaires comme la respiration, la déglutition, la parole et la marche<sup>3</sup>. Si l'enfant ne reçoit pas de traitement, ses muscles s'affaibliront progressivement<sup>2,3</sup>. Sous la forme la plus grave, l'AS entraîne éventuellement la paralysie et, en dernier lieu, la ventilation mécanique prolongée ou la mort avant l'âge de 2 ans dans plus de 90 % des cas<sup>4</sup>. C'est pourquoi il est impératif de diagnostiquer l'AS et d'amorcer un traitement, y compris des soins de soutien proactifs, le plus tôt possible afin de freiner la perte irréversible des motoneurones et l'évolution de la maladie<sup>5</sup>.

### **À propos des activités de Novartis dans le domaine des thérapies géniques et des maladies rares**

Novartis est à l'avant-garde des thérapies cellulaires et géniques conçues pour freiner l'évolution des maladies ou inverser leur progression plutôt que de simplement prendre en charge les symptômes. L'organisation collabore avec des acteurs aux frontières des thérapies cellulaires et géniques afin d'offrir cette avancée majeure dans le domaine de la médecine personnalisée aux patients atteints d'une variété de maladies, notamment de maladies génétiques et de certains cancers mortels. Les thérapies cellulaires et géniques reposent sur des recherches minutieuses qui s'appuient sur des décennies de progrès scientifiques. Consécutivement aux approbations clés de thérapies cellulaires et géniques par les autorités en matière de santé, de nouveaux traitements sont actuellement testés dans le cadre d'essais cliniques à l'échelle mondiale.

### **À propos de Novartis au Canada**

Novartis Pharma Canada inc., un chef de file dans le domaine de la santé, se consacre à la recherche, à la mise au point et à la commercialisation de produits novateurs dans le but d'améliorer le bien-être de tous les Canadiens. En 2020, l'entreprise a investi 45 millions de dollars en recherche et développement au Canada. Située à Dorval, au Québec, Novartis Pharma Canada inc. est une société affiliée à Novartis AG qui propose des solutions thérapeutiques novatrices destinées à répondre aux besoins en constante évolution des patients et des populations dans le monde entier. Elle compte environ 1 000 employés au Canada. L'entreprise est fière de son engagement en faveur de la diversité et se félicite d'offrir un environnement inclusif et inspirant. Novartis figure fièrement sur la liste des 50 Meilleurs lieux de travail au Canada de Great Place to Work<sup>®</sup>. Elle a également été nommée comme l'un des Meilleurs lieux de travail<sup>MC</sup> de 2021 pour les femmes au pays et l'un des Meilleurs lieux de travail pour le bien-être mental. Pour en savoir davantage, veuillez visiter <https://www.novartis.com/ca-fr/>.

Zolgensma est une marque déposée.

La franchise Thérapies géniques de Novartis détient une licence mondiale exclusive avec le Nationwide Children's Hospital pour l'administration intraveineuse et intrathécale de la thérapie génique VAA9 pour le traitement de tous les types d'AS; une licence mondiale exclusive de REGENXBIO pour tout vecteur viral adéno-associé (VAA) recombinant dans son portefeuille de propriété intellectuelle pour le traitement génique in vivo de l'AS chez les humains; un contrat de concession de licence mondiale exclusive avec Généthon pour l'administration in vivo du vecteur VAA9 dans le système nerveux central pour le traitement de l'AS; et un contrat de concession de licence mondiale exclusive avec AskBio pour l'utilisation de sa technique de l'ADN autoccomplémentaire pour le traitement de l'AS.

### **Novartis – Relations avec les médias**

Daphne Weatherby

+1 514 633-7873

Courriel : [camlph.communications@novartis.com](mailto:camlph.communications@novartis.com)

### **Références**

1. Novartis Pharma Canada inc. Monographie de ZolgensmaMD (onasemnogène abéparvovec). 9 juin 2021.
2. National Organization for Rare Disorders (NORD). Spinal Muscular Atrophy. En ligne : <http://rarediseases.org/rarediseases/spinal-muscular-atrophy/>. Consulté le 1er octobre 2021.
3. Anderton RS et Mastaglia RL. Advances and challenges in developing a therapy for spinal muscular atrophy. Expert Rev Neurother. 2015;15(8):895-908.
4. Finkel RS, et coll. Observational study of spinal muscular atrophy type I and implications for clinical trials. Neurology. 2014;83(9):810-817.
5. Govoni, A., et coll. Time Is Motor Neuron: Therapeutic Window and Its Correlation with Pathogenetic Mechanisms in Spinal Muscular Atrophy. Mol Neurobiol. Août 2018;55(8):6307-6318.

---

**Source URL:** <https://www.novartis.com/ca-fr/news/media-releases/novartis-applaudit-le-quebec-la-premiere-province-inscrire-zolgensmamd-la-liste-des-medicaments-rembourses-pour-le-traitement-des-enfants-atteints-damyotrophie-spinale>

### **List of links present in page**

1. <https://www.novartis.com/ca-fr/news/media-releases/novartis-applaudit-le-quebec-la-premiere-province-inscrire-zolgensmamd-la-liste-des-medicaments-rembourses-pour-le-traitement-des-enfants-atteints-damyotrophie-spinale>
2. <https://www.novartis.com/ca-fr/home>
3. <mailto:camlph.communications@novartis.com>
4. <http://rarediseases.org/rarediseases/spinal-muscular-atrophy/>