Négociations terminées entre Novartis et l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) sur ZolgensmaMD pour le traitement des enfants atteints de l'amyotrophie spinale (AS)

13 octobre 2021

Dorval (Québec), le 13 octobre, 2021 — Novartis Pharma Canada inc. a annoncé aujourd'hui avoir conclu les négociations avec l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) par une lettre d'intention relative à Zolgensma[MD] (onasemnogène abéparvovec), un vecteur de thérapie génique dérivé d'un virus adéno-associé (VAA) indiqué dans le traitement des enfants atteints de l'AS 5q et porteurs de mutations bialléliques du gène de survie du motoneurone 1 (SMN1) et présentant 3 copies ou moins du gène SMN2; ou atteints d'AS infantile[1].

« Nous savons que la communauté des patients atteints d'amyotrophie spinale attendait ce jour avec impatience, et nous sommes ravis que les enfants atteints d'AS soient un peu plus près d'avoir un accès provincial à Zolgensma », a déclaré Andrea Marazzi, chef de l'organisation nationale pharmaceutique, Novartis Pharma Canada inc. « Nous nous réjouissons de travailler avec les gouvernements provinciaux pour accélérer l'ajout de Zolgensma à la liste des médicaments assurés afin que les enfants atteints d'AS aient la possibilité de bénéficier pleinement de cette thérapie unique ».

« Les familles du Québec attendaient depuis longtemps cette bonne nouvelle. Maintenant que les négociations avec l'APP sont terminées, nous espérons que la recommandation de l'INESSS sera adoptée rapidement afin que les enfants atteints d'AS aient accès à Zolgensma », a déclaré Gail Ouellette, présidente du Regroupement québécois des maladies orphelines (RQMO).

À propos de Zolgensma

Zolgensma est une thérapie génique conçue pour s'attaquer à la cause génétique fondamentale de l'AS en remplaçant le gène SMN1 manquant ou défaillant[1]. Le médicament est administré par 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[1].

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[1].

À propos de l'amyotrophie spinale

Au Canada, chaque année, environ un enfant sur 10 000 naît avec l'AS, une maladie neuromusculaire génétique rare causée par la défaillance ou l'absence du gène SMN1[2]. Sans le gène SMN1 fonctionnel, les nourrissons atteints d'AS perdent les motoneurones à l'origine des fonctions musculaires telles la respiration,

la déglutition, la parole et la marche[2]. Sans traitement, les muscles s'affaiblissent progressivemen[2,3]. Sous sa forme la plus grave, l'AS entraîne éventuellement la paralysie et mène, dans plus de 90 % des cas, à la ventilation mécanique prolongée ou la mort avant l'âge de 2 ans [4]. 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[5].

À propos de Novartis dans le domaine des thérapies cellulaires et géniques

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. Suite 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 Pharma 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®. Elle a également été nommée comme l'un des Meilleurs lieux de travailMC 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.

Novartis Gene Therapies 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 non exclusive avec AskBio pour l'utilisation de sa technique d'ADN autocomplémentaire pour le traitement de l'AS.

Novartis – Relations avec les médias

Daphne Weatherby
+1 514 633 7873
Courriel: 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 pour la dernière fois le 1 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. 2018 Aug;55(8):6307-6318.

Source URL: *https://prod1.novartis.ca/ca-fr/news/media-releases/negociations-terminees-entre-novartis-et-lalliance-pancanadienne-pharmaceutique-app-sur-zolgensmamd-pour-le-traitement-des-enfants-atteints-de-lamyotrophie-spinale*

List of links present in page

1. https://prod1.novartis.ca/ca-fr/ca-fr/fr/news/media-releases/negociations-terminees-entre-novartis-et-lalliance-pancanadienne-pharmaceutique-app-sur-zolgensmamd-pour-le-traitement-des-enfants-atteints-de-lamyotrophie-spinale
2. https://prod1.novartis.ca/ca-fr/ca-fr/
3. mailto:camlph.communications@novartis.com
4. http://rarediseases.org/rarediseases/spinal-muscular-atrophy/