Novartis et l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) concluent les négociations concernant LuxturnaMD, une thérapie génique pour la perte de vision héréditaire auparavant incurable[1]

21 septembre 2022

- *Luxturna[MD] (voretigène néparvovec) est une thérapie génique administrée en une dose unique qui fournit des copies saines du gène RPE65 aux cellules rétiniennes qui sont dépourvues du gène fonctionnant normalement[1]*

Dorval (Québec), le 20 septembre 2022 – Novartis Pharma Canada inc. et l'Alliance pharmaceutique pancanadienne (APP) ont conclu avec succès les négociations concernant Luxturna[MD] (voretigène néparvovec), une thérapie génique administrée en une dose unique pour le traitement des patients adultes et des enfants qui ont une perte de vision due à une dystrophie rétinienne héréditaire causée par des mutations biallélliques confirmées du gène RPE65.

Les dystrophies rétiniennes héréditaires sont une cause majeure de cécité précoce[2]. Les dystrophies rétiniennes héréditaires à médiation RPE65 sont des maladies rares, graves et évolutives qui finissent par entraîner une grave déficience visuelle, voire la cécité. Avant l'approbation de Luxturna[MD], il n'existait aucune option thérapeutique pharmacologique pour cette forme de cécité héréditaire[2].

« Nous sommes ravis d'avoir mené à bien ces négociations concernant Luxturna[MD], l'une des deux thérapies géniques ciblées innovantes que Novartis a lancées au Canada pour aider les patients et les familles dévastés par des maladies génétiques rares, débilitantes ou menaçant le pronostic vital. Pour tous les Canadiens qui ont un besoin urgent d'un traitement par cette thérapie révolutionnaire, il s'agit d'une étape importante pour y avoir accès », a déclaré Andrea Marazzi, président de Novartis Canada. « Nous continuerons de travailler en collaboration avec les provinces et les territoires afin que les patients dont la vision s'est détériorée en raison d'une mutation touchant les deux copies du gène RPE65 puissent avoir accès à Luxturna[MD] par le biais des régimes publics d'assurance-médicaments le plus rapidement possible. »

« Ce type de maladie oculaire héréditaire touche les enfants et les jeunes adultes et a des répercussions importantes sur toute la famille », a déclaré Doug Earle, président-directeur général de Vaincre la cécité Canada. « Pour la majorité d'entre eux, elle peut entraîner une cécité totale, car les cellules de la rétine, le tissu de l'œil sensible à la lumière, cessent progressivement de fonctionner, fonctionnent moins bien ou meurent[2]. L'accès à un traitement qui peut aider à rétablir la vision peut changer la vie d'un enfant ou d'un jeune adulte et de sa famille. Nous encourageons les provinces à reconnaître l'espoir que représente Luxturna[MD] et à accorder la priorité à l'accès à cette thérapie, car il n'existe aucun autre traitement approuvé pour ces Canadiens. »

À propos des dystrophies rétiniennes héréditaires associées aux mutations du gène RPE65

Les mutations sur les deux copies du gène RPE65 (ou mutations bialléliques) touchent environ 1 personne sur 200,000 et peuvent entraîner la cécité[4,5]. Au stade précoce de la maladie, les patients peuvent présenter une cécité nocturne (héméralopie), une perte de sensibilité à la lumière, une perte de vision périphérique, une baisse de l'acuité visuelle (vision nette ou claire), une détérioration sur le plan de l'adaptation à l'obscurité et des mouvements répétitifs et incontrôlés de l'œil (nystagmus)[5]. Les patients présentant des mutations sur les deux copies du gène RPE65 (mutations bialléliques) peuvent recevoir un diagnostic, par exemple, de rétinite pigmentaire ou d'amaurose congénitale de Leber, soit deux sous-types de dystrophie rétinienne[5].

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 de diverses 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. Au cours des cinq dernières années, nous avons investi en moyenne 47 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 travail^MC 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 consulter le site à l'adresse https://www.novartis.com/ca-fr/.

À propos de Novartis

Novartis réinvente la médecine pour améliorer et prolonger la vie des gens. 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 plus de 800 millions de personnes dans le monde et nous trouvons des moyens innovants pour élargir l'accès à nos derniers traitements. Quelque 108,000 personnes de plus de 140 nationalités travaillent chez Novartis dans le monde entier. Pour en savoir plus, prière de consulter notre site internet: https://www.novartis.com.

Novartis – Relations avec les médias
Daphne Weatherby
Communications, Novartis Pharma
+ 1 514 633-7873
Courriel: camlph.communications@novartis.com

Luxturna est une marque déposée de Spark Therapeutics Inc., utilisée sous licence par Novartis Pharma Canada inc.

Références

1. Novartis Pharma Canada inc. Monographie de Luxturna[MD] (voretigène néparvovec). 20 avril 2022.
2. Patel U BM, de Léséleuc L, et coll. Voretigene Neparvovec: An Emerging Gene Therapy for the Treatment of Inherited Blindness. CADTH Issues in Emerging Health Technologies Ottawa (ON): Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé; 2016. 2018 (169)
3. Novartis. Données internes. 2018.
4. Astuti GD, et coll. Comprehensive genotyping reveals RPE65 as the most frequently mutated gene in Leber congenital amaurosis in Denmark. European Journal of Human Genetics 2016; 24: 1071–79.
5. Morimura H, et coll. Mutations in the RPE65 gene in patients with autosomal recessive retinitis pigmentosa or Leber congenital amaurosis. Proceedings of the National Academy of Sciences of the USA. 1998; 95: 3088–93.

Source URL: *https://prod1.novartis.ca/news/media-releases/novartis-et-lalliance-pancanadienne-pharmaceutique-app-concluent-les-negociations-concernant-luxturnamd-une-therapie-genique-pour-la-perte-de-vision-hereditaire-auparavant-incurable1*

List of links present in page

1. https://prod1.novartis.ca/fr/news/media-releases/novartis-et-lalliance-pancanadienne-pharmaceutique-app-concluent-les-negociations-concernant-luxturnamd-une-therapie-genique-pour-la-perte-de-vision-hereditaire-auparavant-incurable1
2. https://prod1.novartis.ca/fr/home
3. https://www.novartis.com/
4. mailto:camlph.communications@novartis.com