



L'unique traitement innovant contre l'ALDc ne sera pas disponible en Europe : l'incompréhension d'ELA International !

Communiqué de presse – le 3 février 2022

Autorisé par l'Agence Européenne du Médicament en 2021, le Skysona, premier traitement innovant contre l'Adrénoleucodystrophie cérébrale (ALDc) ne sera pas commercialisé en Europe. Le laboratoire Bluebird Bio qui devait le produire ferme ses portes en Europe, condamnant nos enfants. Pourquoi ?

L'adrénoleucodystrophie cérébrale (ALDc) est une maladie génétique rare redoutable qui frappe majoritairement les enfants avant 10 ans et détruit en quelques mois le système nerveux central (cerveau-moelle épinière). Résultat : un enfant jusque-là bien portant perd progressivement toutes ses fonctions (vue, ouïe, locomotion, parole, mémoire...). Seul espoir de survie : intervenir avant l'apparition des premiers symptômes en dépistant et en traitant les enfants au plus vite. Or si un traitement existe, il n'est pas accessible : le laboratoire qui devait le produire a décidé de quitter l'Europe.

Depuis 1992, ELA porte la recherche sur l'ALDc

Depuis sa création en 1992 en France, l'association ELA est mobilisée pour trouver des traitements contre cette maladie. Nous, parents d'enfants malades, avons soutenu l'équipe du Professeur Patrick Aubourg et du Docteur Nathalie Cartier (PARIS – Hôpital Saint Vincent de Paul puis Hôpital Bicêtre) et financé les études pré-cliniques et le premier essai clinique de thérapie génique. Quatre jeunes patients ont ainsi bénéficié d'une auto-greffe de moelle osseuse destinée à corriger le gène en cause. Cette technique innovante a été saluée en 2009 par les plus grandes revues scientifiques comme « Science » et « Nature ». Ce premier succès, porteur d'espoir pour d'autres maladies, a ouvert la voie à un deuxième essai plus large porté par la biotech américaine Bluebird Bio. L'espoir pour les familles était immense.

En 2021, la détermination d'ELA enfin récompensée !

Les efforts continus d'ELA depuis 30 ans, avec 47 millions d'euros investis, ont boosté la recherche internationale sur les leucodystrophies. Nous étions fiers d'annoncer en juillet 2021 l'autorisation par l'Agence Européenne du Médicament (EMA) de la mise sur le marché d'un premier traitement innovant de l'ALDc : le Skysona développé par le laboratoire Bluebird Bio.

En 2022, coup de massue : le laboratoire quitte l'Europe. Le traitement ne sera pas distribué.

Alors que l'autorisation de mise sur le marché est habituellement l'étape décisive pour la mise à disposition du traitement aux patients, le Skysona n'est toujours pas distribué en Europe. Et cela risque de durer puisque le laboratoire concerné a fermé tous ses bureaux. **Pourquoi ?** À ce jour, nous n'avons aucune explication ni du laboratoire ni de l'Agence du Médicament. **Le prix est-il en cause ?** Ce type de traitement coûte cher, car son développement prend beaucoup de temps (15 ans depuis le premier enfant traité) et les investissements des biotech sont risqués. Mais il ne s'agit pas ici d'un médicament à prendre à vie, une seule prise suffit !

Nous demandons aux autorités de santé et au laboratoire de reprendre au plus vite les négociations pour débloquer la situation et soigner enfin les enfants malades.

Contact Presse : Marion Leleu – 07 85 99 77 86 – marion.leleu@ela-asso.com

Signataires :

Guy ALBA

Fondateur d'ELA – Président d'ELA International

Crystelle COTTART

Présidente d'ELA France

Gaël De MIOMANDRE

Président d'ELA Belgique

Jean-Paul FRIEDRICH

Président d'ELA Luxembourg

Myriam LIENHARD

Présidente d'ELA Suisse

Dr Tobias MENTZEL

Président d'ELA Allemagne

Viviana ROSATI

Présidente d'ELA Italie

Carmen SEVER

Présidente d'ELA Espagne