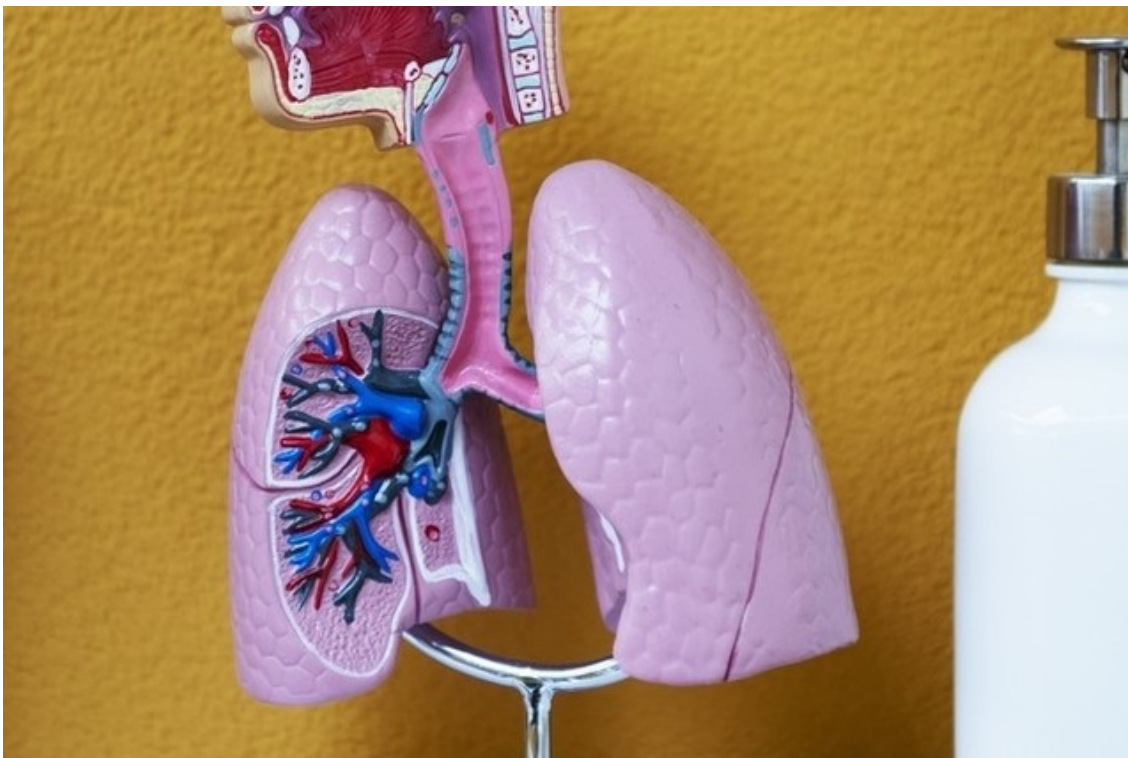


Etats-Unis

Percée dans le traitement de la mucoviscidose

La mucoviscidose est une maladie génétique héréditaire et incurable. Un traitement prometteur a vu le jour aux Etats-Unis.



La mucoviscidose fait sécréter du mucus anormalement épais et visqueux, ce qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif. Image: Photo d'illustration/Keystone

Articles en relation

Trente ans après la découverte du gène causant la mucoviscidose, un nouveau médicament a été approuvé aux Etats-Unis pour les malades âgés d'au moins 12 ans et offrant une efficacité «impressionnante» par rapport à ce qui existait jusqu'à présent.

La mucoviscidose est une maladie génétique rare et héréditaire, et incurable. Elle fait sécréter du mucus anormalement épais et visqueux, ce qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif. Les malades s'essouffent au moindre effort. Les enfants ont la maladie lorsqu'ils héritent de deux copies d'un gène défectueux de leurs deux parents porteurs sains.

Elle était autrefois souvent fatale aux enfants et adolescents, mais l'espérance de vie s'est progressivement allongée grâce aux traitements, jusqu'à plus d'une quarantaine d'années pour les enfants nés récemment, selon la fondation américaine de la mucoviscidose (Cystic Fibrosis Foundation).

Lourds traitements

Les traitements sont lourds pour nettoyer les poumons tous les jours: kinésithérapie respiratoire, séances d'aérosols, médicaments... Beaucoup de malades subissent des infections pulmonaires à cause de l'encombrement des bronches et doivent être hospitalisés. Des greffes de poumons peuvent allonger la durée de vie.

90% des malades devraient pouvoir bénéficier du nouveau traitement, car il cible la mutation génétique la plus répandue, appelée F508del. Au lieu de traiter les symptômes comme ci-dessus, il s'attaque à la cause sous-jacente: il répare la protéine qui ne fait pas son travail à cause de la mutation génétique.

«Bénéfices impressionnants»

Le médicament nouvellement autorisé, fabriqué par les laboratoires Vertex, s'appelle Trikafta et combine trois molécules (elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor). Il a été approuvé par l'agence américaine des médicaments, la Food and Drug Administration (FDA), le 21 octobre sur la base d'essais cliniques publiés jeudi dans les revues médicales New England Journal of Medicine et The Lancet.

Les résultats des essais «documentent des bénéfices impressionnants», a commenté le patron des Instituts nationaux de santé aux Etats-Unis, Francis Collins, qui faisait partie de l'équipe ayant découvert le gène responsable, CFTR, en 1989.

Pas de guérison

Pour une minorité de malades, ce sera même le premier médicament disponible à traiter les causes sous-jacentes de la maladie. Trikafta améliore de 10 à 14% les fonctions pulmonaires des patients, par rapport à un placebo et un traitement existant, respectivement.

«C'est une percée formidable et une grande nouvelle pour les gens atteints de mucoviscidose», a célébré dans un communiqué Preston Campbell, le président de la Cystic Fibrosis Foundation.

La trithérapie représente «un moment historique», a déclaré le docteur Raksha Jain, de l'université du Texas et auteur principal de l'étude parue dans le New England Journal of Medicine. Mais, ajoute Francis Collins dans un éditorial, «le grand jour (...) sera celui où les plus de 70'000 personnes atteintes de mucoviscidose dans le monde n'auront plus besoin de médicaments car une guérison permanente existera pour tout le monde».

Une impasse

Après la découverte du gène, les scientifiques espéraient développer une thérapie génique: c'est-à-dire remplacer le gène défectueux par un gène normal. Mais cette voie reste une impasse, et c'est pour cela que des chercheurs s'attaquent à la protéine dysfonctionnelle, en la faisant... refonctionner. Le premier médicament agissant ainsi sur la cause sous-jacente de la mucoviscidose (ivacaftor) a été autorisé en 2012.

Les patients devront prendre des comprimés tous les jours pour le reste de leur vie. Des essais sont en cours pour tester Trikafta sur les enfants âgés de 6 à 11 ans. Quant à l'Europe, une demande d'autorisation vient d'être déposée auprès de l'Agence européenne des médicaments. (afp/nxp)

Créé: 31.10.2019, 21h37