

Articles d'opinion sur la SLA suite à la Journée des maladies rares 2023

Evy Reviere, Ligue SLA

Enfin de l'espoir pour les personnes atteintes de SLA



La sclérose latérale amyotrophique (SLA) est une maladie progressive mortelle des muscles nerveux dont l'espérance de vie n'est que de 33 mois en moyenne. Au fur et à mesure que le temps passe, la SLA vous paralyse de plus en plus.

Pourtant, les personnes atteintes de SLA gardent espoir. À l'heure actuelle, il n'existe que le riluzole, un médicament à l'activité limitée, mais un quart de siècle après son approbation, deux nouvelles thérapies potentielles sont en cours d'évaluation par l'Agence européenne des médicaments (EMA).

Une amélioration sans précédent de la force musculaire

La première est un "oligonucléotide antisens" qui empêche la protéine SOD1 mutée de se former. Il ne peut être utilisé que chez les patients atteints de SLA (pALS) présentant cette mutation. Elle n'est présente que dans 10% des cas de SLA familiale, soit 2% de la population totale de SLA. Chez certains d'entre eux, une stabilisation et parfois même une amélioration de la force musculaire sont apparues lors de l'essai clinique de phase 3. "Nous n'avions jamais vu cela auparavant dans les études sur la SLA, c'est une étape importante dans la recherche sur la SLA", déclare le professeur Van Damme, chef du centre de référence neuromusculaire de l'UZ Leuven, qui a cosigné cette étude. Evy Reviere, directrice générale de la Ligue contre la SLA, partage cet avis : "Après tout, la SLA est une maladie traitable. En attendant une éventuelle commercialisation sur le

marché européen, l'entreprise accorde déjà un accès précoce à la thérapie, grâce à l'approbation du FAGG dans le cadre de son programme Compassionate Use.

La seconde est un produit à 2 composants qui agit sur 2 composants cellulaires différents, qui sont généralement perturbés dans la SLA. Une étude de phase 2 a montré les premiers signes d'efficacité thérapeutique, qui doivent encore être confirmés par une étude de phase 3 à grande échelle en cours.

Une année passionnante en perspective

Avec l'évaluation des résultats positifs des essais cliniques pour ces deux thérapies potentielles, les balises ont été plantées dans la recherche clinique sur la SLA. En outre, 12 études sur la SLA sont actuellement menées en Belgique.

L'année 2023 sera passionnante, car à partir du milieu de cette année, nous attendons la décision de l'EMA sur la possibilité de commercialiser, sous conditions ou non, ces nouvelles thérapies contre la SLA.

L'approbation de l'EMA ne signifie pas encore que le produit sera dans les pharmacies le lendemain. Chaque état membre de l'UE doit encore donner son accord pour la commercialisation, convenir d'un prix et organiser un éventuel remboursement. Les PALS attendent avec impatience ces nouvelles étapes pour que leurs espoirs deviennent réalité!

Source: **Planet Health - Mediaplanet Belgique**