

Communiqué de presse  
2 mars 2023

## **Généthon obtient le statut de médicament prioritaire PRIME de l'EMA pour sa thérapie génique dans le syndrome de Crigler-Najjar, une maladie rare du foie**

L'Agence Européenne du Médicament (EMA) a accordé le statut PRIME (PRiority Medicines) au produit de thérapie génique GNT-0003 (volrubigene ralaparvovec) actuellement testé dans le cadre d'un essai clinique dans le syndrome de Crigler-Najjar, une maladie rare du foie. Ce statut, uniquement accordé aux candidats-médicaments ayant un potentiel thérapeutique majeur, fait suite aux résultats concluants des premières phases de l'essai.

L'EMA a établi le programme PRIME pour soutenir le développement de médicaments susceptibles de bénéficier aux patients ne bénéficiant pas de traitement, ou d'offrir un avantage thérapeutique majeur par rapport aux traitements existants. Avec ce statut, le développeur du candidat-médicament bénéficie d'un soutien précoce et proactif de l'EMA tout au long du développement clinique, soutien qui permet d'accélérer l'évaluation de celui-ci pour le mettre au plus tôt à la disposition des patients.

Le statut PRIME a été accordé au candidat-médicament GNT-0003 [suite aux résultats prometteurs](#) obtenus dans les premières phases de l'essai européen actuellement en cours, en collaboration avec le consortium CureCN, et dont Généthon, le laboratoire français leader de la thérapie génique pour les maladies rares, est le promoteur. L'essai se déroule dans 3 pays : en France, en Italie et aux Pays-Bas. Le traitement de 5 patients adultes a permis de montrer **la sécurité et la bonne tolérance du produit ainsi qu'un effet-dose ; chez les 3 patients traités à la dose la plus élevée le taux de bilirubine a suffisamment baissé pour arrêter la photothérapie pendant au moins un an**. L'essai est aujourd'hui entré dans sa phase pivot, avec pour objectif de confirmer l'efficacité de cette dose chez des patients supplémentaires dont des enfants.

[Plus d'information sur l'essai clinique](#)

### **LE SYNDROME DE CRIGLER-NAJJAR EN BREF**

*Maladie génétique rare du foie, le syndrome de Crigler-Najjar se caractérise par l'accumulation anormale de bilirubine dans l'organisme. Cet excès de bilirubine est dû au mauvais fonctionnement d'une enzyme chargée de transformer la bilirubine en substance éliminable par l'organisme. Si elle n'est pas traitée rapidement, cette accumulation peut générer d'importants dommages neurologiques et devenir mortelle. Seule la photothérapie contraignant les malades à rester sous des lampes UV jusqu'à 12h par jour, permet de maintenir la bilirubine à un taux inférieur au seuil de toxicité.*

Contacts presse :

Stéphanie Bardon, Marion Delbouis – [presse@afm-telethon.fr](mailto:presse@afm-telethon.fr) – 01.69.47.29.01