



15ème législature

Question N° : 37023	De Mme Huguette Tiegna (La République en Marche - Lot)	Question écrite
Ministère interrogé > Solidarités et santé		Ministère attributaire > Santé et prévention
Rubrique >maladies	Tête d'analyse >Myopathie de Duchenne	Analyse > Myopathie de Duchenne.
Question publiée au JO le : 09/03/2021 Date de changement d'attribution : 21/05/2022 Question retirée le : 21/06/2022 (fin de mandat)		

Texte de la question

Mme Huguette Tiegna interroge M. le ministre des solidarités et de la santé sur les dystrophies musculaires de Duchenne, appelées notamment myopathie de Duchenne. À l'occasion de la journée mondiale des maladies rares, le 28 février 2021, il est important d'évoquer cette maladie. La myopathie de Duchenne est une forme de dystrophie musculaire progressive et qui se généralise au fil des années. Cette maladie héréditaire, à transmission récessive liée au chromosome X, se transmet seulement aux garçons. Ainsi, en France, chaque année 150 nouveau-nés présentent cette maladie et affecte 2 500 personnes, il s'agit de la myopathie la plus répandue chez l'enfant. Cette maladie, souvent méconnue, se manifeste habituellement à partir de trois ans chez le jeune garçon et revêt différents symptômes tels qu'une atrophie des muscles, une faiblesse musculaire progressive des membres et du tronc, puis l'atteinte des muscles respiratoires et cardiaque. Ainsi, jusqu'à présent, les traitements proposés relevaient de l'ordre de palliatif, notamment de la rééducation (massages, kinésithérapie), de la chirurgie en complément, l'appareillage, la ventilation pour faciliter la souplesse de la cage thoracique ou encore des traitements nutritionnels afin d'adapter l'alimentation et la façon de déglutir et de manger. Toutefois, plusieurs essais cliniques sont en cours, notamment la thérapie génique à l'origine du Généthon, laboratoire de l'AFM-téléthon, dédié au développement et à la conception de ces produits. En novembre 2020, ils ont reçu l'autorisation de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) pour démarrer, en France, un essai clinique sur la myopathie de Duchenne. Une centaine de jeunes seront suivis sur une durée de trois mois à trois ans. À ce titre, elle souhaite connaître les modalités de recrutement pour intégrer l'essai clinique et quelle sera la part de financement de l'État eu égard au coût de ce traitement expérimental pour les familles, qui doivent déjà faire face à des dépenses importantes dans le cadre de cette maladie.