



**FIGHTING  
BLINDNESS  
CANADA**

**VAINCRE  
LA CÉCITÉ  
CANADA**

POUR DIFFUSION IMMÉDIATE

**15 Octobre 2020**

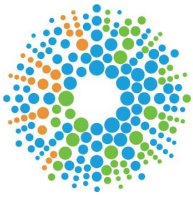
## **UN BRILLANT AVENIR : SANTÉ CANADA APPROUVE LA PREMIÈRE THÉRAPIE GÉNIQUE DE RESTAURATION VISUELLE POUR LES MALADIES OCULAIRES HÉRÉDITAIRES**

**Toronto, 15 Octobre 2020** – Le 14 Octobre 2020, Santé Canada a annoncé l’approbation du voretigene neparvovec (désignation commerciale : Luxturna), premier traitement novateur de restauration visuelle. Il s’agit de la première thérapie génique ciblée autorisée au Canada pour une maladie. Ce traitement s’adresse précisément aux personnes atteintes de rétinite pigmentaire ou d’amaurose congénitale de Leber, maladies oculaires héréditaires provoquant une perte de vision et la cécité en raison de mutations du gène RPE65.

« L’approbation de ce traitement révolutionnaire mis au point par la recherche va changer des vies au Canada. Pour la première fois, nous pouvons proposer un traitement et redonner espoir aux familles et à toutes les personnes touchées par des mutations génétiques entraînant la cécité, déclare Doug Earle, président et chef de la direction de [Vaincre la cécité Canada](https://www.vaincrelacecite.ca). Une étude sur les effets socioéconomiques des maladies oculaires héréditaires publiée le 8 octobre 2020 a estimé le coût de celles-ci à 1,6 milliard \$. Plus de 80 % de cette somme est assumée par les familles. Grâce à ce traitement, la recherche redonne aujourd’hui espoir à celles-ci. »

Des familles comme les Gandhi attendent l’approbation de ce traitement depuis des années. Mère de Zara, 10 ans, qui souffre de cécité depuis sa naissance en raison de l’amaurose congénitale de Leber associée à une mutation du gène RPE65, Sophia Gandhi affirme : « On a diagnostiqué à Zara une cécité à l’âge de 6 mois. Notre famille a vécu des moments difficiles, nous n’avions personne vers qui nous tourner. Zara était suivie par de très bons médecins, mais il n’existait aucun traitement susceptible d’améliorer sa vision limitée. Lorsque nous avons entendu parler de Luxturna il y a de nombreuses années, nous savions qu’il finirait par être offert au Canada. Ce n’était qu’une question de temps. Le moment est enfin arrivé, et la vie de Zara pourrait en être transformée. »

Selon la D<sup>re</sup> Elise Héon, clinicienne-chercheuse dans le domaine de la génétique oculaire à l’Hôpital des enfants malades de Toronto, qui suit Zara : « L’approbation de Luxturna est à marquer d’une pierre blanche et constitue une étape importante vers le traitement des maladies oculaires héréditaires entraînant la cécité. Jusqu’ici, des patients comme Zara ne pouvaient compter sur aucun traitement, et la progression de leur maladie vers la cécité totale était inévitable. La perspective d’un traitement ponctuel capable d’améliorer ou de restaurer la vision, en particulier la vision nocturne, est une nouvelle source d’espoir pour les familles. »



**FIGHTING  
BLINDNESS  
CANADA**

**VAINCRE  
LA CÉCITÉ  
CANADA**

L'Hôpital des enfants malades fera partie des établissements qui proposeront ce traitement au Canada.

Si ce traitement a été approuvé par Santé Canada, les familles attendent impatiemment les recommandations, prévues plus tard cet automne, de l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (CADTH) et de l'Institut national d'excellence en santé et services sociaux (INESSS) en ce qui concerne la prise en charge du traitement dans le cadre des programmes provinciaux de prestations pharmaceutiques.

M. Earle ajoute : « Les personnes atteintes d'une perte de vision associée à une mutation du gène RPE65 disposent pour la première fois dans l'histoire d'une possibilité d'améliorer leur vision. Les gouvernements provinciaux doivent désormais se prononcer. L'approbation du traitement par Santé Canada restera lettre morte si les familles canadiennes ne peuvent y avoir accès. Nous appelons les provinces à financer ce traitement révolutionnaire pour les familles canadiennes qui en ont besoin. »

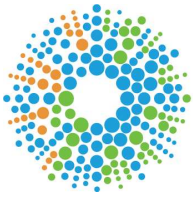
« Vaincre la cécité Canada presse tous les spécialistes de la santé oculaire d'encourager leurs patients et leur famille à continuer de soutenir la science en se soumettant à un dépistage génétique. Celui-ci déterminera s'ils peuvent être traités à brève échéance et contribuera à la recherche sur toutes les maladies oculaires héréditaires provoquant la cécité, précise Doug Earle. Je vous invite à consulter le site de [Vaincre la cécité Canada](http://Vaincre la cécité Canada), où vous trouverez un guide détaillé de la procédure de dépistage génétique dans votre province. »

Pour obtenir d'autres renseignements sur le nouveau traitement de thérapie génique Luxturna ou les examens génétiques, ou pour vous inscrire au [Registre de patients](http://Registre de patients) de Vaincre la cécité Canada, merci d'écrire à [healthinfo@fightingblindness.ca](mailto:healthinfo@fightingblindness.ca) ou de téléphoner au 1 888 626-2995.

-30-

## **À PROPOS DU VORETIGENE NEPARVOVEC**

Le voretigene neparvovec (désignation commerciale : Luxturna) est la première thérapie génique ciblée approuvée au Canada. Ce traitement est destiné aux personnes porteuses d'une dystrophie rétinienne causée par une mutation biallélique du gène RPE65 entraînant la perte de vision et pouvant causer la cécité totale. Le gène RPE65 est responsable de la production d'une enzyme (une substance protéinique qui facilite les réactions biochimiques) essentielle à une acuité visuelle normale. Des mutations du gène RPE65 conduisent à des défaillances dans son activité, lesquelles entravent le cycle visuel et se traduisent par des troubles de la vision. Les



**FIGHTING  
BLINDNESS  
CANADA**

**VAINCRE  
LA CÉCITÉ  
CANADA**

personnes atteintes d'une dystrophie rétinienne causée par une mutation biallélique du gène RPE65 connaissent une détérioration progressive de leur vision au fil du temps.

Le vecteur ne parvovirus fournit une copie normale du gène RPE65 aux cellules rétinienne à l'aide d'un virus de la famille des adénovirus qui a été modifié à cette fin. Ces cellules rétinienne produisent ensuite la protéine normale qui convertit la lumière en signal électrique dans la rétine afin de restaurer la perte de vision.

### **À PROPOS DE VAINCRE LA CÉCITÉ CANADA**

Vaincre la cécité Canada (VCC) est le premier bailleur de fonds privé de la recherche en santé de la vision au Canada. La recherche étant au cœur de ses priorités, VCC a investi plus de 40 millions de dollars dans des traitements permettant de rétablir la vue et de soigner les maladies oculaires causant la cécité. Grâce au soutien de ses généreux donateurs, VCC a pu financer quelque 200 recherches dans les domaines de la biologie et de la santé oculaires, dont des recherches précliniques et cliniques essentielles, conçues pour mettre à la portée des patients les traitements émergents.

### **Contacts pour les médias**

**Jackie Rosen**, adjointe de direction  
416-360-4200, poste 246  
[jrosen@fightingblindness.ca](mailto:jrosen@fightingblindness.ca)

**Fay Knights**, directrice, Communications  
1-800-461-3331, poste 255  
[fknight@fightingblindness.ca](mailto:fknight@fightingblindness.ca)