

Hémophilie : le CHU de Nantes, premier centre en Europe à déployer un traitement par thérapie génique dans le cadre du soin

Une avancée médicale majeure vient d'être franchie dans le traitement de l'hémophilie. Le CHU de Nantes a déployé un nouveau traitement innovant offrant une prise en charge améliorée aux patients atteints de cette maladie hémorragique rare.

Le traitement HEMGENIX a récemment obtenu l'autorisation de mise sur le marché (AMM) en Europe et en France. Il s'agit d'une thérapie génique administrée par injection intraveineuse. Cette autorisation fait suite à des essais cliniques désormais terminés, ayant démontré son efficacité. Actuellement, HEMGENIX n'est pas encore définitivement commercialisé car son tarif n'a pas été fixé, mais son coût initial a été estimé à 2,8 millions d'euros par patient.

L'hémophilie sévère, qui se caractérise par un déficit total en un facteur de coagulation, impose aux patients un suivi médical rigoureux et des traitements intraveineux souvent contraignants débuté dès la petite enfance et maintenus tout au long de la vie. Malgré ce traitement les risques hémorragiques peuvent persister. **Grâce à cette nouvelle thérapie, développée après plusieurs années de recherche, il est désormais possible de faire synthétiser le facteur de coagulation qui lui manque (en particulier le facteur IX pour ce qui concerne HEMGENIX) par le foie du patient et ainsi d'améliorer significativement la qualité de vie des patients.**

A ce jour, le Centre d'Hémostase Clinique du CHU de Nantes, fait partie des cinq centres autorisés à administrer ce traitement en France. **L'été 2024 a marqué une étape historique : le premier patient européen à recevoir HEMGENIX hors essais cliniques a été pris en charge au CHU de Nantes.** Depuis, en France, 2 autres patients ont bénéficié de cette innovation médicale (1 second à Nantes et 1 à Paris). Conformément à ce qui avait été observé dans les essais cliniques et plus de 6 mois après le traitement par HEMGENIX, ces 3 patients ne nécessitent désormais plus d'injections préventives et systématiques pour traiter leur hémophilie, sans présenter de saignements anormaux.

Le Centre d'Hémostase Clinique de Nantes assure également la coordination de la phase 4 de ce traitement, qui vise à suivre à long terme les patients traités après l'AMM* afin d'identifier d'éventuels effets secondaires graves ou inattendus.

Cette innovation ouvre de nouvelles perspectives pour les patients et leurs familles en réduisant les contraintes liées aux injections fréquentes et aux hospitalisations.

A propos du CHU : Au cœur de la Métropole Nantaise, le CHU de Nantes compte près de 13 000 collaborateurs qui contribuent au rayonnement des valeurs du service public hospitalier : égalité, continuité, neutralité et adaptabilité. Avec ses neuf établissements, le CHU de Nantes constitue un pôle d'excellence, de recours et de référence aux plans régional et interrégional tout en délivrant des soins courants et de proximité aux 800 000 habitants de la métropole Nantes/Saint-Nazaire. Situé sur la rive sud de la Loire, un nouvel hôpital verra le jour en 2027. Plus grand projet hospitalier actuellement conduit en France, il sera le socle du futur quartier de la santé, un projet de dimension européenne. Avec 1 417 lits et 296* places ainsi qu'une augmentation de lits en soins critiques (10%), le nouvel hôpital proposera 64% de séjours en ambulatoire dans un environnement plus moderne, connecté, écologique et confortable, tant pour les patients que les professionnels.

*activités de court séjour réparties sur les sites Ile de Nantes et Hôpital Nord Laennec

Contact Presse

Zakaria Gambert

zakaria.gambert@chu-nantes.fr

07 77 25 95 47