



# ASSEMBLÉE NATIONALE

## 13ème législature

### maladies rares

Question écrite n° 94160

#### Texte de la question

M. Jean-Christophe Cambadélis interroge Mme la secrétaire d'État auprès du ministre du travail, de l'emploi et de la santé, chargée de la santé, sur une maladie : la drépanocytose, la première maladie génétique dans le monde. Un « plan drépanocytose » a bien été déclaré, plusieurs mesures ont bien été mises en oeuvre (mise en place d'un réseau de télémédecine, extension du dépistage néonatal en métropole, labellisation de nouveaux centres de compétence en Île de France, création d'une base de données spécifique, etc.) mais l'accent doit désormais être mis sur la recherche qui permettrait de trouver un traitement. Une molécule fait déjà l'objet d'une commercialisation au Royaume-Uni et en Grèce ; en France, on lui reproche son coût. Ce coût pourrait toutefois générer des économies de prise en charge dans un pays économiquement développé comme la France si le médicament en question pouvait se substituer à ceux qui existent mais qui sont aussi connus pour leur toxicité et ne sont pas recommandés pour la pédiatrie. Aussi, il lui demande quelles mesures elle compte prendre pour se pencher sur le problème et offrir enfin aux malades un traitement satisfaisant et permettre au « plan drépanocytose » de ne pas s'arrêter au milieu du gué.

#### Texte de la réponse

La drépanocytose est une maladie génétique de l'hémoglobine très fréquente dans les populations d'origine africaine subsaharienne. Elle se caractérise par des formes majeures (qui se traduisent par une anémie sévère, des infections graves et des crises vaso-occlusives douloureuses) et des formes mineures (les plus fréquentes), où les patients n'ont qu'exceptionnellement des manifestations cliniques. La spécialité SIKLOS<sup>PIRT</sup> 1 000 mg, comprimé pelliculé sécable, est un médicament orphelin indiqué dans la prévention des crises vaso-occlusives douloureuses récurrentes, y compris celle du syndrome thoracique aigu, chez l'enfant et l'adulte souffrant de drépanocytose symptomatique. Cette spécialité a été autorisée au niveau communautaire. Pour autant, cette spécialité n'est pas commercialisée sur le marché français en raison des difficultés liées à la prise en charge de cette dernière par l'assurance maladie, et notamment du fait de la commercialisation par le laboratoire Bristol-Myers Squibb depuis 1969 d'une autre spécialité pharmaceutique dénommée HYDREA<sup>PIRT</sup> 500 mg, gélule contenant la même substance active. En effet, même si cette spécialité est indiquée dans le traitement d'autres affections hématologiques (leucémies myéloïdes chroniques ; polyglobulie primitive ; thrombocytemie essentielle ; splénomégalie myéloïde ; myélofibroses), il n'en demeure pas moins que, dans la mesure où aucun autre traitement autorisé n'était disponible, cette dernière était utilisée de longue date dans le cadre d'une prescription hors autorisation de mise sur le marché (AMM) chez les patients atteints de drépanocytose. À ce titre, la Haute Autorité de santé (HAS) a recommandé, en septembre 2005, l'utilisation de la spécialité HYDREA<sup>PIRT</sup> pour la « prise en charge de la drépanocytose chez l'enfant et l'adolescent », notamment dans les formes graves de drépanocytose, après la survenue de plus de trois crises vaso-occlusives ayant nécessité une hospitalisation, ou hyperalgique. En 2007, la commission de la transparence (instance chargée de l'appréciation de la place d'un produit dans l'arsenal thérapeutique et plus particulièrement de l'évaluation de l'amélioration du service médical rendu [ASMR] offerte par un nouveau médicament en vue de déterminer son taux de remboursement par la sécurité sociale) placée auprès de la HAS a considéré que la spécialité SIKLOS<sup>PIRT</sup> dans le traitement de la

drépanocytose était important, mais que l'amélioration du service médical rendu était mineure, fixant ainsi un ASMR de niveau IV (faible taux de prise en charge) du fait de l'utilisation hors AMM de la spécialité HYDREA\$PIRT depuis plus de dix ans dans cette indication. C'est la raison pour laquelle le laboratoire Addmedica, titulaire de la spécialité SIKLOS\$PIRT, n'a alors pas souhaité commercialiser son produit en France. Par ailleurs, il importe de préciser que cette spécialité ne fait pas l'objet d'une forme pédiatrique adaptée aux enfants, population la plus touchée par la drépanocytose. En l'absence de forme pédiatrique adaptée, des préparations hospitalières dosées à 125 mg et 250 mg d'hydroxycarbamide par déconditionnement de la spécialité pharmaceutique HYDREA\$PIRT sont réalisées par les pharmacies à usage intérieur (PUI) des hôpitaux. Aussi, compte tenu du besoin d'une forme plus adaptée à l'enfant, le laboratoire Addmedica s'est engagé lors de l'octroi de son AMM à développer une autre forme pharmaceutique (comprimé de 100 mg) plus adaptée au petit enfant, qui fait actuellement l'objet d'une demande d'AMM en application de la procédure centralisée. Pour information, le comité du médicament à usage humain (CHMP) de l'Agence européenne du médicament vient d'accorder un avis favorable à cette spécialité dans les mêmes indications que celles de la spécialité SIKLOS\$PIRT 1 000 mg. L'AMM centralisée devrait donc être prochainement octroyée par la Commission européenne. Sur ce point, il peut également être précisé que, dès le 31 juillet 2007, certains patients ont pu d'ores et déjà disposer en France de cette spécialité, sous le régime de l'autorisation temporaire d'utilisation (ATU) nominative prévue à l'article L. 5121-12 du code de la santé publique. L'ATU nominative est délivrée à la demande et sous la responsabilité du médecin prescripteur pour un malade nommément désigné, dès lors que le médicament - qui ne bénéficie pas d'une AMM - est susceptible de présenter un bénéfice pour le patient et que son efficacité et sa sécurité sont présumées en l'état des connaissances scientifiques. Dans ce contexte, trente et un enfants ont déjà pu bénéficier de ce traitement. Enfin, il importe de souligner que des essais cliniques sur le traitement symptomatique des douleurs liées à la drépanocytose sont actuellement en cours, dont plusieurs molécules ont obtenu la désignation de médicament orphelin dans le traitement de la drépanocytose, par la Commission européenne, en vue notamment de faire l'objet d'un développement pharmaceutique ultérieur au niveau tant national qu'euro péen. À cet égard, il y a lieu de rappeler que les autorités françaises sont particulièrement attentives au développement de ces médicaments orphelins et le seront à toute évolution sur ce point, notamment en matière de recherche clinique.

## Données clés

**Auteur :** [M. Jean-Christophe Cambadélis](#)

**Circonscription :** Paris (20<sup>e</sup> circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 94160

**Rubrique :** Santé

**Ministère interrogé :** Santé

**Ministère attributaire :** Santé

## Date(s) clé(s)

**Question publiée le :** 23 novembre 2010, page 12635

**Réponse publiée le :** 22 février 2011, page 1844