



# ASSEMBLÉE NATIONALE

## 15ème législature

### Maladies rares: pour un meilleur accès aux soins

Question écrite n° 1197

#### Texte de la question

Mme Laurence Trastour-Isnart appelle l'attention de Mme la ministre des solidarités et de la santé sur la situation des malades atteints du myélome multiple, cancer de la moelle osseuse à l'issue très souvent fatale. Eu égard aux éléments d'information portés à sa connaissance, cette maladie rare touche 5 000 nouvelles personnes par an et 30 000 en sont affectées à ce jour en France. De nouveaux traitements, véritables innovations thérapeutiques, ont été récemment mis au point et ont reçu des autorisations de mise sur le marché en Europe ; autorisations délivrées par l'Agence européenne du médicament. Or lesdits traitements, qui suscitent beaucoup d'espoir chez les patients, ne leur sont pas, à ce jour, accessibles. À titre d'exemple, le carilzomid, n'est toujours pas disponible. Aussi, de nombreuses associations de malades se sont à juste titre émues de cette dramatique situation. En conséquence, elle la remercie de bien vouloir lui indiquer les mesures que le Gouvernement envisage de prendre afin de pallier une situation très préoccupante.

#### Texte de la réponse

Le myélome multiple est une hémopathie maligne d'évolution progressive alternant rémissions et rechutes. Malgré les progrès dans la prise en charge des patients souffrant de myélome multiple, cette hémopathie maligne reste à ce jour incurable avec une médiane de survie de 5 à 7 ans. La stratégie thérapeutique alterne différentes thérapies pour repousser la rechute, sans qu'il existe de traitement standard. Les traitements reposent sur des associations entre les différents médicaments disponibles à une corticothérapie voire une chimiothérapie. Ces traitements sont généralement poursuivis jusqu'à progression de la maladie ou toxicité. La possibilité de traiter le patient par une nouvelle alternative thérapeutique est alors évaluée. Quatre nouveaux produits ont demandé leur remboursement en France (panobinostat, ixazomib, carfilzomib, daratumumab), d'autres produits plus anciens ont demandé leur remboursement dans de nouvelles indications relatives au myélome. Leurs prix sont actuellement en cours de négociations entre le comité des produits de santé (CEPS) et les différents laboratoires. Elles sont plus ou moins avancées selon les produits. Tous ces dossiers sont suivis de façon très attentive par les services du ministère chargé de la santé.

#### Données clés

**Auteur :** [Mme Laurence Trastour-Isnart](#)

**Circonscription :** Alpes-Maritimes (6<sup>e</sup> circonscription) - Les Républicains

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 1197

**Rubrique :** Pharmacie et médicaments

**Ministère interrogé :** [Solidarités et santé](#)

**Ministère attributaire :** [Solidarités et santé](#)

#### Date(s) clé(s)

**Question publiée au JO le :** [19 septembre 2017](#), page 4434

**Réponse publiée au JO le :** [24 octobre 2017](#), page 5170