



# ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

## Maladies orphelines

Question écrite n° 1221

### Texte de la question

M. Jean-Michel Mis attire l'attention de Mme la ministre des solidarités et de la santé sur la problématique d'absence de prise en charge d'un médicament prescrit aux enfants atteints de maladies orphelines. En effet, les maladies orphelines touchent plus de 25 millions de personnes en Europe et 3 à 4 millions de personnes en France. Selon la CPAM de la Loire, le médicament Jakavi s'avère indispensable dans le traitement de la maladie orpheline afin de retarder l'aggravation de la maladie et d'augmenter l'espérance de vie des enfants. Cependant, le coût de ce traitement n'est pas pris en charge par la sécurité sociale et n'est donc pas remboursé. À ce jour, le médicament Jakavi ne bénéficie pas d'autorisation de mise sur le marché. C'est pourquoi il lui demande si le Gouvernement envisage de permettre la prise en charge par l'assurance maladie de ce médicament prescrit aux enfants atteints de maladies orphelines.

### Texte de la réponse

Les spécialités Jakavi, sous différents dosages, ont fait l'objet d'autorisations de mise sur le marché (AMM) délivrées au laboratoire Novartis Europharm par la commission européenne, au terme d'une évaluation menée par l'agence européenne des médicaments (EMA), en 2012 et en 2014. Elles sont commercialisées en France depuis 2014 et 2016, selon le dosage concerné et sont à ce jour autorisées pour le traitement de la myélofibrose et pour le traitement de la maladie de Vaquez (polycythémie vraie). Du fait de leurs caractéristiques et dans l'intérêt des patients, elles font l'objet, en France, de conditions de prescription et de délivrance restreintes. Leur prescription est réservée aux médecins hospitaliers spécialistes en hématologie, et nécessitent une surveillance particulière pendant le traitement. Dans ce contexte, l'agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) n'a pas compétence pour modifier les indications thérapeutiques d'un médicament disposant d'une AMM délivrée par la commission européenne. Toutefois, le comité pédiatrique de l'EMA, compte tenu d'une activité possible des spécialités Jakavi sur des désordres inflammatoires et immunologiques, a récemment demandé au laboratoire de mener des recherches cliniques dans la maladie du greffon contre l'hôte (GvHD) dans la population pédiatrique, à partir de l'âge d'un mois. Pour les autres pathologies d'ordre inflammatoire, la rareté des affections ne permet pas, en revanche, de contraindre le laboratoire à conduire des études cliniques en vue d'une extension d'indication. Sur la base des dispositions de l'article L.5121-12-1 du code de la santé publique, une spécialité pharmaceutique peut faire l'objet d'une prescription non conforme à son AMM, en l'absence de spécialité de même principe actif, de même dosage, et de même forme pharmaceutique disposant d'une AMM dans l'indication ou les conditions d'utilisation considérées. Dans ce cas, une recommandation temporaire d'utilisation établie par l'ANSM doit sécuriser l'utilisation de cette spécialité dans cette indication ou ces conditions d'utilisation et le prescripteur doit préciser le caractère indispensable du recours à cette spécialité pour améliorer ou stabiliser l'état clinique de son patient. En ce qui concerne les maladies orphelines extrêmement rares pour lesquelles des données cliniques nécessaires à une AMM pourraient être difficiles à collecter, une recommandation sur le service médical rendu au travers d'un protocole national de diagnostic et de soin (PNDS), s'il existe pour la pathologie concernée, pourrait répondre à cette problématique. L'objectif d'un PNDS est, en effet, d'explicitier aux professionnels concernés la prise en charge

diagnostique et thérapeutique optimale actuelle et le parcours de soins d'un patient atteint d'une maladie rare donnée. Il a pour but d'optimiser et d'harmoniser la prise en charge et le suivi de la maladie rare sur l'ensemble du territoire. Une fois finalisé, le PNDS élaboré par le centre de référence de la maladie rare concernée est mis en ligne sur le site de la Haute Autorité de santé.

## Données clés

**Auteur :** [M. Jean-Michel Mis](#)

**Circonscription :** Loire (2<sup>e</sup> circonscription) - La République en Marche

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 1221

**Rubrique :** Santé

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

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

## Date(s) clé(s)

**Date de signalement :** Question signalée au Gouvernement le 29 janvier 2018

**Question publiée au JO le :** [19 septembre 2017](#), page 4439

**Réponse publiée au JO le :** [13 février 2018](#), page 1218