



ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

Prise en charge des personnes atteintes de mucoviscidose

Question écrite n° 33603

Texte de la question

Mme Marie Tamarelle-Verhaeghe attire l'attention de M. le ministre des solidarités et de la santé sur la mise sur le marché du traitement en trithérapie de lutte contre la mucoviscidose kaftrio trikafta. La mucoviscidose est une maladie génétique rare, héréditaire et incurable qui fait sécréter du mucus anormalement épais et visqueux, obstruant les voies respiratoires et le système digestif. La durée de vie moyenne observée chez les malades atteints est d'une quarantaine d'années. Alors qu'il n'existe à ce jour aucun traitement aux résultats satisfaisants, le kaftrio trikafta suscite beaucoup d'espoirs chez les patients et au sein de la communauté médicale. Il permettrait d'augmenter la capacité pulmonaire de l'ordre de 10 % à 20 %, ce qui représente une amélioration considérable pour les personnes atteintes de mucoviscidose. Pour l'heure, ce traitement n'est pas encore disponible sur le marché français. Le kaftrio trikafta a été approuvé par l'agence américaine des médicaments, la « *food and drug administration* », le 21 octobre 2019 sur la base d'essais cliniques. Le comité des médicaments à usage humain de l'Agence européenne des médicaments a émis un avis positif le 25 juin 2020 dans le cadre de la commercialisation de la trithérapie kaftrio, puis le 21 août 2020 la Commission européenne a autorisé définitivement la commercialisation du médicament sur le marché européen. En marge de ces autorisations, un accord sur un dispositif d'accès (autorisation temporaire d'utilisation nominative) avait été mis en place en France dès octobre 2019. Il a permis aux patients les plus sévèrement atteints d'en bénéficier avant même l'autorisation de mise sur le marché par l'agence européenne. Ce dispositif a pu bénéficier à 200 patients. Pour que le kaftrio soit effectivement accessible à tous les patients français, deux étapes essentielles doivent encore être franchies : son évaluation par la commission de transparence de la Haute autorité de santé (HAS), puis la fixation du prix du médicament par le Comité économique des produits de santé (CEPS), en accord avec le laboratoire fabricant, pour être pris en charge par la sécurité sociale. Or l'établissement d'un tel accord prend en moyenne plusieurs mois, voire plusieurs années, même si la HAS a attribué au kaftrio le statut de « médicament présumé innovant » permettant d'accélérer le processus. Compte tenu des résultats extrêmement prometteurs observés pour ce traitement et de l'attente qu'ils suscitent chez les personnes atteintes de mucoviscidose, Mme la députée souhaiterait savoir quels sont les délais estimés avant la mise sur le marché du médicament kaftrio. Elle souhaiterait également savoir si, dans le cas où ces négociations devaient se prolonger, un élargissement du dispositif d'autorisation temporaire d'utilisation nominative était envisagé pour permettre aux personnes les plus sévèrement touchées d'en bénéficier.

Texte de la réponse

La Haute autorité de santé a octroyé une amélioration du service rendu de niveau II pour deux spécialités pharmaceutiques Kaftrio et Symkevi concernant la prise en charge thérapeutique de la mucoviscidose pour l'ensemble des patients âgés de 12 ans et plus. Les essais cliniques ont démontré un gain supplémentaire d'efficacité et de qualité de vie pour les patients. Le Comité économique des produits de santé a négocié un accord avec le laboratoire Vertex permettant la commercialisation en France de ces deux spécialités pharmaceutiques, avec une prise en charge à 100 % par l'assurance maladie. Ainsi, les patients atteints de mucoviscidose vont pouvoir bénéficier de traitements innovants et efficaces. Ces nouveaux traitements seront

disponibles très rapidement dans les officines de pharmacie et pris en charge par l'assurance maladie.

Données clés

Auteur : [Mme Marie Tamarelle-Verhaeghe](#)

Circonscription : Eure (3^e circonscription) - La République en Marche

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 33603

Rubrique : Pharmacie et médicaments

Ministère interrogé : [Solidarités et santé](#)

Ministère attributaire : [Solidarités et santé](#)

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [3 novembre 2020](#), page 7682

Réponse publiée au JO le : [13 juillet 2021](#), page 5594