



ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

Traitement contre la mucoviscidose

Question écrite n° 34233

Texte de la question

M. Jean-Luc Lagleize interroge M. le ministre des solidarités et de la santé sur les intentions du Gouvernement pour améliorer l'accessibilité des traitements pour les patients atteints de mucoviscidose. La mucoviscidose est une des maladies génétiques potentiellement graves les plus fréquentes en France et dans les pays occidentaux. Elle touche surtout les fonctions digestives et respiratoires. Ses symptômes invalidants et les complications infectieuses et fonctionnelles qui en découlent impactent l'espérance de vie des patients. En France, 200 enfants naissent chaque année avec la mucoviscidose, soit en moyenne 1 sur 4 500 nouveau-nés, avec une forte disparité régionale due aux socles génétiques locaux. La France compterait 6 000 patients au total. Aujourd'hui, grâce aux progrès de la recherche et à l'amélioration de la prise en charge de cette maladie, l'espérance de vie moyenne d'un patient est approximativement de 40 ans, alors qu'elle n'était que de 5 ans dans les années 1960. Il est probable que les enfants malades nés ces dernières années voient leur espérance de vie encore améliorée, *a fortiori* si de nouveaux traitements font prochainement leur apparition. À cet égard, il y a un an environ, l'Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux a autorisé un nouveau traitement, le kaftrio trikafta, dont les résultats semblent extrêmement encourageants, notamment pour les patients en fin de vie. En août 2020, l'Agence européenne des médicaments a donné son feu vert pour la commercialisation de ce médicament dans l'Union européenne et une autorisation temporaire d'utilisation nominative (ATUN) a été mise en place en France par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM), permettant à environ 200 patients parmi les plus sévères de bénéficier de ce traitement, avant l'autorisation de mise sur le marché (AMM). Il l'interroge donc sur le calendrier prévisionnel de l'autorisation de mise sur le marché pour ce traitement et sur les intentions du Gouvernement pour améliorer l'accessibilité des traitements pour les patients atteints de mucoviscidose.

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 : [M. Jean-Luc Lagleize](#)

Circonscription : Haute-Garonne (2^e circonscription) - Mouvement Démocrate (MoDem) et Démocrates apparentés

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 34233

Rubrique : Pharmacie et médicaments

Ministère interrogé : [Solidarités et santé](#)

Ministère attributaire : [Solidarités et santé](#)

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [24 novembre 2020](#), page 8340

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