



# ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

## Essais cliniques et lutte contre la mucoviscidose

Question écrite n° 5984

### Texte de la question

M. Éric Diard alerte Mme la ministre des solidarités et de la santé sur l'annulation des essais cliniques contre la mucoviscidose en France. La mucoviscidose touche actuellement près de 7 000 personnes en France, et l'annonce d'essais cliniques de phase 3 par le laboratoire Vertex pour son dernier traitement contre cette maladie a été accueillie comme un nouvel espoir par toutes les personnes qui en sont atteintes, car ce médicament de dernière génération permet de traiter plus efficacement un plus grand nombre de patients. Pourtant, le 1er février 2018, la direction de l'entreprise a annulé ces essais cliniques pour la France, alors qu'ils auront bien lieu aux États-Unis, et ailleurs en Europe, en raison d'une mésentente avec les autorités sur le prix de commercialisation du traitement de deuxième génération en France. Il voudrait savoir ce qu'elle compte entreprendre pour permettre aux patients français d'accéder aux essais cliniques dont il est question avant de pouvoir être traités par ce nouveau médicament, et quelles actions elle compte mener pour accroître la lutte contre la mucoviscidose.

### Texte de la réponse

S'agissant de l'annulation des essais cliniques annoncée par le laboratoire Vertex Pharmaceuticals pour sa spécialité Orkambi, les discussions avec le laboratoire ont abouti à ce que celui-ci s'excuse et regrette ces annulations. Les inclusions dans les essais cliniques de patients ont depuis repris dans les essais pour lesquels ces phases étaient encore ouvertes. Concernant la mise à disposition de la spécialité Orkambi pour les patients souffrant de mucoviscidose, le système d'accès au marché français a permis la mise à disposition de ce médicament pour les patients âgés de 12 ans et plus, depuis décembre 2015 au travers des dispositifs d'accès précoce d'autorisation temporaire d'utilisation (ATU) et post-ATU. Ces dispositifs ont ainsi permis de garantir un accès précoce et continu. Les différentes extensions d'indications d'Orkambi ne font pas, à ce jour, l'objet de prise en charge ; le laboratoire Vertex Pharmaceuticals n'ayant pas déposé de demande de prise en charge précoce et dérogatoire prévue par la loi de financement de la sécurité sociale pour 2019. Enfin, même si les négociations de prix entre le laboratoire et le Comité économique des produits de santé (CEPS) ont débuté il y a plusieurs mois et sont compliquées, un accord est encore possible, grâce notamment à des échanges réguliers entre le CEPS et le laboratoire.

### Données clés

**Auteur :** [M. Éric Diard](#)

**Circonscription :** Bouches-du-Rhône (12<sup>e</sup> circonscription) - Les Républicains

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 5984

**Rubrique :** Santé

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

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

Date(s) clé(s)

**Question publiée au JO le :** [27 février 2018](#), page 1603

**Réponse publiée au JO le :** [5 novembre 2019](#), page 9793