



ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

Accompagnement de la lutte contre la mucoviscidose

Question écrite n° 7505

Texte de la question

Mme Laurence Gayte alerte Mme la ministre des solidarités et de la santé sur l'annulation des essais cliniques concernant la lutte contre la mucoviscidose. Des essais cliniques prévus en France d'un médicament contre la mucoviscidose ont été annulés par le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals. Ces annulations auront pour conséquences de retarder, si les résultats sont concluants, la mise à disposition de ces médicaments pour les Françaises et Français souffrant de cette maladie. Ces annulations auraient pour cause, selon la direction américaine de Vertex Pharmaceuticals, l'impossibilité de trouver avec l'État une entente sur le prix d'un précédent traitement, à savoir l'orkmabi. Pour les milliers de malades qui plaçaient de véritables espoirs dans ces tests c'est une véritable prise en otage. Ainsi, elle souhaite l'alerter sur l'importance de trouver une solution pour permettre aux victimes de cette maladie de bénéficier des dernières avancées médicales.

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 : [Mme Laurence Gayte](#)

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

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 7505

Rubrique : Maladies

Ministère interrogé : [Solidarités et santé](#)

Ministère attributaire : [Solidarités et santé](#)

Date(s) clé(s)

Date de signalement : Question signalée au Gouvernement le 21 octobre 2019

Question publiée au JO le : [17 avril 2018](#), page 3175

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