



# ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

## Essais cliniques et lutte contre la mucoviscidose

Question écrite n° 8211

### Texte de la question

M. Guillaume Garot interroge Mme la ministre des solidarités et de la santé sur les négociations autour des essais cliniques de lutte contre la mucoviscidose, entre le laboratoire Vertex Pharmaceuticals et les autorités sanitaires françaises. Il apparaît en effet que ce laboratoire américain ait arrêté ses essais cliniques qui semblaient pourtant plutôt prometteurs. Ces essais apportaient un véritable espoir aux patients car l'objectif, à terme, était d'éviter une médication à vie. Cet arrêt des essais serait dû à un désaccord entre le groupe Vertex et les pouvoirs publics sur le tarif d'un médicament. Aussi, il l'interroge sur les mesures que le Gouvernement souhaite engager pour résoudre ce conflit et permettre à la lutte contre la mucoviscidose d'avancer.

### 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. Guillaume Garot](#)

**Circonscription :** Mayenne (1<sup>re</sup> circonscription) - Nouvelle Gauche

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 8211

**Rubrique :** Santé

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

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

### Date(s) clé(s)

**Question publiée au JO le :** [8 mai 2018](#), page 3851

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