ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

Situation intolérable pour les patients atteints de Mucoviscidose en France

Question écrite n° 8984

Texte de la question

M. Louis Aliot interroge Mme la ministre des solidarités et de la santé sur la situation intolérable pour les patients atteints de mucoviscidose en France (environ 7000 personnes, maladie génétique la plus fréquente de l'enfance et toujours incurable). La France s'est vue exclure d'un essai clinique (VX-659-102) car une *biotech* américaine a renoncé à réaliser en France des essais cliniques qui permettraient, à terme, de commercialiser un nouveau traitement prometteur. L'explication de la situation est la suivante : parce qu'elle est rare, la mucoviscidose a longtemps été le parent pauvre de la recherche. Faute de débouchés financiers, peu de laboratoires travaillent sur cette maladie génétique qui affecte le système respiratoire et digestif. Mais l'essor de nouvelles thérapies a rebattu les cartes. « On a effectivement depuis quelques années, des traitements qui s'adressent au produit du gène, c'est-à-dire à la protéine qui est fabriquée par le gène, qui est le résultat de cette anomalie génétique et qui peut donc être corrigé, dans certains cas de mutation très spécifique. Cela veut dire se remettre à marcher pour certains patients. Actuellement, ce laboratoire a trouvé un deuxième médicament qui permet de corriger plus efficacement cette mutation. Il s'adresse donc à un nombre beaucoup plus important de patients », explique Isabelle Sermet-Gaudelus, pédiatre et responsable du centre mucoviscidose à l'hôpital Necker. Sauf que le laboratoire en question, vient de retirer la France de ses essais cliniques, pourtant prometteurs. La raison de ce volte-face tient aux négociations sur le prix du précédent médicament (Orkambi). Pour ce traitement, à prendre à vie, le laboratoire demande 13 000 euros par mois et par personne. L'État français propose quant à lui 1 700 euros, soit huit fois moins. Des pourparlers qui ont viré au bras de fer, sans jamais aboutir. Les patients crient au chantage et dénoncent une vraie perte de chance. Rentrer dans le protocole représente un vrai espoir parce qu'en effet, ces essais ont montré que les patients amélioraient de 10 à 12 % leurs fonctions respiratoires. C'est une vraie amélioration en termes de qualité de vie, de souffle, d'énergie. C'est vraiment un progrès qui pourrait être important. Ce qu'il faut comprendre également, c'est que les pays qui accueillent les essais cliniques sur leur territoire sont aussi les premiers à bénéficier du traitement, le médicament arrivant en général avec deux ou trois années d'avance sur le reste du monde, autant d'années de perdues pour les malades français. Après plusieurs semaines de discussions et de médiations, les acteurs de la lutte contre la mucoviscidose ont obtenu que le laboratoire revienne sur certaines de ses décisions. Depuis la mi-février 2018 et l'annonce de l'annulation d'essais cliniques de phase 3 prévus en France, Vaincre la mucoviscidose, l'association Grégory Lemarchal et la Société française de la mucoviscidose demandaient dans l'intérêt des patients au laboratoire de revenir sur sa décision et aux autorités de tutelle de débloquer les négociations sur le prix de remboursement de l'Orkambi, à l'origine de cette crise. Après plusieurs semaines de discussions et de médiations, il en ressort que, sur les deux essais cliniques de phase 3 annulés, le laboratoire s'est engagé à reprendre l'essai VX-661-115 dans deux des quatre centres initialement prévus qui pourraient matériellement les intégrer. Pour l'essai VX-659-102, il apparaît que le retard pris sur les démarches techniques et réglementaires, trop avancées à l'international, rend impossible son maintien en France. Cet essai représentait une grande avancée pour les patients de 12 ans et plus F508DEL homozygote, et se révélait être plus efficace que l'Orkambi. Les Centre de ressource et de compétence dans la mucoviscidose (CRCM) étaient prêts pour cet essai. Le retard pris par les négociations sur le prix du remboursement de l'Orkambi est à l'origine de cette annulation en France et cette situation est honteuse !!!!! Le laboratoire a par ailleurs officiellement confirmé son engagement à maintenir sur le sol français l'essai de phase III VX-445-102[2]. Les acteurs de la lutte contre la mucoviscidose qui s'inquiétaient que les

patients français ne puissent bénéficier des innovations thérapeutiques aussi rapidement que les autres, mesurent la portée de ces décisions. Enfin, les négociations pourront reprendre dans les prochains jours entre le laboratoire américain et les autorités françaises sur le remboursement d'Orkambi, seule issue à ce jour pour permettre l'accès au traitement pour les enfants de 6 à 11 ans. Il lui demande donc pourquoi les autorités françaises qui étaient sans nul doute au courant de l'enjeu pour les patients atteints de mucoviscidose, pourquoi ont elles attendu si longtemps pour reprendre les négociations. Par ailleurs, il lui demande dans la mesure où d'autres pays européens vont, quant à eux, faire partie de l'essai clinique annulé en France, cela signifie qu'ils ont accepté la tarification de l'Orkambi imposée par le laboratoire. Il souhaiterait savoir si en 2018, il est envisageable en France de se passer d'un essai clinique prometteur qui pourrait ensuite aider d'autres pathologies et par extension, si les bons choix concernant les dépenses en matière de santé sont réalisés. Il lui demande quelle est la position du Gouvernement sur ces questions.

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. Louis Aliot
Circonscription : Pyrénées-Orientales (2e circonscription) - Non inscrit
Type de question : Question écrite
Numéro de la question : 8984
Rubrique : Maladies
Ministère interrogé : Solidarités et santé
Ministère attributaire : Solidarités et santé

Date(s) clée(s)

Question publiée au JO le : 5 juin 2018, page 4690
Réponse publiée au JO le : 5 novembre 2019, page 9793