



ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

Mise sur le marché et prise en charge du médicament Kaftrio

Question orale n° 1511

Texte de la question

M. Marc Le Fur interroge M. le ministre des solidarités et de la santé sur la commercialisation et la prise en charge du médicament Kaftrio destiné aux personnes atteintes de certaines formes de mucoviscidose. La mucoviscidose touche environ 7 500 personnes dans le pays. Depuis des années, grâce aux progrès de la recherche et à la mobilisation des uns et des autres, de grandes avancées ont été enregistrées et les Français atteints par la maladie ont vu leur espérance de vie croître et leur quotidien s'améliorer. S'il n'existe pas encore de traitement permettant de guérir de la mucoviscidose, des médicaments qui agissent de façon significative sur les symptômes de la maladie existent désormais. C'est le cas du médicament Kaftrio. Les conclusions des différentes études menées sont unanimes, le médicament Kaftrio est révolutionnaire. La Haute Autorité de santé (HAS) a d'ailleurs salué son efficacité en lui accordant une amélioration du service médical rendu (ASMR) de niveau 2. C'est presque le niveau maximum. L'Agence européenne des médicaments a récemment autorisé la mise sur le marché européen du médicament. Mais, dans le pays, le traitement est seulement prescrit à titre compassionnel, c'est-à-dire aux personnes dont l'état de santé est très dégradé et qui sont au bord de la greffe. La prise du Kaftrio a bouleversé la vie de ces patients. En moyenne, leur capacité respiratoire a progressé de 15 points. Ils revivent et parlent même de résurrection. Avec la mise sur le marché français du médicament Kaftrio, plus de 3 000 malades de plus de 12 ans pourraient prétendre à ce traitement innovant. Beaucoup de voisins de la France l'ont déjà fait : l'Allemagne, le Royaume-Uni, le Danemark, l'Irlande, la Suisse, la Slovénie, la Finlande, le Luxembourg... Qu'attend-on pour en faire de même ? C'est pourquoi il lui demande de préciser les intentions du Gouvernement quant à une prochaine mise sur le marché et une prochaine prise en charge du médicament Kaftrio par la sécurité sociale.

Texte de la réponse

MISE SUR LE MARCHÉ ET PRISE EN CHARGE DU MÉDICAMENT KAFTRIO

Mme la présidente. La parole est à M. Marc Le Fur, pour exposer sa question, n° 1511, relative à la mise sur le marché et à la prise en charge du médicament Kaftrio.

M. Marc Le Fur. La mucoviscidose touche des milliers de personnes dans notre pays. Depuis des années, grâce aux progrès de la recherche et à la mobilisation des uns et des autres, des progrès ont été réalisés, qui se traduisent en matière d'espérance de vie et de vie quotidienne. Il n'existe pas encore de traitement permettant de guérir la mucoviscidose, mais des médicaments agissent de façon significative sur les symptômes de cette maladie redoutable. C'est le cas en particulier du médicament Kaftrio, au sujet duquel les conclusions des différentes études menées sont unanimes : il est révolutionnaire. La Haute Autorité de santé (HAS) a d'ailleurs salué son efficacité en lui accordant une amélioration de service médical rendu de niveau 2, ce qui correspond presque au niveau maximal. L'Agence européenne des médicaments a récemment autorisé la mise sur le marché européen du médicament mais, dans notre pays, le traitement n'est prescrit qu'à titre compassionnel, c'est-à-dire aux personnes dont l'état de santé est très dégradé. La prise du Kaftrio a bouleversé la vie de ces patients. Leur capacité respiratoire a progressé en moyenne de 15 points : ils revivent.

Avec la mise sur le marché du médicament Kaftrio en France, plus de 3 000 malades de plus de 12 ans pourraient prétendre à ce traitement innovant. Beaucoup de nos voisins l'ont fait, alors qu'attendons-nous pour agir ? C'est la question que se posent les familles concernées. Nos concitoyens touchés par la mucoviscidose sont dans l'attente depuis plusieurs mois. C'est la raison pour laquelle ils demandent que le Gouvernement précise ses intentions quant à une prochaine mise sur le marché et à une prochaine prise en charge du médicament Kaftrio – si utile, d'après les informations dont nous disposons, pour les malades atteints de mucoviscidose. *(M. Guillaume Larrivé applaudit.)*

Mme la présidente. La parole est à Mme la ministre déléguée chargée de l'autonomie.

Mme Brigitte Bourguignon, ministre déléguée chargée de l'autonomie. Je partage votre constat, monsieur le député, et votre préoccupation majeure pour cette pathologie. Vous avez raison : l'efficacité clinique du médicament que vous citez, Kaftrio, et les promesses d'amélioration de l'état de santé d'une partie des patients souffrant de mucoviscidose, sont remarquables. Permettez-moi de rappeler que la France dispose depuis de nombreuses années d'un dispositif reconnu permettant l'accès des patients aux médicaments présumés innovants avant même leur autorisation de mise sur le marché par l'Agence européenne des médicaments ou l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM). Cette possibilité est offerte lorsqu'un besoin thérapeutique existe, et les conditions tarifaires en sont assez avantageuses pour le fabricant. La mise en œuvre de ce dispositif implique néanmoins que le laboratoire veuille s'y engager. Force est de constater que cette option n'a malheureusement pas été choisie par le laboratoire commercialisant Kaftrio, qui a pourtant accepté de délivrer ce médicament pour certains patients à titre compassionnel, comme vous l'indiquez.

À la suite de l'avis de la commission de la transparence de la HAS du 18 novembre 2020 auquel vous faites référence, qui reconnaît l'innovation que représente ce médicament, les négociations tarifaires se sont engagées dès la fin du mois de février entre le laboratoire et le Comité économique des produits de santé (CEPS). Le dynamisme et l'aboutissement de ces négociations dépendent nécessairement des deux acteurs impliqués. Dans ce cadre, le médicament Kaftrio en est aujourd'hui à son huitième passage. Tous les membres du CEPS ont pleinement conscience de l'intérêt de ce produit et partagent avec vous, monsieur le député, la volonté d'un accès le plus rapide possible à ce traitement pour les patients actuellement atteints de mucoviscidose.

La mobilisation de l'ensemble des membres du CEPS permet néanmoins d'estimer qu'un accord pourra être trouvé à court terme, dans le respect des règles législatives et conventionnelles de fixation de prix qui sont appliquées à tous les laboratoires par équité de traitement. Ces règles concourent notamment à la préservation de la capacité de l'assurance maladie à prendre en charge le traitement des patients atteints de mucoviscidose. Dans l'attente de cet accord, l'État souhaite pouvoir délivrer une autorisation temporaire d'utilisation mais ne peut le faire sans sollicitation préalable du laboratoire. Fort heureusement, dans les cas les plus difficiles, on peut parvenir à la mise en place de réponses au cas par cas. Soyez quoi qu'il en soit assuré, monsieur le député, de la mobilisation totale des équipes pour parvenir à un accord dans les meilleurs délais.

Mme la présidente. La parole est à M. Marc Le Fur.

M. Marc Le Fur. Je vous remercie, madame la ministre déléguée, pour votre réponse argumentée et précise. Les familles attendent et je regrette que, dans votre réponse, vous n'ayez pas évoqué de calendrier. Nous comprenons qu'il y ait des procédures, et que l'on fasse preuve de prudence ; c'est dans l'ordre des choses. Mais nous constatons que certains pays vont plus vite que nous. Si vous pouviez partager avec nous un calendrier, cela rassurerait les milliers de familles concernées. *(M. Guillaume Larrivé applaudit.)*

Données clés

Auteur : [M. Marc Le Fur](#)

Circonscription : Côtes-d'Armor (3^e circonscription) - Les Républicains

Type de question : Question orale

Numéro de la question : 1511

Rubrique : Pharmacie et médicaments

Ministère interrogé : Solidarités et santé

Ministère attributaire : Solidarités et santé

Date(s) clé(e)s

Question publiée au JO le : [8 juin 2021](#)

Réponse publiée le : 16 juin 2021, page 6263

La question a été posée au Gouvernement en séance, parue au Journal officiel du [8 juin 2021](#)