



ASSEMBLÉE NATIONALE

16ème législature

Ataxie de Friedreich : mise sur le marché du médicament Skyclarys

Question écrite n° 6347

Texte de la question

M. Marc Le Fur appelle l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention sur la demande de mise sur le marché du médicament Skyclarys, lequel permet de traiter les patients atteints d'ataxie de Friedreich. L'ataxie de Friedreich est une maladie neurodégénérative qui touche le cervelet ou le tronc cérébral. Elle se traduit notamment par des troubles de la coordination des mouvements, des troubles de l'équilibre ou encore des troubles de la parole. L'ataxie de Friedreich touche environ 1 300 personnes en France. À ce jour, aucun traitement permettant de traiter la maladie ou même les symptômes de la maladie ne sont disponibles sur le marché. Un médicament, en l'occurrence le Skyclarys, sera néanmoins disponible aux États-Unis d'Amérique au second trimestre 2023. Parallèlement, une demande a été déposée auprès de l'agence européenne du médicament afin que ledit Skyclarys puisse être mis sur le marché européen. Cette demande - toujours en cours d'instruction - revêt une importance majeure pour les malades et leurs familles dans la mesure où les essais dudit médicament ont abouti à des résultats très encourageants. Lors de la phase expérimentale, un ralentissement important de la progression de la maladie a pu être observé chez les personnes qui ont bénéficié du traitement. Les Français touchés par l'ataxie de Friedreich voient hélas leur état de santé se dégrader continuellement. Dans ces conditions, ils fondent beaucoup d'espoir sur ce traitement et souhaitent vivement qu'il puisse être disponible sur le marché dans les meilleurs délais. C'est pourquoi il lui demande si le Gouvernement entend soutenir et encourager une mise sur le marché rapide du médicament Skyclarys et ce pour l'ensemble des personnes souffrant d'ataxie de Friedreich.

Texte de la réponse

Préalablement à sa commercialisation en France, toute spécialité pharmaceutique doit faire l'objet d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) délivrée soit par l'agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM), soit par la Commission européenne en application de la procédure centralisée prévue par le règlement (CE) n° 726/2004 du 31 mars 2004. Quelle que soit la procédure suivie, la demande d'AMM est évaluée selon des exigences d'efficacité, de qualité et de sécurité harmonisées issues de la législation européenne, ayant comme objectif essentiel la sauvegarde de la santé publique. En particulier, l'AMM n'est délivrée que si la balance bénéfique/risque du médicament concerné est positive, c'est-à-dire s'il est démontré que la balance entre les effets thérapeutiques positifs du médicament au regard des risques pour la santé du patient ou la santé publique liés à sa qualité, à sa sécurité ou à son efficacité est favorable. Cette appréciation de la balance bénéfique/risque est effectuée au vu des éléments du dossier déposé par l'industriel auprès des autorités sanitaires, compte tenu des connaissances scientifiques disponibles tant sur le produit concerné que sur sa substance active ou encore sur la pathologie pour laquelle son indication est revendiquée. Le dossier déposé doit notamment comporter des résultats d'études cliniques permettant de disposer de données robustes sur l'efficacité du médicament dans l'indication en question et la sécurité de son utilisation. Dans ce contexte, une demande en vue de l'obtention d'une AMM centralisée, déposée par Reata Ireland Limited pour le médicament Skyclarys (omaveloxolone) dans le traitement de l'ataxie de Friedreich chez les adultes et les adolescents âgés de 16 ans et plus, est actuellement en cours d'évaluation par l'Agence

européenne des médicaments. Si cette évaluation devait aboutir favorablement, une AMM pourra être délivrée par la Commission européenne et elle sera alors valable dans l'ensemble de l'Union européenne ; ce médicament ne nécessitera pas d'AMM nationale délivrée par l'ANSM pour accéder au marché français. Néanmoins, en l'absence d'AMM pour un médicament dans une indication thérapeutique donnée et alors que les patients atteints de maladies graves, rares ou invalidantes se trouvent dans une situation d'impasse thérapeutique, la législation nationale permet à l'ANSM de délivrer à titre exceptionnel, à la demande d'un prescripteur et pour un patient nommément désigné, des autorisations d'accès compassionnels, dès lors que les données scientifiques disponibles permettent de présumer d'une balance bénéfice/risque favorable dans la situation clinique du patient concerné. De telles demandes, qui permettent de disposer rapidement de médicaments innovants qui ne sont pas encore commercialisés, n'ont cependant pas été adressées à l'ANSM à ce jour pour le médicament Skylarys. L'ANSM n'a donc pas été amenée à évaluer l'utilisation de ce médicament dans l'ataxie de Friedreich. Enfin, lorsqu'une demande d'AMM est en cours d'instruction, il est aussi possible pour l'industriel de demander à la Haute autorité de santé une autorisation d'accès précoce ce qui, à ce jour, n'a pas non plus été le cas pour le médicament concerné.

Données clés

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

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

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 6347

Rubrique : Pharmacie et médicaments

Ministère interrogé : Santé et prévention

Ministère attributaire : Santé et prévention

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [14 mars 2023](#), page 2344

Réponse publiée au JO le : [27 juin 2023](#), page 5909