



ASSEMBLÉE NATIONALE

16ème législature

Amélioration du quotidien des personnes hémophiles

Question écrite n° 7366

Texte de la question

Mme Sophie Panonacle attire l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention sur la sensibilisation du public à l'hémophilie et aux maladies hémorragiques rares. L'hémophilie est une maladie génétique grave et rare qui touche en France près de 9 000 personnes. En prenant en compte les formes les plus sévères de la maladie de Willebrand, les pathologies de Willebrand, les pathologies plaquettaires et les autres maladies rares de la coagulation, on estime en France à plus de 15 000 le nombre de personnes affectées par une maladie hémorragique constitutionnelle. Dans le cadre de la journée mondiale de l'hémophilie le 17 avril, il est important de marquer son soutien aux personnes concernées et de constamment sensibiliser aux traitements et à la prise en charge des troubles rares de la coagulation. Sachant que les malades et les aidants sont confrontés au regard des autres et aux préjugés, elle lui demande comment il pense améliorer leur vie au quotidien.

Texte de la réponse

D'une manière générale, l'hémophilie est une maladie rare dont la prise en charge des patients s'intègre dans le plan national maladies rares. La filière MHEMO et l'ensemble des centres de référence ou de compétence ont récemment fait l'objet d'une nouvelle labellisation et permettent une prise en charge adaptée et poly-disciplinaire des patients. Enfin, la mise à disposition optimale des médicaments indiqués dans le traitement de l'hémophilie et autres maladies hémorragiques rares est une préoccupation importante du Gouvernement. Le 16 mai 2023, a été créé auprès de la directrice générale de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) pour une durée de 1 an à compter de la date de nomination de ses membres, un comité scientifique temporaire « Evolution du circuit de dispensation des médicaments indiqués dans le traitement de l'hémophilie et autres maladies hémorragiques rares - finalisation des travaux ». Il a pour mission de terminer les travaux du précédent Comité scientifique temporaire, en produisant un avis sur la mise en place d'un double circuit de dispensation à l'hôpital par les pharmacies à usage intérieur et en ville par les officines des médicaments de l'hémophilie et des maladies hémorragiques rares. Ces recommandations ont notamment pour objectif l'amélioration de la qualité de vie des patients et de leur entourage en prenant en compte les enjeux, les risques et l'encadrement nécessaire par les professionnels de santé. Par ailleurs, au cours des quinze dernières années, afin d'éradiquer la souffrance et la douleur causées par les troubles héréditaires de la coagulation, le traitement de l'hémophilie et des maladies hémorragiques rares a bénéficié de multiples innovations thérapeutiques dont certaines sont déjà largement disponibles : les concentrés de Facteurs VIII (FVIII) et IX (FIX) synthétiques modifiés et dotés d'une demi-vie prolongée, l'immunothérapie avec le développement d'un anticorps monoclonal bispécifique mimant l'action du FVIII ; la réduction de la production hépatique d'antithrombine (le principal inhibiteur de la coagulation) et l'inhibition ciblée du Tissue Factor Pathway Inhibitor (TFPI) (inhibiteur physiologique des facteurs VII et X) et la thérapie génique qui consiste à doter le foie de la propriété de synthétiser du FVIII ou du FIX. En parallèle de ces innovations et du financement de la recherche clinique, le Gouvernement s'attache à la surveillance des approvisionnements, de la dispensation, de la traçabilité et de l'identitovigilance pour les médicaments dérivés du plasma et autres médicaments indiqués aux patients atteints par une maladie hémorragique constitutionnelle. Il veille également à l'encadrement

réglementaire de la sécurité transfusionnelle des produits sanguins labiles dont les patients atteints par ces maladies rares peuvent avoir besoin. Enfin, la filière française du sang et du plasma reposant sur les deux acteurs nationaux, l'Etablissement français du sang et le Laboratoire français du fractionnement et des biotechnologies qui extrait les trois protéines principales (albumine, immunoglobulines et facteurs de coagulation) du plasma pour la fabrication des médicaments utilisés pour la prise en charge thérapeutique de nombreux patients est historiquement largement soutenue par le Gouvernement.

Données clés

Auteur : [Mme Sophie Panonacle](#)

Circonscription : Gironde (8^e circonscription) - Renaissance

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 7366

Rubrique : Maladies

Ministère interrogé : Santé et prévention

Ministère attributaire : Santé et prévention

Date(s) clé(s)

Date de signalement : Question signalée au Gouvernement le 26 juin 2023

Question publiée au JO le : [18 avril 2023](#), page 3518

Réponse publiée au JO le : [11 juillet 2023](#), page 6527