



# ASSEMBLÉE NATIONALE

17ème législature

## Accès aux traitements innovants pour les maladies rares

Question écrite n° 2141

### Texte de la question

Mme Anne Le Hénanff appelle l'attention de Mme la ministre de la santé et de l'accès aux soins sur l'accès aux traitements innovants pour les maladies rares et plus particulièrement sur le récent refus de la Haute autorité de santé (HAS) d'autoriser l'accès précoce au traitement Qalsody dans le cadre de la maladie de Charcot. Le Qalsody, produit par le laboratoire Biogen, cible une mutation génétique spécifique (SOD1) présente chez environ 1,6 % des patients atteints de la maladie de Charcot en France, soit entre 60 et 160 personnes. Cette thérapie a été approuvée par la Food and Drug Administration (FDA) aux États-Unis d'Amérique en avril 2023 et par l'Agence européenne des médicaments (EMA) en février 2024 et repose sur une technologie d'oligonucléotides antisens visant à réduire les niveaux de neurofilaments, des biomarqueurs associés aux lésions neuronales. Cependant, la HAS a refusé l'autorisation d'accès précoce en octobre 2024, estimant que les données disponibles ne suffisaient pas pour garantir un effet substantiel sur l'évolution de la maladie. Malgré cette décision, la HAS n'exclut pas le remboursement du Qalsody dans le cadre d'une autre procédure de demande classique. Les discussions entre la HAS et Biogen se poursuivent pour un nouvel examen. Dans ce contexte, la HAS a exprimé sa volonté de prendre en compte toutes nouvelles données cliniques qui pourraient lui être soumises. Cette décision de la HAS a suscité une vive réaction de l'Association pour la recherche sur la SLA (ARSLA) qui appelle à une révision de la décision et à une prise en charge du Qalsody, déjà disponible dans d'autres pays européens comme l'Allemagne et l'Italie. Ce débat met en lumière les enjeux complexes de l'accès aux traitements innovants pour les maladies rares. Les prochaines semaines seront décisives car le nouvel avis de la HAS pourrait influencer la stratégie nationale de prise en charge des patients SLA et potentiellement permettre l'accès à ce traitement pour les personnes en impasse thérapeutique. Aussi, Mme la députée souhaite savoir quelle stratégie nationale de prise en charge des patients SLA le Gouvernement entend porter. Elle souhaite également savoir quelle est la position du Gouvernement sur l'accès et la prise en charge des traitements innovants pour les maladies rares.

### Données clés

**Auteur :** [Mme Anne Le Hénanff](#)

**Circonscription :** Morbihan (1<sup>re</sup> circonscription) - Horizons & Indépendants

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 2141

**Rubrique :** Pharmacie et médicaments

**Ministère interrogé :** Santé et accès aux soins

**Ministère attributaire :** [Santé et accès aux soins](#)

### Date(s) clé(s)

**Question publiée au JO le :** [19 novembre 2024](#), page 6073