



ASSEMBLÉE NATIONALE

17ème législature

Traitement Tofersen contre la maladie de Charcot

Question écrite n° 2345

Texte de la question

M. Pierrick Courbon attire l'attention de Mme la ministre de la santé et de l'accès aux soins sur le refus d'autorisation d'accès précoce et de remboursement du traitement Tofersen (Qalsody) pour les patients atteints de sclérose latérale amyotrophique (SLA), plus communément appelée maladie de Charcot. En effet, les autorités sanitaires françaises ont, le 10 octobre dernier 2024, refusé d'accorder une autorisation d'accès précoce à ce traitement, en invoquant l'absence de « données probantes permettant de répondre favorablement » à cette demande, bien que ce traitement ait été récemment approuvé par les autorités sanitaires américaines et européennes et qu'il soit déjà disponible dans plusieurs pays comme l'Allemagne, l'Italie et les États-Unis d'Amérique. Il convient de rappeler que l'Agence nationale de sécurité du médicament (ANSM) avait déjà autorisé un accès compassionnel en février 2022 à ce traitement. Actuellement, plus de 50 patients en bénéficient. Leur retirer l'accès à ce traitement ainsi que l'accès à son remboursement, c'est prendre le risque de priver les patients français d'un traitement qui pourrait significativement améliorer leur qualité de vie et ralentir l'évolution de la maladie. Pour mémoire, le médicament Qalsody, fondé sur la molécule Tofersen, est destiné à traiter une forme génétique spécifique de la SLA. Plusieurs études ont montré son efficacité à travers la réduction du taux des neurofilaments dans le sang et des résultats issus des données en vie réelle, publiés dans des revues internationales, ont révélé une stabilisation, voire une régression de la maladie chez certains patients. Refuser cette demande revient alors à nier ces progrès scientifiques qui constituent une avancée considérable, jamais observée auparavant dans la prise en charge de la SLA. Le laboratoire Biogen, porteur de la demande d'autorisation, a fait appel de cette décision, qui sera examinée prochainement. Il apparaît alors urgent d'agir pour que les Français atteints de la SLA puissent continuer de bénéficier de ce traitement. Dans ces conditions, il souhaite savoir comment elle justifie cette décision de refus et quelles mesures elle entend prendre pour permettre aux patients français d'avoir accès à ce traitement prometteur.

Données clés

Auteur : [M. Pierrick Courbon](#)

Circonscription : Loire (1^{re} circonscription) - Socialistes et apparentés

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 2345

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 : [26 novembre 2024](#), page 6218