

Paris, le 27 novembre 2020

COMMUNIQUE DE PRESSE



Association
**Grégory
Lemarchal**
EN FINIR AVEC LA MUCOVISCIDOSE

Kaftrio[®], une avancée sans précédent dans le traitement de la mucoviscidose

Il est urgent de le rendre accessible au plus grand nombre !

Moins de trois mois après l'autorisation de mise sur le marché européen délivrée par l'Agence européenne des médicaments, **la Haute Autorité de Santé (HAS) qui avait accordé à Kaftrio[®] (laboratoire Vertex Pharmaceuticals) le statut de médicament présumé innovant, vient de lui attribuer une ASMR, amélioration du service médical rendu, de niveau 2 (importante), dans un délai particulièrement court.**

Un à deux médicaments obtiennent chaque année en France une telle évaluation. Jusqu'à présent, seul le Kalydeco[®] avait obtenu une telle ASMR parmi les médicaments prescrits en CRCM (centre de ressources et de compétences de la mucoviscidose). Toutefois, ce traitement ne concernait que 3 % des patients atteints de mucoviscidose contrairement à Kaftrio[®] qui, à terme, pourrait concerner environ 80 % de la population n'ayant pas bénéficié d'une greffe pulmonaire. **Pour tous les patients concernés de plus de 12 ans, Kaftrio[®] est positionné par la HAS comme un traitement de fond qui doit être prescrit d'emblée.**

La HAS s'est appuyée sur le dossier solide remis par la firme, mais aussi **sur la contribution de Vaincre la Mucoviscidose citée expressément dans l'avis.** Elle est le résultat d'une enquête menée auprès de 112 patients sous Kaftrio[®] auquel ils avaient eu le plus souvent accès grâce à la procédure d'accès compassionnel (ATUn).

Les résultats de cette étude sont impressionnants : tous rapportent une diminution significative et pour certains spectaculaire de l'ensemble des symptômes et troubles liés à la mucoviscidose, particulièrement les manifestations respiratoires. Ces données centrées sur le ressenti et la qualité de vie des patients confirment les résultats des essais cliniques, et démontrent que l'effet remarquable du traitement est aussi observé chez des patients à l'état de santé très dégradé, qui n'avaient pas été inclus dans les essais cliniques. Les témoignages des patients traduisent une forme de sidération (« avant »/« après »), suscitent l'engouement, mais également l'amertume de ceux qui n'en bénéficient pas encore, ou ne pourront en bénéficier. Aussi, l'attente est forte pour les patients qui, dans l'attente de la commercialisation de la trithérapie, voient leur état de santé se dégrader.

Aujourd'hui en France, cet accès est limité à ceux qui, éligibles par leur profil génétique, sont dans une situation d'impasse thérapeutique. Or, plus de 3000 malades de plus de 12 ans pourraient y prétendre dès la mise sur le marché français du traitement.

Faudra-t-il donc attendre que leur état de santé se dégrade fortement pour que tous les malades y accèdent ?

Les patients ont encore en mémoire la douloureuse et longue négociation entre la France et le laboratoire Vertex Pharmaceuticals concernant Orkambi®, autre traitement de la mucoviscidose : près de 4 ans ! Les associations déplorent d'ailleurs, que pour la bithérapie Symkevi®, dont l'autorisation de mise sur le marché date de 2018 et l'évaluation par la HAS de l'ASMR de mai 2020, aucun accord ne soit encore intervenu. Aucune information n'est disponible concernant l'état des discussions témoignant ainsi de l'absence de transparence de ce type de procédure alors qu'elles concernent la survie de plusieurs milliers de malades.

C'est pourquoi Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Grégory Lemarchal se mobilisent. Elles demandent au laboratoire Vertex Pharmaceuticals et au Comité économique des produits de santé (CEPS) d'engager sans délai des négociations et de parvenir rapidement à un accord pour la commercialisation de Kaftrio®.

L'avis de la HAS est disponible ici :
https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-18812_KAFTRIO_KALYDECO_PIC_INS_EI_AvisDef_CT18812&18878.pdf

À propos de Vaincre la Mucoviscidose

Créée en 1965 par des parents de jeunes patients et des soignants, Vaincre la Mucoviscidose se consacre à l'accompagnement des malades et de leur famille dans chaque aspect de leur vie bouleversée par la maladie. L'association organise son action autour de quatre missions prioritaires : guérir, soigner, améliorer la qualité de vie, et informer et sensibiliser. Vaincre la Mucoviscidose est une association reconnue d'utilité publique, agréée par le Comité de la charte du don en confiance et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie. Les dons peuvent être faits sur le site vaincrelamuco.org et également en participant aux nombreuses manifestations organisées tout au long de l'année.

À propos de l'Association Grégory Lemarchal

Grégory Lemarchal était un artiste accompli mais c'était aussi un jeune homme atteint d'un mal incurable, contre lequel il luttait sans jamais baisser les bras. L'Association Grégory Lemarchal a été créée en juin 2007 après son décès, à 24 ans. Sa famille a voulu une association à taille humaine, de proximité, basée sur sa connaissance intime et douloureuse de la maladie pour pouvoir répondre rapidement et efficacement aux besoins des familles, des hôpitaux et des chercheurs.

CONTACTS PRESSE:

Vaincre la Mucoviscidose

Sandrine Jobbin, sjobbin@vaincrelamuco.org, 01 40 78 91 75

Stéphanie Baz, sbaz@vaincrelamuco.org, 06 74 04 35 92

Association Grégory Lemarchal

Pierre Lemarchal, pierre.agl@free.fr, 06 60 29 31 76