



# ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 101989

## Texte de la question

Mme Sophie Primas attire l'attention de Mme la secrétaire d'État auprès du ministre du travail, de l'emploi et de la santé, chargée de la santé, sur la question de la délivrance d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) relative aux médicaments à base de toxine botulique, dans le traitement des dysphonies spasmodiques. En effet, la dysphonie spasmodique est un type de dystonie, qui se traduit par un spasme des cordes vocales. Les personnes atteintes par cette pathologie connaissent des perturbations importantes de la voix ou un véritable mutisme, et présentent de graves difficultés respiratoires, qui peuvent conduire à une issue fatale. L'un des principaux traitements, reconnu efficace par un grand nombre de publications médicales, consiste en l'injection d'une dose minimale d'un médicament à base de toxine botulique dans les muscles du larynx. Cette thérapie semble permettre une nette amélioration de la situation du patient, et lui éviter ainsi une intervention chirurgicale lourde et invalidante. Néanmoins, l'AMM relative aux médicaments à base de toxine botulique utilisés dans le traitement des dystonies est limitée aux dystonies cervicales et au blépharospasme. Les dysphonies spasmodiques sont donc exclues du champ de cette AMM, ce qui place les médecins et patients concernés dans une situation délicate. En effet, les doses de toxine botulique utilisées dans le traitement des dysphonies spasmodiques sont très faibles et le nombre de patients atteints est également réduit. Aussi, il semblerait que les laboratoires pharmaceutiques ne soient pas intéressés par la délivrance de cette AMM, dont le coût risquerait d'être plus conséquent que les retombées commerciales potentielles. Par conséquent, elle lui demande de bien vouloir lui indiquer son avis sur la possibilité d'une extension du champ de l'AMM relative aux médicaments à base de toxine botulique, au traitement des dysphonies spasmodiques.

## Texte de la réponse

D'une manière générale, la toxine botulinique a démontré son efficacité dans les maladies dystoniques. En effet, plusieurs spécialités à base de toxine botulinique sont aujourd'hui commercialisées en France, dans le traitement du blépharospasme et du torticolis spasmodique. Toutefois, tant au niveau européen qu'au niveau national, l'utilisation de la toxine botulique demeure très surveillée pour le risque de diffusion et les événements indésirables associés, tels que la pneumopathie d'inhalation secondaire ou encore les troubles de la déglutition. La dysphonie spasmodique ou dystonie laryngée, - altération de la voix due à un spasme des cordes vocales - est une maladie rare. Dès 1988, les premières publications relatives à l'utilisation de la toxine botulique dans le traitement de cette maladie (avec des séries de plusieurs centaines de patients) ont considéré cette dernière comme l'un des traitements les plus efficaces. La littérature précise ainsi que l'injection de la toxine est réalisée dans les muscles du larynx, sous électromyographie dans quelques services ORL spécialisés, par des médecins ayant une bonne connaissance de cette pratique. Les effets indésirables de ce traitement y sont également rapportés. Les principaux tels que l'aphonie pendant deux à trois semaines et une gêne à la déglutition peuvent ainsi être soulignés. Concernant l'extension de l'indication de ces spécialités à base de toxine botulinique dans le traitement des dysphonies spasmodiques, à ce jour, aucune demande en ce sens n'a été déposée par les laboratoires titulaires auprès des services de l'Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé (AFSSAPS). Enfin, en tout état de cause, malgré la sensibilisation des laboratoires par l'AFSSAPS sur les

conséquences de l'indisponibilité de certains médicaments sur le marché français, il est à noter que la décision de demander une extension d'indication d'une spécialité donnée relève de leur entière initiative et que l'AFSSAPS ne dispose d'aucun outil juridique de contrainte. Pour autant, les autorités françaises sont particulièrement attentives au développement de ces médicaments orphelins et le seront à toute évolution sur ce point.

## Données clés

**Auteur :** [Mme Sophie Primas](#)

**Circonscription :** Yvelines (9<sup>e</sup> circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 101989

**Rubrique :** Santé

**Ministère interrogé :** Santé

**Ministère attributaire :** Santé

## Date(s) clé(s)

**Question publiée le :** 8 mars 2011, page 2190

**Réponse publiée le :** 2 août 2011, page 8432