



# ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

## Commercialisation d'un traitement contre la mucoviscidose

Question écrite n° 33802

### Texte de la question

Mme Hélène Zannier interroge M. le ministre des solidarités et de la santé sur la commercialisation du traitement appelé kaftrio trikafta contre la mucoviscidose. La mucoviscidose est une maladie génétique rare, héréditaire et incurable qui attaque les voies respiratoires et le système digestif. Près de 7 000 personnes sont atteintes de cette maladie en France. L'espérance de vie des patients est passée de quelques années seulement à 40 ans aujourd'hui. La médecine progresse. Si bien qu'en 2019, l'agence américaine du médicament a autorisé un nouveau traitement, le kaftrio trikafta, dont les résultats sont extrêmement encourageants. Il permettrait de gagner entre 10 % et 20 % de capacité pulmonaire. Des patients en fin de vie ont même pu sortir de cette « zone rouge » et voir leur santé s'améliorer considérablement. En août 2020, la Commission européenne a donné son feu vert pour la commercialisation de ce médicament, mais il faut désormais trouver un accord en France avant la mise sur le marché. Dans l'attente de cet accord, une autorisation temporaire d'utilisation nominative (ATUN) a été mise en place, permettant à environ 200 patients français, les plus sévèrement touchés par la maladie, de bénéficier du kaftrio trikafta, avant même l'autorisation de mise sur le marché. Ce médicament est porteur d'espoir pour les malades. L'attente et l'absence de visibilité sur le calendrier de commercialisation du traitement leur font craindre un retour en arrière, à savoir la non-commercialisation du kaftrio trikafta en France. Elle lui demande des informations précises sur le calendrier de la commercialisation du traitement kaftrio trikafta pour les patients atteints de mucoviscidose.

### Texte de la réponse

La Haute autorité de santé a octroyé une amélioration du service rendu de niveau II pour deux spécialités pharmaceutiques Kaftrio et Symkevi concernant la prise en charge thérapeutique de la mucoviscidose pour l'ensemble des patients âgés de 12 ans et plus. Les essais cliniques ont démontré un gain supplémentaire d'efficacité et de qualité de vie pour les patients. Le Comité économique des produits de santé a négocié un accord avec le laboratoire Vertex permettant la commercialisation en France de ces deux spécialités pharmaceutiques, avec une prise en charge à 100 % par l'assurance maladie. Ainsi, les patients atteints de mucoviscidose vont pouvoir bénéficier de traitements innovants et efficaces. Ces nouveaux traitements seront disponibles très rapidement dans les officines de pharmacie et pris en charge par l'assurance maladie.

### Données clés

**Auteur :** [Mme Hélène Zannier](#)

**Circonscription :** Moselle (7<sup>e</sup> circonscription) - La République en Marche

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 33802

**Rubrique :** Pharmacie et médicaments

**Ministère interrogé :** [Solidarités et santé](#)

**Ministère attributaire :** [Solidarités et santé](#)

Date(s) clé(s)

**Question publiée au JO le :** [10 novembre 2020](#), page 7927

**Réponse publiée au JO le :** [13 juillet 2021](#), page 5594