



ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

Autorisation de mise sur le marché de trithérapie contre la mucoviscidose

Question écrite n° 37039

Texte de la question

M. Éric Diard appelle l'attention de M. le ministre des solidarités et de la santé sur les traitements contre la mucoviscidose. La mucoviscidose est une des pathologies les plus violentes que l'on connaisse aujourd'hui. Elle est d'autant plus cruelle qu'elle emporte avec elle des patients dans la fleur de l'âge, le plus souvent avant leur trentième anniversaire. Les années de recherche médicale et scientifique ont notamment permis l'apparition de traitements prometteurs, notamment le kafrio, une trithérapie qui semble efficace même sur les formes les plus virulentes de la maladie. Cette combinaison de trois molécules (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor), déjà commercialisée aux États-Unis et réputée pour son efficacité, est donc désormais indiquée en Europe pour le traitement des patients de 12 ans et plus, porteurs de deux mutations F508del ou d'une mutation dite « à fonction minimale » associée à une mutation F508del. Une extension de l'AMM européenne aux mutations dites résiduelles devrait suivre prochainement. Aujourd'hui, de nombreux patients en état critique voient ce nouveau traitement comme un espoir sans précédent. Il lui demande ainsi un calendrier prévisionnel de la mise sur le marché de ce traitement, en lui rappelant l'urgence de procéder à l'autorisation de mise sur le marché du kafrio.

Texte de la réponse

La Haute autorité de santé a octroyé une amélioration du service rendu de niveau II pour deux spécialités pharmaceutiques Kafrio 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 : [M. Éric Diard](#)

Circonscription : Bouches-du-Rhône (12^e circonscription) - Les Républicains

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 37039

Rubrique : Pharmacie et médicaments

Ministère interrogé : [Solidarités et santé](#)

Ministère attributaire : [Solidarités et santé](#)

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [9 mars 2021](#), page 1973

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