



# ASSEMBLÉE NATIONALE

## 15ème législature

### Accompagnement de la lutte contre la mucoviscidose

Question écrite n° 6673

#### Texte de la question

Mme Bérangère Couillard alerte Mme la ministre des solidarités et de la santé sur l'annulation des essais cliniques concernant la lutte contre la mucoviscidose. Prévus en 2018 en France des essais cliniques d'un médicament contre la mucoviscidose ont été annulés par le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals. Ces annulations auront pour conséquences de retarder, si les résultats sont concluants, la mise à disposition de ces médicaments pour les Françaises et Français souffrant de cette maladie. Ces annulations auraient pour cause, selon la direction américaine de Vertex Pharmaceuticals, l'impossibilité de trouver avec l'État une entente sur le prix d'un précédent traitement testé en France, à savoir l'Orkambi. Pour les milliers de Français qui plaçaient de véritables espoirs dans ces tests c'est une véritable prise en otage dont l'enjeu est leur vie. Ainsi, elle souhaite l'alerter sur ce sujet et l'importance de trouver une solution pour permettre aux victimes de cette maladie de bénéficier des dernières avancées médicales.

#### Texte de la réponse

S'agissant de l'annulation des essais cliniques annoncée par le laboratoire Vertex Pharmaceuticals pour sa spécialité Orkambi, les discussions avec le laboratoire ont abouti à ce que celui-ci s'excuse et regrette ces annulations. Les inclusions dans les essais cliniques de patients ont depuis repris dans les essais pour lesquels ces phases étaient encore ouvertes. Concernant la mise à disposition de la spécialité Orkambi pour les patients souffrant de mucoviscidose, le système d'accès au marché français a permis la mise à disposition de ce médicament pour les patients âgés de 12 ans et plus, depuis décembre 2015 au travers des dispositifs d'accès précoce d'autorisation temporaire d'utilisation (ATU) et post-ATU. Ces dispositifs ont ainsi permis de garantir un accès précoce et continu. Les différentes extensions d'indications d'Orkambi ne font pas, à ce jour, l'objet de prise en charge ; le laboratoire Vertex Pharmaceuticals n'ayant pas déposé de demande de prise en charge précoce et dérogatoire prévue par la loi de financement de la sécurité sociale pour 2019. Enfin, même si les négociations de prix entre le laboratoire et le Comité économique des produits de santé (CEPS) ont débuté il y a plusieurs mois et sont compliquées, un accord est encore possible, grâce notamment à des échanges réguliers entre le CEPS et le laboratoire.

#### Données clés

**Auteur :** [Mme Bérangère Couillard](#)

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

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 6673

**Rubrique :** Santé

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

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

**Date(s) clé(s)**

**Question publiée au JO le :** [20 mars 2018](#), page 2279

**Réponse publiée au JO le :** [5 novembre 2019](#), page 9793