



# ASSEMBLÉE NATIONALE

## 16ème législature

### Médicament en accès précoce concernant la SLA

Question écrite n° 3392

#### Texte de la question

Mme Karine Lebon interroge M. le ministre de la santé et de la prévention sur son positionnement quant aux attentes des personnes atteintes de la sclérose latérale amyotrophique concernant les expérimentations de l'AMX0035, médicament en accès précoce aux USA et Canada, non disponible en Europe. Chaque année, en France, près de 1 800 personnes apprennent qu'ils sont atteints de la SLA (dite maladie de Charcot). On a tous un risque sur 300 de développer une SLA. À partir du diagnostic, le porteur n'a plus que 3 à 5 ans d'espérance de vie. Dès 2040, une augmentation de plus de 20 % de la population des personnes touchées est attendue. Le seul traitement de cette maladie incurable disponible en France ne prolonge l'espérance que de 3 mois. Cette situation nécessite une attention toute particulière aux traitements découverts à l'étranger. Un médicament pouvant prolonger l'espérance de vie des porteurs jusqu'à un an est actuellement disponible en accès précoce (phase 2) au Canada et aux États-Unis d'Amérique. L'AMX0035, qui donne beaucoup d'espoir aux malades et aux associations, ne sera accessible en Europe que pour développer des essais en phase 3, comportant donc des placebos, alors même que le risque aurait déjà été éliminé dans les phases précédentes. Au vu de l'urgence, il y a nécessité d'agir au plus vite pour ouvrir l'accès précoce de ce médicament en Europe par le biais de la Haute Autorité de santé et de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM). De plus, quand bien même cette ouverture aurait lieu, les patients de La Réunion ne seraient pas concernés par cette expérimentation. En effet, l'île n'est pas considérée comme faisant partie de la zone Europe et se voit exclue de la distribution de ce traitement. Cela constitue une réelle rupture d'égalité à l'accès aux soins sur le territoire national, alors même que le territoire compte une cinquantaine de cas diagnostiqués et bien plus encore en situation d'errance de diagnostic. Enfin, le manque de moyens des territoires ultramarins a un impact réel sur les tests génétiques qui doivent être envoyés en France hexagonale et qui mettent, souvent, bien trop de temps à revenir sur le territoire, parfois même après le décès du patient. Mme la députée interroge M. le ministre sur l'action qu'il est prêt à mener pour que l'AMX0035 soit ouvert en accès précoce. Elle lui demande également si les territoires ultramarins seront intégrés dans l'espace européen pour les expérimentations si des moyens supplémentaires seront alloués aux centres de recherche.

#### Texte de la réponse

Le nouveau médicament, l'AMX0035, en cours d'essai clinique, dans le traitement de la sclérose latérale amyotrophique (dite maladie de Charcot), suscite beaucoup d'espoir pour les patients souffrant de cette maladie. Une autorisation de mise sur le marché temporaire a été délivrée au traitement par la Food and Drugs Administration (FDA) américaine dans l'attente des résultats de l'étude Phoenix de phase III en cours. Le laboratoire Amylix ne souhaite pas déposer de demande d'accès précoce pour le médicament considéré ou à honorer des demandes d'accès compassionnel pour ne pas compromettre la conduite de cet essai en double aveugle et pouvoir répondre aux exigences posées par la FDA. La finalisation des inclusions dans cet essai est fixée à la fin de l'année 2023. La France est le deuxième pays recruteur dans le cadre de cet essai avec 9 centres français concernés. Dès janvier prochain, cette étude va comporter une phase d'extension permettant aux patients inclus de bénéficier de la molécule active après la phase en double aveugle. Au niveau européen, le comité des médicaments à usage humain a rendu un avis défavorable le 23 juin 2023 à la demande d'autorisation de mise sur le marché, déposée par le laboratoire pour le médicament. Une demande de

réexamen de cet avis a été déposée par le laboratoire.

## Données clés

**Auteur** : [Mme Karine Lebon](#)

**Circonscription** : Réunion (2<sup>e</sup> circonscription) - Gauche démocrate et républicaine - NUPES

**Type de question** : Question écrite

**Numéro de la question** : 3392

**Rubrique** : Pharmacie et médicaments

**Ministère interrogé** : Santé et prévention

**Ministère attributaire** : Santé et prévention

## Date(s) clée(s)

**Question publiée au JO le** : [22 novembre 2022](#), page 5523

**Réponse publiée au JO le** : [3 octobre 2023](#), page 8829