

**ASSEMBLÉE NATIONALE**

6 février 2025

POUR AMÉLIORER LA PRISE EN CHARGE DE LA SCLÉROSE LATÉRALE  
AMYOTROPHIQUE ET D'AUTRES MALADIES ÉVOLUTIVES GRAVES - (N° 910)

Commission	
Gouvernement	

**RETIRED AVANT DISCUSSION****AMENDEMENT**

N° 4

présenté par  
M. Viry

**ARTICLE ADDITIONNEL****APRÈS L'ARTICLE 4, insérer l'article suivant:**

Dans un délai de six mois à compter de la promulgation de la présente loi, le Gouvernement remet au Parlement un rapport sur les motifs ayant conduit au refus d'accès précoce au traitement Qalsody (Tofersen) en France, malgré son autorisation de mise sur le marché par l'Agence européenne des médicaments.

Ce rapport évalue les critères ayant justifié cette décision et les compare aux procédures appliquées dans d'autres États européens, notamment l'Allemagne et l'Italie. Il analyse également l'impact de ce refus sur l'accès aux innovations thérapeutiques pour les maladies rares, sur la recherche biomédicale et sur l'attractivité de la France en matière d'innovation médicale.

Enfin, le rapport formule des recommandations pour adapter les procédures d'évaluation aux spécificités des maladies rares, afin de garantir une prise en charge rapide et équitable des patients concernés.

**EXPOSÉ SOMMAIRE**

La SLA est une pathologie neurodégénérative grave qui réduit drastiquement l'espérance de vie des patients, la situant entre deux et cinq ans après le diagnostic. Dans ce contexte d'urgence médicale, l'accès aux traitements innovants constitue un enjeu majeur de santé publique.

Le traitement Qalsody (Tofersen) représente une avancée scientifique majeure en ciblant la cause génétique d'une forme rare de SLA. Malgré l'autorisation de mise sur le marché octroyée par

l'Agence européenne des médicaments en février 2024, la France a récemment refusé son accès précoce, comme l'a annoncé la Haute Autorité de Santé le 10 octobre 2024. Cette décision prive ainsi les patients français d'un traitement disponible dans d'autres pays européens, tels que l'Allemagne et l'Italie.

L'absence d'une évaluation adaptée aux réalités des maladies rares et l'application de critères inappropriés pour justifier ce refus soulèvent des interrogations légitimes quant à la cohérence de la politique française en matière d'accès aux traitements innovants.

Face à ces constats, il est nécessaire d'évaluer précisément les raisons ayant conduit à ce refus et d'analyser les conséquences de cette décision sur l'accès aux innovations thérapeutiques en France.

Ce rapport doit permettre de :

- Identifier les critères précis ayant motivé le refus d'accès précoce au Qalsody en France.
- Comparer les décisions d'autres pays européens en matière d'évaluation et d'accès aux traitements innovants pour les maladies rares.
- Examiner l'impact de ce refus sur la recherche biomédicale et sur l'attractivité de la France pour les innovations thérapeutiques.
- Formuler des recommandations pour adapter les procédures d'évaluation aux spécificités des maladies rares, garantissant ainsi une prise en charge équitable et rapide des patients concernés.

### **Le temps de l'administration n'est pas celui des malades !**

La publication d'un rapport détaillé constitue une première étape pour répondre aux attentes des patients et de leurs familles, tout en renforçant l'attractivité de notre pays pour la recherche et l'innovation médicale.