



ASSEMBLÉE NATIONALE

17ème législature

SLA et soutien aux biotechs françaises

Question écrite n° 5973

Texte de la question

M. Thomas Lam interroge M. le ministre auprès de la ministre du travail, de la santé, de la solidarité et des familles, chargé de la santé et de l'accès aux soins, sur la recherche sur la sclérose latérale amyotrophique (SLA) et le soutien du Gouvernement aux biotechs françaises. Avec plus de 500 000 cas dans le monde dont 2 000 nouveaux par an en France, cette maladie, dont l'espérance de vie se situe entre 3 et 5 ans, est orpheline. Aucun traitement efficace n'a été trouvé à ce jour pour la guérir. Néanmoins, la recherche sur la SLA est en ce moment prometteuse. Pour la première fois, quatre biotechs françaises ont développé des molécules qui pourraient transformer l'avenir de cette maladie. Ces avancées suscitent un espoir immense pour les patients et leurs familles, mais sont aujourd'hui gravement menacées. Faute de financements suffisants, ces entreprises sont dans l'incapacité de poursuivre leurs essais cliniques de phase 2. Privées d'accompagnement, ces biotechs n'ont d'autre choix que de quitter la France pour mener leurs essais, rejoignant des pays étrangers où les dispositifs de soutien sont plus souples et plus favorables. L'accès au traitement est un autre frein majeur. La SLA est une maladie fulgurante où chaque jour perdu signifie une perte de chance irréversible. Or le cadre réglementaire impose des essais cliniques extrêmement longs, incompatibles avec l'urgence de la situation. Il est impératif que la France adapte ses procédures et permette un accès précoce aux molécules ayant montré des résultats encourageants en phase 2, accompagné d'un recueil systématique de données en vie réelle. Ce modèle, déjà mis en place pour d'autres maladies graves, permettrait de répondre à un double enjeu : offrir des traitements aux patients qui n'ont pas pu intégrer les essais et réduire les coûts pour les biotechs, qui peinent aujourd'hui à financer des études longues et complexes. Afin de soulager les biotechs de ces coûts élevés, déferer le paiement des surcoûts des hôpitaux aux biotechs à la fin de leurs études cliniques (montant pouvant être garanti par l'État) serait une autre piste envisageable. Au-delà de ces enjeux, la SLA représente un modèle d'étude unique, dont les avancées bénéficieront à l'ensemble des maladies neurodégénératives, dont notamment Alzheimer et Parkinson. Il est urgent que la France prenne la mesure de cet enjeu et adopte une approche volontariste et ambitieuse pour soutenir la recherche et l'innovation dans ce domaine. Il lui demande donc quelles actions concrètes il entend mener pour faciliter l'accès au financement et aux essais cliniques des biotechs.

Texte de la réponse

L'accès aux traitements pour les maladies rares, notamment la sclérose latérale amyotrophique, s'est renforcé grâce à la mise en place de l'application BaMaRa par la Haute autorité de santé (HAS) et la banque nationale de données maladies rares, centralisant les données de suivi thérapeutique via un set minimum (SDM-T) facilitant l'évaluation des médicaments en accès précoce. Sur le plan européen, le médicament orphelin Qalsody (Tofersen) a obtenu une autorisation de mise sur le marché centralisée en février 2024 pour les patients porteurs d'une mutation SOD1, bien que son remboursement ait été refusé en France faute d'apport clinique jugé suffisant. L'HAS poursuit cependant son évaluation dans le cadre d'une autre procédure, tandis que l'Agence nationale de sécurité du médicament étudie une mise à disposition temporaire. Parallèlement, l'association pour la recherche sur la sclérose latérale amyotrophique soutient l'essai clinique SEALS du

laboratoire Axoltis sur le candidat NX210c, ciblant la barrière hémato-encéphalique, illustrant ainsi les efforts conjoints en faveur de traitements innovants et adaptés aux spécificités des maladies rares. Parallèlement, le lancement du quatrième Plan national maladies rares (PNMR4), le 25 février 2025, met un accent particulier sur l'accès aux traitements innovants pour les maladies rares. Ce plan vise à accélérer l'accès aux traitements, en favorisant le développement de thérapies innovantes, en renforçant l'observatoire des traitements et en structurant la recherche clinique. Il soutient également les essais cliniques et encourage le repositionnement de médicaments pour optimiser l'utilisation des thérapies existantes. Ce plan s'inscrit dans une dynamique européenne de coopération internationale pour accélérer l'accès aux thérapies de pointe, en s'appuyant sur l'intégration des données de vie réelle et le développement des biobanques, afin de mieux évaluer l'efficacité des traitements et encourager l'innovation thérapeutique. L'objectif 20 du 4ème PNMR4 vise à « renforcer la recherche pour développer de nouvelles thérapies » en s'appuyant sur des avancées en génomique et en intelligence artificielle. Il prévoit notamment le séquençage des cas non résolus à l'aide de techniques innovantes, le développement de modèles précliniques avancés tels que les organoïdes et les organes sur puce, ainsi que l'utilisation de l'intelligence artificielle pour identifier de nouveaux biomarqueurs et cibles thérapeutiques. Le plan encourage également le repositionnement de médicaments existants et l'optimisation du passage de la recherche fondamentale aux essais cliniques, en harmonisant les réglementations nationales et européennes. L'action 20.2 mentionne dès lors une volonté de “Soutenir la transition entre recherche pré-clinique et clinique par la création d'un hub d'accélération translationnel” notamment sur une volonté de “Favoriser le partenariat public avec des biotechs ayant besoin de données de vie réelle ou développer le recours aux plateformes universitaires aux prix académiques.” Ces actions s'inscrivent dans le cadre du programme France 2030, visant à assurer le continuum entre la recherche fondamentale et l'industrialisation des thérapies innovantes. En intégrant les biotechs au cœur de sa stratégie, le PNMR4 ambitionne de faire de la France un leader dans la recherche et le traitement des maladies rares, offrant ainsi de nouvelles perspectives aux patients concernés.

Données clés

Auteur : [M. Thomas Lam](#)

Circonscription : Hauts-de-Seine (2^e circonscription) - Horizons & Indépendants

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 5973

Rubrique : Maladies

Ministère interrogé : [Santé et accès aux soins](#)

Ministère attributaire : [Santé et accès aux soins](#)

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [15 avril 2025](#), page 2681

Réponse publiée au JO le : [10 juin 2025](#), page 4970