

---

## Colère des acteurs français engagés dans la lutte contre la mucoviscidose

### Le laboratoire Vertex Pharmaceuticals annule certains essais cliniques en France

---

**Des essais cliniques de phase 3<sup>1</sup> du laboratoire Vertex Pharmaceuticals, prévus en 2018, n'auront finalement pas lieu en France. La direction américaine de l'entreprise a annoncé leur annulation le 1<sup>er</sup> février dernier.**

Après avoir mis au point deux premiers traitements novateurs, Kalydeco®<sup>2</sup> et Orkambi®<sup>3</sup>, le laboratoire Vertex Pharmaceuticals a désormais pour objectif de développer un traitement ciblant le plus grand nombre de patients.

Ces essais cliniques concernant l'évaluation de nouvelles thérapies étaient donc fortement attendus par les patients, les familles et les soignants. En janvier dernier, plusieurs Centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM) avaient reçu confirmation qu'ils participeraient à ces nouveaux essais. Ainsi, les patients français auraient pu prendre part aux avancées de la recherche et bénéficier d'un accès précoce au traitement en cas de succès.

*« Vaincre la Mucoviscidose œuvre au quotidien au soutien de la recherche et de l'innovation thérapeutique pour faire gagner la vie. La décision du laboratoire suscite beaucoup d'émotion et une grande déception chez les patients et leurs familles. » - Pierre Guérin, président de Vaincre la Mucoviscidose*



Or, après l'annonce de la bonne nouvelle fin janvier, le laboratoire Vertex Pharmaceuticals fait marche arrière. Les CRCM viennent d'apprendre que les prochains essais n'auront pas lieu en France mais aux Etats-Unis et dans certains pays en Europe. **L'annonce a fait l'effet d'une douche froide pour les patients français, ainsi privés de la possibilité de participer à l'évaluation de ces nouveaux traitements.**



*« Une décision inattendue et désarmante pour les équipes engagées depuis plusieurs années dans les essais cliniques de ce laboratoire, incompréhensible pour les malades; une forme d'instrumentalisation inquiétante pour l'avenir ».*  
Isabelle Durieu, animatrice de la Filière Muco CFTR

Pour les patients souffrant de mucoviscidose, être exclus de ces recherches est une réelle perte de chance. Cette situation, qui sonne comme une condamnation pour les acteurs engagés dans la lutte contre la mucoviscidose en France, est inacceptable tant pour les patients que pour les soignants, et apparaît comme une forme de chantage.

---

<sup>1</sup> Etape la plus avancée de développement d'un médicament, précédant la demande d'autorisation de mise sur le marché

<sup>2</sup> Indiqué pour des patients porteurs d'une mutation gating soit 2,8 % des patients.

<sup>3</sup> Destiné aux patients de 12 ans et plus homozygote pour la mutation F508del, soit une cible d'environ 1500 patients.

« Nous ne cessons de dire aux jeunes atteints de mucoviscidose et à leur famille de ne jamais baisser les bras et de garder l'espoir, notamment grâce aux formidables avancées de la recherche. Les essais du laboratoire Vertex en sont une part essentielle, comment justifier leur arrêt en France ? »

Pierre Lemarchal, président de l'Association Grégory Lemarchal



**La déception est forte, d'autant plus que les CRCM et l'association de patients Vaincre la Mucoviscidose ont jusqu'ici contribué activement à la réussite des précédents essais cliniques menés par le laboratoire.**

La direction américaine de Vertex Pharmaceuticals a expliqué son choix par l'impossibilité de trouver en France une entente concernant le prix pour le traitement Orkambi® pour les patients de plus de 11 ans<sup>4</sup>. Les négociations pour en fixer le prix n'ont pas abouti et c'est aussi la raison qui bloque l'accès à ce traitement pour les enfants de 6 à 11 ans.

Vaincre la Mucoviscidose, l'Association Grégory Lemarchal et la Société française de la mucoviscidose (qui fédère l'ensemble des CRCM) demandent au siège américain de Vertex Pharmaceuticals de reconsidérer sa position, d'honorer ses engagements auprès des CRCM et des patients concernant les essais cliniques prévus en 2018 et de poursuivre ses négociations de remboursement pour Orkambi® avec les autorités françaises afin de garantir aux patients un accès égalitaire à ce médicament.

**Les patients français doivent bénéficier de l'innovation thérapeutique et avoir toutes les chances de faire reculer la maladie !**



« Participer à un essai clinique permet d'accéder à un nouveau médicament potentiellement efficace. Nous sommes aujourd'hui pris en otage par cette situation. C'est un espoir de gagner notre lutte contre la maladie qui s'évanouit. »

Audrey, patiente atteinte de mucoviscidose

**La mucoviscidose est la plus répandue des maladies rares et aussi la plus mortelle. C'est une maladie génétique qui touche principalement les voies respiratoires et le système digestif.**

**En France, elle représente :**

- Plus de 7 200 patients recensés et 127 naissances par an en 2017
- 2 millions de personnes sont porteuses saines du gène (1/30)
- Un âge moyen qui s'élève à 21,9 ans et dont seulement 11% sont âgés de plus de 40 ans
- 2 à 6 heures de soins quotidiens et 20 médicaments en moyenne par jour

**Les co-signataires sont :**

- **Association Grégory Lemarchal** : créée en juin 2007, elle a pour objectif de répondre rapidement et efficacement aux besoins des familles, des hôpitaux et des chercheurs.
- **Filière Muco FTR** : filière mucoviscidose de la FSMR (filiale Santé Maladies Rares) qui anime et coordonne les actions des acteurs engagés dans la lutte contre la mucoviscidose
- **Vaincre la mucoviscidose** : créée en 1965, l'association accompagne les patients et les familles dans tous les aspects de leur vie (recherche, soin, accompagnement des patients et des familles)

**CONTACTS PRESSE :**

**Filière Muco CFTR**

Stéphane Mazur, PhD  
[stephane.mazur@chu-lyon.fr](mailto:stephane.mazur@chu-lyon.fr)  
06 61 06 57 52

**Association Grégory Lemarchal**

Marc Teynier,  
Directeur de la communication  
[marc@association-gregorylemarchal.org](mailto:marc@association-gregorylemarchal.org)  
06 98 53 73 73

**Vaincre la Mucoviscidose**

Elise Sagnard, Attachée de presse  
[esagnard@vaincrelamuco.org](mailto:esagnard@vaincrelamuco.org)  
01 40 78 91 96

<sup>4</sup> Orkambi n'est pas commercialisé à ce jour en France. Les patients y ont accès grâce à un dispositif spécifique, actuellement encore en cours, qui a suivi l'ATU (Autorisation Temporaire d'Utilisation). En Europe, Orkambi est disponible et remboursé en Italie, Allemagne, Irlande, Pays-Bas.