

REVUE DE PRESSE

Juin - Juillet 2021

Accord obtenu sur le remboursement de Kaftrio® & Symkevi®



Contact presse :

Stéphanie Baz

Responsable de la communication externe et des relations médias

sbaz@vaincrelamuco.org 01 40 78 91 96 / 06 74 04 35 92

Sommaire

Communiqué de presse :	5
Dépêche APM	7
Ministère des solidarités et de la santé.....	5
Le Monde	7
Mediapart.....	9
BFMTV.....	11
La Croix.....	13
TopSanté.com.....	15
Yahoo!style	17
TouteLaVeille - acteurs santé.....	19
Yahoo!	20
MSN.....	22
Notre Temps	23
Le Monde pharmaceutique	25
Le Quotidien du médecin	26
AFP.....	28
Lelectronique.com	29
La Croix.....	30
Handicap.fr.....	32
Le brief du Monde.....	34
Faire Face.....	35
L'Indépendant	36
Egora.fr	37
Pourquoidocteur.fr.....	38
Economie Matin.....	40
Sudouest.fr.....	41
La Voix du Nord.....	42
Nice Matin	44
Medscape	45

Santé magazine	46
JIM.fr.....	48
France 3 Auvergne-Rhône-Alpes	50
Ouest-France	54
Ouest-France	56
Var-Matin	57
Mucoviscidose: deux nouveaux traitements remboursés, "soulagement" pour les associations	59
Le Télégramme	62
Le parisien	64
Slate.fr	70

VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Paris, le 28/06/2021



Communiqué de presse :

Après des mois d'attente, Olivier Véran annonce enfin un accord sur le remboursement de Kaftrio® & Symkevi® : les patients atteints de mucoviscidose n'ont plus à attendre !

A l'occasion des 9es Entretiens de la mucoviscidose organisés par Vaincre la Mucoviscidose, le samedi 26 juin 2021, le ministre des Solidarités et de la Santé, Olivier Véran a annoncé qu'un accord entre le Comité économique des produits de santé (CEPS) et le laboratoire Vertex Pharmaceuticals avait été trouvé pour le remboursement de Symkevi® et de Kaftrio®.

Cet accord était très attendu par les associations de patients. Il signifie que dans les prochains jours, les malades éligibles pourront enfin en bénéficier. A terme, cela concerne 5 000 patients, soit près des ¾ des personnes atteintes de mucoviscidose.

Des traitements innovants qui révolutionnent la vie des patients

Ces deux médicaments visent à réparer la protéine CFTR, produit du gène muté, par une combinaison de correcteurs associés à un activateur de cette protéine. Kaftrio®, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance, données appuyées par la Haute Autorité de Santé.

Au cours des mois écoulés, près de 500 patients ont pu en bénéficier du fait de la très grande sévérité de leur insuffisance respiratoire (accès compassionnel).

Tout au long de l'année, Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Grégory Lemarchal ont exercé une pression constante sur les pouvoirs publics et le laboratoire afin de permettre l'accès rapide à ces traitements révolutionnaires pour les patients.

Une pression au point de dénoncer publiquement cette situation inique si elle n'était pas résolue avant la fin du mois de juin. Une vaste opération de plaidoyer avait été préparée à cet effet.

Une pétition ayant regroupé 37 000 signatures en quelques jours

Les associations avaient lancé un appel au gouvernement et au laboratoire, il y a quelques jours, en lançant une pétition pour faire commercialiser le traitement Kaftrio® au plus vite en France. Cette action s'était accompagnée par la diffusion de nombreux témoignages vidéos de patients en attente de traitement.

Il aura donc fallu attendre plus de 900 jours et 300 jours à compter de l'autorisation de mise sur le marché (AMM) en Europe, respectivement pour Symkevi® et Kaftrio®, pour que ces médicaments

soient enfin accessibles en France, alors qu'ils l'étaient déjà dans une dizaine de pays européens (dont l'Allemagne, la Grande Bretagne, la Suisse et le Luxembourg).

Un véritable soulagement pour les associations : « Vivre avec la mucoviscidose va pouvoir s'inscrire dans la durée pour une majorité de patients »

« *Comment accepter d'attendre quand sa vie est en jeu, et que l'on voit un traitement potentiel dans une vitrine fermée à clé ?* » a déclaré Pierre Lemarchal, président de l'Association Grégory Lemarchal.

« *C'est avec un immense soulagement et une intense émotion que l'information a été reçue par la communauté des patients. Beaucoup de larmes ont coulé, car l'espoir de faire un jour de la mucoviscidose une maladie chronique stabilisée est fondé* » a réagi Pierre Foucaud, président de Vaincre la Mucoviscidose.

Les associations tiennent à remercier sans réserve la communauté scientifique pour ses efforts sans relâche, le laboratoire Vertex Pharmaceuticals et les autorités de santé françaises dans leur volonté de surmonter les obstacles pour le bien commun. Le remboursement de ces médicaments innovants constitue un beau marqueur de la solidarité nationale.

Le combat doit continuer pour les associations

Dès à présent, les associations se tournent résolument vers les malades qui n'ont pas la chance de pouvoir bénéficier d'une telle avancée thérapeutique. En premier lieu, à toutes celles et ceux qui nous ont quittés trop tôt. Mais aussi aux 15 % des personnes atteintes de mucoviscidose dont les profils génétiques ne sont pas éligibles à ces deux médicaments ainsi qu'aux patients greffés pulmonaires

C'est dans ces directions que les associations vont concentrer leur soutien financier à la recherche.

« **Notre détermination est sans faille pour que chaque patient puisse bénéficier d'un traitement efficace contre la mucoviscidose et un jour la guérir** » concluent les présidents des deux associations, Pierre Foucaud & Pierre Lemarchal.



Créée en 1965 par des parents de jeunes patients et des soignants, **Vaincre la Mucoviscidose** se consacre à l'accompagnement des malades et de leur famille dans chaque aspect de leur vie bouleversée par la maladie. L'association organise son action autour de quatre missions prioritaires : guérir, soigner, améliorer la qualité de vie, et informer et sensibiliser. Vaincre la Mucoviscidose est une association reconnue d'utilité publique, agréée par le Comité de la Charte du Don en Confiance et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie. Elle est le premier financeur associatif pour la recherche sur la mucoviscidose.

Grégory Lemarchal était un artiste accompli mais c'était aussi un jeune homme atteint d'un mal incurable, contre lequel il luttait sans jamais baisser les bras. **L'Association Grégory Lemarchal** a été créée en juin 2007 après son décès, à 24 ans. Sa famille a voulu une association à taille humaine, de proximité, basée sur sa connaissance intime et douloureuse de la maladie pour pouvoir répondre rapidement et efficacement aux besoins des familles, des hôpitaux et des chercheurs.



Contacts presse :

Vaincre la Mucoviscidose : Stéphanie Baz, sbaz@vaincrelamuco.org , 06.74.04.35.92
Association Gregory Lemarchal : Pierre Lemarchal, pierre.agl@free.fr , 06.60.29.31.76

Dépêche APM

Mucoviscidose: accord entre Vertex et le CEPS sur les prix de Kaftrio* et Symkevi*

Mots-clés : #produits de santé #pneumo #protection sociale #maladies rares #patients-usagers #CEPS #accès au marché #prix #remboursement #Vertex #accès aux soins #pédiatrie #assurance maladie #ministère-santé

PARIS, 28 juin 2021 (APMnews) - Un accord a été trouvé entre Vertex et le Comité économique des produits de santé (CEPS) sur les prix de deux médicaments du laboratoire spécialisé dans la mucoviscidose, Symkevi* (tézacaftor + ivacaftor) et Kaftrio* (élexacaftor + tézacaftor + ivacaftor), ouvrant la voie à leur remboursement après des mois de négociations, a annoncé le ministre des solidarités et de la santé, Olivier Véran, samedi lors des 9es Entretiens de la mucoviscidose organisés par Vaincre la Mucoviscidose.

"Grâce à cet accord, et dans les tous prochains jours, seront donc inscrits au remboursement et disponibles dans les officines ces deux médicaments innovants", a déclaré le ministre dans une allocution vidéo mise en ligne sur YouTube par l'association. La prise en charge doit être actée par la publication d'un arrêté au Journal officiel, rappelle-t-on.

Olivier Véran a salué une "étape absolument essentielle" pour les patients, et reconnu "l'attente qui a été insupportable" des associations, et qui est "liée à des négociations serrées, [un laboratoire] avec lequel nous avons dû négocier un certain nombre de choses". "Le coût du traitement n'est pas marginal, mais c'est un traitement efficace qui améliorera considérablement la vie de milliers de malades", a-t-il poursuivi.

La société américaine Vertex a obtenu des autorisations de mise sur le marché (AMM) européennes pour Symkevi* en novembre 2018 et pour Kaftrio* en août 2020, pour utilisation à partir de 12 ans.

Les négociations sur le prix de Symkevi* avaient débuté en juin 2020 et les associations s'impatientaient et craignaient que ce dossier, et surtout celui de Kaftrio*, s'éternisent, comme cela avait été le cas avec Orkambi* (lumacaftor + ivacaftor) (cf [dépêche du 01/03/2021 à 12:05](#)).

La commission de la transparence (CT) de la Haute autorité de santé (HAS) a considéré que Symkevi* associée à Kalydeco* (ivacaftor, Vertex) apportait une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV), comme Orkambi*, chez les patients homozygotes pour F508del et une ASMR modérée (niveau III) pour les patients hétérozygotes. La commission d'évaluation économique et de santé publique (Ceesp) avait recommandé fin 2020 une importante baisse de prix par rapport aux revendications de Vertex, rappelle-t-on (cf [dépêche du 17/11/2020 à 15:32](#)).

Pour Kaftrio*, la CT a accordé une ASMR importante (niveau II) en association avec Kalydeco* chez les patients à partir de 12 ans, comme Kalydeco* seul (cf [dépêche du 27/11/2020 à 12:21](#)), mais la Ceesp a "invalidé" le calcul d'efficacité présenté par Vertex dans un avis validé en février (cf [dépêche du 18/03/2021 à 16:11](#)).

Selon le directeur général de Vaincre la mucoviscidose, Thierry Nouvel, le prix catalogue aux Etats-Unis pour Kaftrio*/Trikafta* est d'environ 288.000 \$ par an et par patient.

5.000 patients concernés

La prise en charge de Symkevi* et Kaftrio* concerne à terme "5.000 patients" en France, "soit près des trois

quarts des personnes atteintes de mucoviscidose", a salué l'association dans un communiqué diffusé lundi, pointant l'obtention d'un accord "très attendu".

"Il a donc fallu attendre plus de 900 jours et 300 jours à compter de l'autorisation de mise sur le marché (AMM) en Europe, respectivement pour Symkevi* et Kafrio*, pour que ces médicaments soient enfin accessibles en France, alors qu'ils l'étaient déjà dans une dizaine de pays européens (dont l'Allemagne, la Grande-Bretagne, la Suisse et le Luxembourg)", a-t-elle regretté.

Elle a précisé qu'au cours des derniers mois, "près de 500 patients" ont pu bénéficier des traitements dans le cadre d'un accès compassionnel "du fait de la très grande sévérité de leur insuffisance respiratoire".

Elle a rappelé la "pression constante" qu'elle a exercée "sur les pouvoirs publics et le laboratoire" pour permettre un accès plus rapide aux patients, "au point de dénoncer publiquement cette situation inique si elle n'était pas résolue avant la fin du mois de juin".

Contacté lundi par APMnews, Vertex n'a pas souhaité communiquer sur le prix obtenu en France, renvoyant à la publication des textes de prise en charge au Journal officiel.

rm/eh/APMnews

[RM3QVEQHH]

INDUSTRIES DE SANTE PNEUMO-ALLERGO-DERMATO

Aucune des informations contenues sur ce site internet ne peut être reproduite ou rediffusée sans le consentement écrit et préalable d'APM International. Les informations et données APM sont la propriété d'APM International.

©1989-2021 APM International -

https://www.apmnews.com/story.php?objet=369536&idmail=.O.oQ4xQ03Sib7LrDKvHBQowKoQNx0500p_7U83TNAcegKDDUMkPXfCWDRRGF5YRQw-smLHmGVpgZJL8hl-HO8noRBuiso54PjVvBjAPSDqLCJLkF3QzQ8De0B8xILdoqvHDsDH3okU8MhE-z9PUTb7yiISYXKDMWnkhOPja3FNsAtsh8zugowlc-Ou-E1yJRsiESI-oslTFUe4YNQw7sibXSj5mRB8mL59FSt6hYjYKXYTfyB8P0sELuKJpiHhVuMZ



Ministère des solidarités et de la santé

Le ministre des Solidarités et de la Santé annonce le remboursement de deux nouveaux traitements dans la prise en charge des patients atteints de mucoviscidose



À la demande d'Olivier Véran, ministre des Solidarités et de la Santé, le Comité économique des produits de santé (CEPS) a mené une négociation avec le laboratoire VERTEX sur le prix de deux spécialités pharmaceutiques KAFTRIO® et SYMKEVI®, utilisées en association avec KALYDECO®. La négociation a abouti à un accord permettant de prendre en charge ces traitements à 100% par l'Assurance maladie. Le remboursement de ces médicaments interviendra dans les tous prochains jours.

Aujourd'hui un enfant naît tous les trois jours atteint de mucoviscidose et la maladie bouleverse encore le quotidien de nombreuses familles et victimes. **L'arrivée de traitements innovants constitue ainsi un véritable espoir.**

Un accord sur le prix vient d'être trouvé pour les deux spécialités pharmaceutiques KAFTRIO® et SYMKEVI® en association avec KALYDECO® du laboratoire VERTEX.

KAFTRIO® et SYMKEVI® en association avec KALYDECO® se sont vus octroyer par la Haute autorité de Santé (HAS) une amélioration du service médical rendu (ASMR) respectivement de niveau II et III dans la prise en charge thérapeutique de la mucoviscidose chez les enfants de plus de 12 ans, adolescents et adultes. Des ASMR de niveau II et III attestent un gain supplémentaire d'efficacité, de qualité de vie et de tolérance démontrés dans les essais cliniques du point de vue des patients ou des professionnels de santé, par rapport aux médicaments existants.

Le ministre des Solidarités et de la Santé a pu rencontrer les associations de patients à l'occasion de cet accord pour à la fois les remercier de leur mobilisation au quotidien et leur en annoncer la teneur : « Cet accord sur le prix de deux nouvelles spécialités pharmaceutiques est une formidable source d'espoir pour les patients. Cela signifie très concrètement que les patients bénéficieront de traitements innovants et efficaces, leur donnant les meilleures chances de qualité de vie et d'augmentation d'espérance de vie ».

Grâce à cet accord, dans les tous prochains jours, seront inscrits au remboursement et disponibles dans les pharmacies d'offices ces deux nouveaux traitements innovants.

Contact presse

Cabinet d'Olivier Véran

Ministère des Solidarités et de la Santé
sec.presse.solidarites-sante@sante.gouv.fr



Le Monde

Mucoviscidose : la Sécurité sociale annonce le remboursement de deux traitements



- Société
- Santé

Les deux médicaments, Kafrio et Symkevi, agissent sur les « causes sous-jacentes de la maladie » en réparant les défauts d'une protéine, CFTR, causés par une mutation génétique.

Kafrio et Symkevi, deux traitements du laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals pour les malades atteints de **mucoviscidose**, vont être remboursés par la Sécurité sociale, a annoncé le ministère de la santé, lundi 28 juin.

« Un accord sur le prix vient d'être trouvé » pour les deux médicaments, « permettant de prendre en charge ces traitements à 100 % par l'Assurance-maladie », annonce le ministère dans un communiqué . « Le remboursement de ces médicaments interviendra dans les tout prochains jours » . Ces médicaments, en association avec un autre traitement, Kalydeco, pourront être utilisés pour les patients âgés de 12 ans et plus.

Cette décision représente « un véritable soulagement » , ont réagi dans un communiqué Vaincre la **mucoviscidose** et l'Association Grégory Lemarchal, qui avaient lancé il y a quelques jours une pétition « pour faire commercialiser le traitement Kafrio au plus vite en France » . « L'espoir de faire un jour de la **mucoviscidose** une maladie chronique stabilisée est fondée » , a commenté Pierre Foucault, président de Vaincre la **mucoviscidose** .

« Kafrio, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance » , expliquent les associations.

Je suis extrêmement heureux d'avoir été présent aux côtés de @vaincrelamuco et @A_GregLemarchal pour confirmer l'ac... <https://t.co/vHj1CIXGDr>
— olivierveran (@Olivier V éran)

La **mucoviscidose** est une maladie d'origine génétique rare et incurable qui touche environ 7 100 personnes en France. Elle fait sécréter du mucus anormalement épais, ce qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif. Elle était autrefois souvent fatale aux enfants et aux adolescents, mais l'espérance de vie s'est progressivement

allongée grâce aux traitements.

Les traitements actuels sont toutefois très lourds : kinésithérapie respiratoire, aérosols, médicaments... Beaucoup de malades subissent des infections pulmonaires à cause de l'encombrement des bronches et doivent être hospitalisés plusieurs fois par an. Des greffes de poumons peuvent allonger la durée de vie des personnes atteintes de la maladie.

Réparer les défauts de la protéine CFTR

« *Plutôt que d'agir sur les symptômes* », Kaftrio et Symkevi agissent sur les « *causes sous-jacentes de la maladie* » en réparant les défauts d'une protéine, CFTR [pour l'anglais *cystic fibrosis transmembrane conductance regulator*], causés par une mutation génétique, explique le laboratoire. « *Cette avancée médicale est le fruit de plus de vingt ans d'efforts de recherche et de développement* », souligne dans un communiqué Nicolas Renard, directeur général de Vertex France.

Symkevi a reçu une autorisation de mise sur le marché dans l'Union européenne (UE) en octobre 2018 ; en France, la Haute Autorité de santé (HAS) a rendu un avis favorable à son remboursement en mai 2020, jugeant qu'il permettait une amélioration « *modérée* » du service médical rendu, en association avec Kalydeco.

Kaftrio, commercialisé aux Etats-Unis sous le nom de Trikafta depuis octobre 2019, avait obtenu le feu vert de l'UE en août 2020 et, en novembre, la HAS a estimé « *importante* » l'amélioration du service médical rendu, en association avec Kalydeco.

« *Il aura donc fallu attendre plus de neuf cents jours et trois cents jours à compter de l'autorisation de mise sur le marché en Europe, respectivement pour Symkevi et Kaftrio, pour que ces médicaments soient enfin accessibles en France, alors qu'ils l'étaient déjà dans une dizaine de pays européens* », déplorent les deux associations.

« *Au cours des mois écoulés, près de 500 patients ont pu en bénéficier du fait de la très grande sévérité de leur insuffisance respiratoire* », grâce à une procédure d'accès compassionnel, précisent-elles.

Article réservé à nos abonnés Lire aussi [mucoviscidose_6018754_1650684.html](#) data-premium="1"> Percée thérapeutique contre la [mucoviscidose](#)

Le Monde avec AFP

[mucoviscidose](#)

-la-securite-sociale-annonce-le-remboursement-de-deux-traitements_6086086_3224.html?contributions" rel="nofollow"> Contribuer

Services



Mediapart

Mucoviscidose: deux nouveaux traitements remboursés, « soulagement » pour les associations

Deux nouveaux traitements pour les malades atteints de **mucoviscidose** vont être remboursés par la Sécurité sociale, a annoncé lundi le ministère de la Santé, un « soulagement » car l'un d'entre eux constitue « une véritable révolution thérapeutique », réagissent deux associations. Deux nouveaux traitements pour les malades atteints de **mucoviscidose** vont être remboursés par la Sécurité sociale, a annoncé lundi le ministère de la Santé, un « soulagement » car l'un d'entre eux constitue « une véritable révolution thérapeutique », réagissent deux associations.

« Un accord sur le prix vient d'être trouvé » pour les deux médicaments, Kaftrio et Symkevi, du laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, « permettant de prendre en charge ces traitements à 100% par l'Assurance maladie », indique le ministère dans un communiqué. « Le remboursement de ces médicaments interviendra dans les tous prochains jours ».

Ces médicaments, en association avec un autre traitement, Kalydeco, pourront être utilisés pour les patients âgés de 12 ans et plus.

Cette décision représente « un véritable soulagement », ont réagi dans un communiqué Vaincre la **mucoviscidose** et l'association Grégory Lemarchal, qui avaient lancé il y a quelques jours une pétition « pour faire commercialiser le traitement Kaftrio au plus vite en France ».

« L'espoir de faire un jour de la **mucoviscidose** une maladie chronique stabilisée est fondée », a commenté **Pierre Foucaud**, président de Vaincre la **Mucoviscidose**.

« Kaftrio, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance », expliquent les associations.

La **mucoviscidose** est une maladie d'origine génétique rare et incurable qui touche environ 7.100 personnes en France. Elle fait sécréter du mucus anormalement épais, ce qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif.

Elle était autrefois souvent fatale aux enfants et adolescents, mais l'espérance de vie s'est progressivement allongée grâce aux traitements.

Les traitements actuels sont toutefois très lourds: kinésithérapie respiratoire, aérosols, médicaments... Beaucoup de malades subissent des infections pulmonaires à cause de l'encombrement des bronches et doivent être hospitalisés plusieurs fois par an. Des greffes de poumons peuvent allonger la durée de vie.

« Plutôt que d'agir sur les symptômes », Kaftrio et Symkevi agissent sur les « causes sous-jacentes de la maladie » en réparant les défauts d'une protéine, CFTR, causés par une mutation génétique, explique le laboratoire.

« Cette avancée médicale est le fruit de plus de 20 ans d'efforts de recherche et de développement », souligne dans un communiqué Nicolas Renard, directeur général de Vertex France.

Symkevi a reçu une autorisation de mise sur le marché dans l'Union européenne en octobre 2018 et la Haute autorité de santé (HAS) a rendu un avis favorable à son remboursement en mai 2020, jugeant qu'il permettait une amélioration « modérée » du

service médical rendu, en association avec Kalydeco.

Kaftrio, déjà commercialisée aux Etats-Unis sous le nom de Trikafta depuis octobre 2019, a lui obtenu le feu vert de l'UE en août 2020 et la HAS a estimé en novembre « importante » l'amélioration du service médical rendu, en association avec Kalydeco.

« Il aura donc fallu attendre plus de 900 jours et 300 jours à compter de l'autorisation de mise sur le marché (AMM) en Europe, respectivement pour Symkevi et Kaftrio, pour que ces médicaments soient enfin accessibles en France, alors qu'ils l'étaient déjà dans une dizaine de pays européens », déplorent les deux associations.

« Au cours des mois écoulés, près de 500 patients ont pu en bénéficier du fait de la très grande sévérité de leur insuffisance respiratoire », grâce à une « procédure d'accès compassionnel », précisent-elles.

abb/fmp/zi

Mediapart n'a pas participé à la rédaction de cette dépêche, qui fait partie du flux automatisé de l'Agence France-Presse (AFP). L'AFP est une agence de presse mondiale d'origine française fournissant des informations rapides, vérifiées et complètes sur les événements qui font l'actualité nationale et internationale, utilisables directement par tous types de médias. En savoir plus



BFMTV

Mucoviscidose: deux nouveaux traitements seront désormais remboursés



Un accord a été trouvé entre le ministère de la Santé et le laboratoire américain Vertex. - Philippe Merle - AFP

Ces médicaments innovants pourront être utilisés chez les enfants de plus de 12 ans, les adolescents et les adultes atteints de mucoviscidose.

Deux nouveaux traitements innovants pour les malades atteints de mucoviscidose vont être remboursés par la Sécurité sociale, a annoncé lundi le ministère de la Santé, un "soulagement" car l'un d'entre eux constitue "une véritable révolution thérapeutique", réagissent deux associations. "Un accord sur le prix vient d'être trouvé pour les deux spécialités pharmaceutiques Kaftrio et Symkevi" du laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, "permettant de prendre en charge ces traitements à 100% par l'Assurance maladie", indique le ministère dans un communiqué.

"Grâce à cet accord, dans les tous prochains jours, seront donc inscrits au remboursement et disponibles dans les officines ces deux nouveaux médicaments innovants (...). Ces deux médicaments seront disponibles dans toutes les pharmacies de ville pour tous les patients éligibles", a déclaré le ministre de la Santé, Olivier Véran, à l'association Vaincre la Mucoviscidose. Le ministre a évoqué des "négociations serrées" avec le laboratoire américain.

Ces médicaments, en association avec un autre traitement, Kalydeco, pourront être utilisés chez les enfants de plus de 12 ans, les adolescents et les adultes. Des traitements onéreux: selon un avis de la commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP) publié en février 2021, le coût annuel du Kaftrio s'élève à 224.066 euros par patient en Allemagne et à 200.050 livres sterling (234.000 euros) au Royaume-Uni. "L'arrivée de Kaftrio multiplierait par deux le budget de l'assurance maladie par rapport à la prise en charge actuelle", notait la CEESP.

Cette décision représente "un véritable soulagement", ont réagi dans un communiqué Vaincre la mucoviscidose et l'association Grégory Lemarchal, qui avaient lancé il y a quelques jours une pétition "pour faire commercialiser le traitement Kaftrio au plus vite en France".

"L'espoir de faire un jour de la mucoviscidose une maladie chronique stabilisée est

fondée", a commenté **Pierre Foucaud**, président de Vaincre la **Mucoviscidose**. "Une véritable révolution thérapeutique"

"Kaftrio, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance", expliquent les associations. La **mucoviscidose**, maladie d'origine génétique rare et incurable, fait sécréter du mucus anormalement épais, ce qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif.

Elle était autrefois souvent fatale aux enfants et adolescents, mais l'espérance de vie s'est progressivement allongée grâce aux traitements. Les traitements actuels sont toutefois très lourds: kinésithérapie respiratoire, aérosols, médicaments...

Beaucoup de malades subissent des infections pulmonaires à cause de l'encombrement des bronches et doivent être hospitalisés plusieurs fois par an. Des greffes de poumons peuvent allonger la durée de vie.



La Croix

FRANCE

Un «traitement révolutionnaire» contre la mucoviscidose enfin remboursé

— Le ministre de la santé, Olivier Véran, a promis l'accès début juillet du Kaftrio aux patients atteints de mucoviscidose.

— Le traitement pourrait bénéficier à 80% des malades français.

Après de longs de mois de mobilisation, de pétitions et interpellations sur les réseaux sociaux, les Français atteints de mucoviscidose ont lâché un immense « ouf de soulagement ». Samedi 26 juin, le ministre de la santé, Olivier Véran, a informé les associations engagées contre cette maladie génétique du remboursement prochain du Kaftrio.

Produit par le laboratoire américain Vertex, ce médicament suscite depuis son autorisation de mise sur le marché (AMM) européen, en août 2020, l'attente de milliers de patients. « C'est le meilleur traitement identifié à ce jour pour soigner, et une source monumentale d'espoir pour les malades, salue Olivier Véran. Il était indispensable que la France permette son accès par le biais de la solidarité nationale. »

Dixième pays européen à rembourser le Kaftrio, la France sort d'une « négociation serrée » sur le prix avec Vertex. Dans un avis publié en février, la Haute Autorité de santé (HAS) s'interrogeait sur la « soutenabilité » financière

d'un produit au coût estimé à 280 000 € par patient et par an aux États-Unis. « Personne ne comprendrait qu'un pays comme la France ne mette pas à disposition des patients un traitement qui pourrait leur sauver la vie ou leur faire gagner des années d'espérance de vie en bonne santé », justifie Olivier Véran, ajoutant avoir obtenu un « prix soutenable pour l'assurance-maladie ». Et le ministre de promettre un « remboursement effectif début juillet », sans donner davantage de détails.

Le Kaftrio n'est pas la première thérapie protéique accessible contre la mucoviscidose. En 2012, déjà, un traitement visait la correction de la protéine CFTR, à l'origine de la maladie, mais il concernait moins de 5% des patients. Destinée à ceux atteints de la mutation la plus courante (DeltaF508), la solution de Vertex pourrait à terme être administrée à près de 80% des 7 500 malades de la mucoviscidose. Le ministre de la santé estime à 4 000 le nombre de Français pouvant bé-

néficier du remboursement dès juillet.

Environ 500 d'entre eux, parmi les plus sévèrement touchés, y avaient déjà recours dans le cadre d'un programme d'autorisation temporaire d'utilisation (ATU) ouvert en décembre 2019. « On a pu éviter à certains une transplantation pulmonaire alors qu'ils étaient déjà sur les listes d'attente pour l'opération », rapporte Dominique Hubert. Cette pneumologue au Centre de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM) à l'hôpital Cochin à Paris confirme la « révolution » permise par le Kaftrio, crédité d'une amélioration moyenne de la capacité respiratoire de 14% : « Le patient lui-même constate un net changement de vie : il ne tousse plus, ne crache plus, est moins essoufflé. On observe aussi des prises de poids, ainsi qu'une diminution des cures d'antibiotiques et des hospitalisations. »

Certes, il n'est pas encore question de guérison. « Mais on peut envisager à partir de là que la mucoviscidose ne soit plus une maladie aiguë évoluant par exacerbation



en permanence, mais une maladie chronique stabilisée», espère Dominique Hubert. « Grâce au Kaftrio, on touche pour la première fois au mécanisme intime de la maladie, avec un effet spectaculaire sur tous les organes touchés », se réjouit Pierre Foucaud, président de l'association Vaincre la mucoviscidose.

Corentin Lesueur

Un accès simplifié aux médicaments innovants

Actée par la loi de financement de la Sécurité sociale 2021, la réforme de l'accès précoce et compassionnel des médicaments, en vigueur dès le 1^{er} juillet, permet la mise à disposition anticipée de certains médicaments « *présumés innovants* » et leur remboursement par l'assurance-maladie. Ces médicaments, dont l'efficacité et la sécurité doivent elles aussi être fortement présumées, devront répondre à plusieurs critères, notamment celui de traiter une maladie grave, rare ou invalidante, pour laquelle il n'existe pas de traitement approprié ou dont l'accès ne peut pas être différé en raison de l'état de santé du patient.

Ces autorisations seront délivrées par la Haute Autorité de santé (HAS) et remplaceront les dispositifs d'autorisation temporaire d'utilisation (ATU) et de recommandation temporaire d'utilisation (RTU), jusque-là encadrés par l'Agence nationale de sécurité du médicament (ANSM).

Dixième pays européen à rembourser le Kaftrio, la France sort d'une « négociation serrée » sur le prix avec le laboratoire américain Vertex.



TopSanté.com

Mucoviscidose : 2 nouveaux traitements vont être remboursés

mucoviscidose

-nouveaux-traitements-vont-etre-rembourses.jpg?alias=exact1024x768_1" alt="2 nouveaux traitements contre la muco"

src="https://file1.topsante.com/var/topsante/storage/images/1/3/4/0/1340815/

mucoviscidose

var/topsante/storage/images/1/3/4/0/1340815/ mucoviscidose

-nouveaux-traitements-vont-etre-rembourses.jpg?alias=exact1024x768_1"

id="23e9aad7">

© Shutterstock

Par Catherine Cordonnier Le 28 juin 2021 à 16h28

• mucoviscidose "> Mucoviscidose

- Maladie génétique
- Médecine

Le ministre de la Santé, Olivier Véran, vient d'autoriser le remboursement de deux traitements innovants contre la mucoviscidose : Kafrio et Symkevi.

A la demande du ministre de la Santé Olivier Véran, le Comité économique des produits de santé (CEPS) a mené des négociations avec le laboratoire américain Vertex sur le prix de deux médicaments (Kafrio® et Symkevi®) prescrits contre la mucoviscidose. Le ministre de la Santé a annoncé ce week-end que la négociation venait d'aboutir à un accord sur le prix, ce qui permettra la prise en charge à 100% de ces deux traitements par l'Assurance maladie.

Sur le même sujet

mucoviscidose .jpg?alias=square303x303&size=x100&format=jpeg"

data-src="https://file1.topsante.com/var/topsante/storage/images/1/3/3/5/1335387/temoi gnage-fureur-vivre-malgre- mucoviscidose .

jpg?alias=square303x303&size=x100&format=jpeg" alt="Julie, 25 ans, 2 enfants et la

mucoviscidose " data-title="Julie, 25 ans, 2 enfants et la mucoviscidose "

id="ce9092c">

Le remboursement de ces médicaments devrait être effectif dans les tous prochains jours a affirmé le ministre lors des 9e Entretiens de la mucoviscidose organisés par l'association Vaincrelamuco.

Un accord de remboursement a été trouvé pour #Symkevi® et #Kafrio® !

A terme, 5 000 patients éligibles pourront en bénéficier !

Un immense MERCI à @olivierveran et le @VertexPharma et aux 37 458 personnes ayant signé la pétition ! @A_GregLemarchalhttps://t.co/k9QjVeCLaT

— Vaincre la Muco (@vaincrelamuco) June 28, 2021 Une amélioration par rapport aux médicaments existants

Kafrio® et Symkevi®, prescrits en association avec le médicament Kalydeco® se sont vus octroyer par la Haute Autorité de santé (HAS) une amélioration du service médical rendu (ASMR) respectivement de niveau II et III dans mucoviscidose /

mucoviscidose -questions-recherche-638335" title="la prise en charge thérapeutique

de la mucoviscidose " target="_self">la prise en charge thérapeutique de la

mucoviscidose chez les enfants de plus de 12 ans, adolescents et adultes. Des ASMR de niveau II et III attestent un gain supplémentaire d'efficacité, de qualité de vie et de tolérance démontrés dans les essais cliniques du point de vue des patients ou des professionnels de santé, par rapport aux médicaments existants. A terme ce son 5000

patients qui vont pouvoir bénéficier de ces traitements innovants.

"Cela signifie très concrètement que les patients bénéficieront de traitements innovants et efficaces, leur donnant les meilleures chances de qualité de vie et d'augmentation d'espérance de vie" a déclaré le ministre de la Santé à l'association de patients, qui s'était largement mobilisée pour que le Kafrio soit présent dans les officines françaises, comme il l'est déjà en Allemagne, au Danemark, en Irlande, en Suisse, en Finlande ou en Slovénie.

A lire aussi :

• [mucoviscidose / mucoviscidose](#)

-un-traitement-se-cache-peut-etre-dans-les-etoiles-de-mer-614535" title="

Mucoviscidose : un traitement se cache peut-être dans les étoiles de mer"

target="_self"> **Mucoviscidose** : un traitement se cache peut-être dans les étoiles de mer

• [mucoviscidose / mucoviscidose](#)

-un-essai-de-retablissement-des-fonctions-respiratoires-622506" title=" **Mucoviscidose**

: un essai de rétablissement des fonctions respiratoires" target="_self"> **Mucoviscidose**

: un essai de rétablissement des fonctions respiratoires

• [mucoviscidose / mucoviscidose](#) -le-fonctionnement-des-bacteries-elucide-71763"

title=" **Mucoviscidose** : le fonctionnement des bactéries élucidé" target="_self"> .

Mucoviscidose : le fonctionnement des bactéries élucidé

Inscrivez-vous à la Newsletter de Top Santé pour recevoir gratuitement les dernières actualités



Yahoo!style

Mucoviscidose : 2 nouveaux traitements vont être remboursés



28 juin 2021, 4:28 PM · 1 min de lecture

A la demande du ministre de la Santé Olivier Véran, le Comité économique des produits de santé (CEPS) a mené des négociations avec le laboratoire américain Vertex sur le prix de deux médicaments (Kaftrio® et Symkevi®) prescrits contre la mucoviscidose. Le ministre de la Santé a annoncé ce week-end que la négociation venait d'aboutir à un accord sur le prix, ce qui permettra la prise en charge à 100% de ces deux traitements par l'Assurance maladie.

Le remboursement de ces médicaments devrait être effectif dans les tous prochains jours a affirmé le ministre lors des 9e Entretiens de la mucoviscidose organisés par l'association Vaincrelamuco.

Un accord de remboursement a été trouvé pour #Symkevi® et #Kaftrio® !

A terme, 5 000 patients éligibles pourront en bénéficier !

Un immense MERCI à @olivierveran et le @VertexPharma et aux 37 458 personnes ayant signé la pétition ! @A_GregLemarchal<https://t.co/k9QjVeCLaT>

— Vaincre la Muco (@vaincrelamuco) June 28, 2021

Une amélioration par rapport aux médicaments existants

Kaftrio® et Symkevi®, prescrits en association avec le médicament Kalydeco® se sont vus octroyer par la Haute Autorité de santé (HAS) une amélioration du service médical rendu (ASMR) respectivement de niveau II et III dans la prise en charge thérapeutique de la mucoviscidose chez les enfants de plus de 12 ans, adolescents et adultes. Des

ASMR de niveau II et III attestent un gain supplémentaire d'efficacité, de qualité de vie
(...)

[mucoviscidose/remboursement-traitement-mucoviscidose-644677" rel="nofollow noopener" target="_blank" data-ytk="slk:Lire la suite sur Topsante.com">Lire la suite sur
Topsante.com](#)

Covid-19 : Bientôt des tests PCR et antigéniques non remboursés ?

Trousse à pharmacie : qu'est-ce que j'emporte en vacances ?

Vaccin AstraZeneca : que sait-on des (rares) cas de syndrome de Guillain-Barré ?

Pourquoi faut-il arrêter de fumer avant une intervention chirurgicale ?

Une simple analyse d'urine pour détecter les tumeurs cérébrales



TouteLaVeille - acteurs santé

Le ministre des Solidarités et de la Santé annonce le remboursement de deux nouveaux traitements dans la prise en charge des patients atteints de mucoviscidose (Communiqué)

28/06/2021

Émis par : Cabinet d'Olivier Véran

A la demande d'Olivier VERAN, Ministre des solidarités et de la santé, le Comité économique des produits de santé (CEPS) a mené une négociation avec le laboratoire VERTEX sur le prix de deux spécialités pharmaceutiques KAFTRIO® et SYMKEVI®, utilisées en association avec KALYDECO®. La négociation a abouti à un accord permettant de prendre en charge ces traitements à 100% par l'Assurance maladie. Le remboursement de ces médicaments interviendra dans les tous prochains jours.

Aujourd'hui un enfant naît tous les trois jours atteint de mucoviscidose et la maladie bouleverse encore le quotidien de nombreuses familles et victimes. L'arrivée de traitements innovants constitue ainsi un véritable espoir. Un accord sur le prix vient d'être trouvé pour les deux spécialités pharmaceutiques KAFTRIO® et SYMKEVI® en association avec KALYDECO® du laboratoire VERTEX.

KAFTRIO® et SYMKEVI® en association avec KALYDECO® se sont vus octroyer par la Haute Autorité de santé (HAS) une amélioration du service médical rendu (ASMR) respectivement de niveau II et III dans la prise en charge thérapeutique de la mucoviscidose chez les enfants de plus de 12 ans, adolescents et adultes. Des ASMR de niveau II et III attestent un gain supplémentaire d'efficacité, de qualité de vie et de tolérance démontrés dans les essais cliniques du point de vue des patients ou des professionnels de santé, par rapport aux médicaments existants.

Le Ministre des Solidarités et de la Santé a pu rencontrer les associations de patients à l'occasion de cet accord pour à la fois les remercier de leur mobilisation au quotidien et leur en annoncer la teneur : « *cet accord sur le prix de deux nouvelles spécialités pharmaceutiques est une formidable source d'espoir pour les patients. Cela signifie très concrètement que les patients bénéficieront de traitements innovants et efficaces, leur donnant les meilleures chances de qualité de vie et d'augmentation d'espérance de vie* ».

Grâce à cet accord, dans les tous prochains jours, seront inscrits au remboursement et disponibles dans les pharmacies d'officines ces deux nouveaux traitements innovants.

Contact presse :

Cabinet d'Olivier Véran

Ministère des Solidarités et de la Santé

sec.presse.solidarites-sante@sante.gouv.fr



Yahoo!

Mucoviscidose : 2 nouveaux traitements vont être remboursés



28 juin 2021, 4:28 PM · 1 min de lecture

A la demande du ministre de la Santé Olivier Véran, le Comité économique des produits de santé (CEPS) a mené des négociations avec le laboratoire américain Vertex sur le prix de deux médicaments (Kaftrio® et Symkevi®) prescrits contre la mucoviscidose. Le ministre de la Santé a annoncé ce week-end que la négociation venait d'aboutir à un accord sur le prix, ce qui permettra la prise en charge à 100% de ces deux traitements par l'Assurance maladie.

Le remboursement de ces médicaments devrait être effectif dans les tous prochains jours a affirmé le ministre lors des 9e Entretiens de la mucoviscidose organisés par l'association Vaincrelamuco.

Un accord de remboursement a été trouvé pour #Symkevi® et #Kaftrio® !

A terme, 5 000 patients éligibles pourront en bénéficier !

Un immense MERCI à @olivierveran et le @VertexPharma et aux 37 458 personnes ayant signé la pétition ! @A_GregLemarchal<https://t.co/k9QjVeCLaT>

— Vaincre la Muco (@vaincrelamuco) June 28, 2021

Une amélioration par rapport aux médicaments existants

Kaftrio® et Symkevi®, prescrits en association avec le médicament Kalydeco® se sont vus octroyer par la Haute Autorité de santé (HAS) une amélioration du service médical rendu (ASMR) respectivement de niveau II et III dans la prise en charge thérapeutique de la mucoviscidose chez les enfants de plus de 12 ans, adolescents et adultes. Des

ASMR de niveau II et III attestent un gain supplémentaire d'efficacité, de qualité de vie
(...)

[**mucoviscidose**/remboursement-traitement-**mucoviscidose**-644677" rel="nofollow noopener" target="_blank" data-ytk="slk:Lire la suite sur Topsante.com">Lire la suite sur
Topsante.com](#)

Covid-19 : Bientôt des tests PCR et antigéniques non remboursés ?

Trousse à pharmacie : qu'est-ce que j'emporte en vacances ?

Vaccin AstraZeneca : que sait-on des (rares) cas de syndrome de Guillain-Barré ?

Pourquoi faut-il arrêter de fumer avant une intervention chirurgicale ?

Une simple analyse d'urine pour détecter les tumeurs cérébrales



MSN

Mucoviscidose: deux nouveaux traitements seront désormais remboursés

Deux nouveaux traitements innovants pour les malades atteints de mucoviscidose vont être remboursés par la Sécurité sociale, a annoncé lundi le ministère de la Santé, un "soulagement" car l'un d'entre eux constitue "une véritable révolution thérapeutique", réagissent deux associations. "Un accord sur le prix vient d'être trouvé pour les deux spécialités pharmaceutiques Kaftrio et Symkevi" du laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, "permettant de prendre en charge ces traitements à 100% par l'Assurance maladie", indique le ministère dans un communiqué. "Grâce à cet accord, dans les tous prochains jours, seront donc inscrits au remboursement et disponibles dans les officines ces deux nouveaux médicaments innovants (...). Ces deux médicaments seront disponibles dans toutes les pharmacies de ville pour tous les patients éligibles", a déclaré le ministre de la Santé, Olivier Véran, à l'association Vaincre la Mucoviscidose. Le ministre a évoqué des "négociations serrées" avec le laboratoire américain. Ces médicaments, en association avec un autre traitement, Kalydeco, pourront être utilisés chez les enfants de plus de 12 ans, les adolescents et les adultes. Des traitements onéreux: selon un avis de la commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP) publié en février 2021, le coût annuel du Kaftrio s'élève à 224.066 euros par patient en Allemagne et à 200.050 livres sterling (234.000 euros) au Royaume-Uni. "L'arrivée de Kaftrio multiplierait par deux le budget de l'assurance maladie par rapport à la prise en charge actuelle", notait la CEESP.

Cette décision représente "un véritable soulagement", ont réagi dans un communiqué Vaincre la mucoviscidose et l'association Grégory Lemarchal, qui avaient lancé il y a quelques jours une pétition "pour faire commercialiser le traitement Kaftrio au plus vite en France". "L'espoir de faire un jour de la mucoviscidose une maladie chronique stabilisée est fondée", a commenté Pierre Foucaud, président de Vaincre la Mucoviscidose. "Kaftrio, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance", expliquent les associations. La mucoviscidose, maladie d'origine génétique rare et incurable, fait sécréter du mucus anormalement épais, ce qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif.

Elle était autrefois souvent fatale aux enfants et adolescents, mais l'espérance de vie s'est progressivement allongée grâce aux traitements. Les traitements actuels sont toutefois très lourds: kinésithérapie respiratoire, aérosols, médicaments...

Beaucoup de malades subissent des infections pulmonaires à cause de l'encombrement des bronches et doivent être hospitalisés plusieurs fois par an. Des greffes de poumons peuvent allonger la durée de vie.



Notre Temps

Mucoviscidose: deux nouveaux traitements remboursés, un "soulagement" pour les associations

Notre temps,

le 28 juin 2021 à 17h00 par AFP

Deux nouveaux traitements innovants pour les malades atteints de **mucoviscidose** vont être remboursés par la Sécurité sociale, a annoncé lundi le ministère de la Santé, un "soulagement" car l'un d'entre eux constitue "une véritable révolution thérapeutique", réagissent deux associations.

"Un accord sur le prix vient d'être trouvé pour les deux spécialités pharmaceutiques Kaftrio et Symkevi" du laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, "permettant de prendre en charge ces traitements à 100% par l'Assurance maladie", indique le ministère dans un communiqué.

"Le remboursement de ces médicaments interviendra dans les tous prochains jours", ajoute-t-il.

Ces médicaments, en association avec un autre traitement, Kalydeco, pourront être utilisés chez les enfants de plus de 12 ans, les adolescents et les adultes.

Cette décision représente "un véritable soulagement", ont réagi dans un communiqué Vaincre la **mucoviscidose** et l'association Grégory Lemarchal, qui avaient lancé il y a quelques jours une pétition "pour faire commercialiser le traitement Kaftrio au plus vite en France".

"L'espoir de faire un jour de la **mucoviscidose** une maladie chronique stabilisée est fondée", a commenté **Pierre Foucaud**, président de Vaincre la **Mucoviscidose**.

"Kaftrio, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance", expliquent les associations.

La **mucoviscidose**, maladie d'origine génétique rare et incurable, fait sécréter du mucus anormalement épais, ce qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif.

Elle était autrefois souvent fatale aux enfants et adolescents, mais l'espérance de vie s'est progressivement allongée grâce aux traitements.

Les traitements actuels sont toutefois très lourds: kinésithérapie respiratoire, aérosols,

médicaments... Beaucoup de malades subissent des infections pulmonaires à cause de l'encombrement des bronches et doivent être hospitalisés plusieurs fois par an. Des greffes de poumons peuvent allonger la durée de vie.

abb/may/zi

VERTEX PHARMACEUTICALS



Le Monde pharmaceutique

Mucoviscidose : Olivier Véran annonce le remboursement de Kaftrio® & Symkevi®

Vidéo réservée aux abonnés

Thématiques : Ministère de la santé

Durée : 3 min 59s

Résumé : A l'occasion des 9es Entretiens de la mucoviscidose organisés par Vaincre la Mucoviscidose, le samedi 26 juin 2021, le ministre des Solidarités et de la Santé, Olivier Véran a annoncé qu'un accord entre le Comité économique des produits de santé (CEPS) et le laboratoire Vertex Pharmaceuticals avait été trouvé pour le remboursement de Symkevi® et de Kaftrio®. Cet accord était très attendu par les associations de patients. Il signifie que dans les prochains jours, les malades éligibles pourront enfin en bénéficier. A terme, cela concerne 5 000 patients, soit près des 3/4 des personnes atteintes de mucoviscidose.

Description : dans cette vidéo le ministre des Solidarités et de la Santé, Olivier Véran confirme cet accord entre le CEPS et le laboratoire Vertex Pharmaceuticals. Ces deux médicaments visent à réparer la protéine CFTR, produit du gène muté, par une combinaison de correcteurs et activateurs de cette protéine. Kaftrio®, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance, données appuyées par la Haute Autorité de Santé. Au cours des mois écoulés, près de 500 patients ont pu en bénéficier du fait de la très grande sévérité de leur insuffisance respiratoire (accès compassionnel).



Le Quotidien du médecin

Mucoviscidose : deux nouveaux traitements remboursés, les associations soulagées

Deux nouveaux traitements pour les malades atteints de mucoviscidose vont être remboursés par la Sécurité sociale, a annoncé ce 28 juin le ministère de la Santé. Un « soulagement », car l'un d'entre eux constitue « une véritable révolution thérapeutique », réagissent « Vaincre la mucoviscidose » et l'association Grégory Lemarchal, qui avaient lancé il y a quelques jours une pétition « pour faire commercialiser le traitement Kafrio au plus vite en France ».

Un accord sur le prix a été trouvé pour les deux médicaments, Kafrio (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) et Symkevi (tezacaftor/ivacaftor), du laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, « permettant de prendre en charge ces traitements à 100 % par l'Assurance-maladie, indique le ministère dans un communiqué. Le remboursement de ces médicaments interviendra dans les tout prochains jours », la parution au « Journal officiel » étant imminente.

ASMR important pour Kafrio

Ces médicaments, en association avec Kalydeco (ivacaftor), pourront être utilisés pour les patients âgés de 12 ans et plus, homozygotes pour la mutation F508del ou hétérozygotes pour la mutation F508del et porteurs d'une mutation du gène CFTR à fonction minimale spécifiée dans l'AMM. Kafrio et Symkevi agissent en réparant les défauts de la protéine CFTR, causés par une mutation génétique, explique le laboratoire. Les deux médicaments seront disponibles en pharmacies de ville. « L'espoir de faire un jour de la mucoviscidose une maladie chronique stabilisée est fondée », a commenté Pierre Foucaud, président de « Vaincre la mucoviscidose ».

En novembre 2020, la Commission de la Transparence (CT) de la Haute Autorité de santé (HAS) avait reconnu une amélioration du service médical rendu (ASMR) de niveau II (important) pour Kafrio en association avec Kalydeco. Parmi 250 avis de première inscription rendus en 2019 par la Commission, deux seulement ont obtenu une ASMR de niveau II (important).

Symkevi a reçu une autorisation de mise sur le marché dans l'Union européenne en octobre 2018 et la CT a rendu un avis favorable à son remboursement en mai 2020, jugeant qu'il permettait une amélioration « modérée » du service médical rendu, en association avec Kalydeco.

« Kafrio, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance », expliquent les associations.

Lenteur administrative

La mucoviscidose est une maladie d'origine génétique rare et incurable qui touche environ 7 100 personnes en France. L'espérance de vie s'est progressivement allongée mais les traitements actuels sont très lourds (kinésithérapie respiratoire, aérosols, médicaments) avec des hospitalisations plusieurs fois par an pour infections pulmonaires. Des greffes de poumons peuvent allonger la durée de vie.

« Cette avancée médicale est le fruit de plus de 20 ans d'efforts de recherche et de développement », souligne dans un communiqué Nicolas Renard, directeur général de Vertex France.

« Il aura donc fallu attendre plus de 900 jours et 300 jours à compter de l'autorisation de mise sur le marché (AMM) en Europe, respectivement pour Symkevi et Kaftrio, pour que ces médicaments soient enfin accessibles en France, alors qu'ils l'étaient déjà dans une dizaine de pays européens », déplorent les deux associations. « Au cours des mois écoulés, près de 500 patients ont pu en bénéficier du fait de la très grande sévérité de leur insuffisance respiratoire », grâce à une procédure d'accès compassionnel, précisent-elles.

AFP

Mucoviscidose: deux nouveaux traitements remboursés, "soulagement" pour les associations

Paris, 28 juin 2021 (AFP) -

Deux nouveaux traitements pour les malades atteints de mucoviscidose vont être remboursés par la Sécurité sociale, a annoncé lundi le ministère de la Santé, un "soulagement" car l'un d'entre eux constitue "une véritable révolution thérapeutique", réagissent deux associations.

"Un accord sur le prix vient d'être trouvé" pour les deux médicaments, Kaftrio et Symkevi, du laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, "permettant de prendre en charge ces traitements à 100% par l'Assurance maladie", indique le ministère dans un communiqué. "Le remboursement de ces médicaments interviendra dans les tous prochains jours".

Ces médicaments, en association avec un autre traitement, Kalydeco, pourront être utilisés pour les patients âgés de 12 ans et plus.

Cette décision représente "un véritable soulagement", ont réagi dans un communiqué Vaincre la mucoviscidose et l'association Grégory Lemarchal, qui avaient lancé il y a quelques jours une pétition "pour faire commercialiser le traitement Kaftrio au plus vite en France".

"L'espoir de faire un jour de la mucoviscidose une maladie chronique stabilisée est fondée", a commenté Pierre Foucaud, président de Vaincre la Mucoviscidose.

"Kaftrio, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance", expliquent les associations.

La mucoviscidose est une maladie d'origine génétique rare et incurable qui touche environ 7.100 personnes en France. Elle fait sécréter du mucus anormalement épais, ce qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif. Elle était autrefois souvent fatale aux enfants et adolescents, mais l'espérance de vie s'est progressivement allongée grâce aux traitements.

Les traitements actuels sont toutefois très lourds: kinésithérapie respiratoire, aérosols, médicaments... Beaucoup de malades subissent des infections pulmonaires à cause de l'encombrement des bronches et doivent être hospitalisés plusieurs fois par an. Des greffes de poumons peuvent allonger la durée de vie.

"Plutôt que d'agir sur les symptômes", Kaftrio et Symkevi agissent sur les "causes sous-jacentes de la maladie" en réparant les défauts d'une protéine, CFTR, causés par une mutation génétique, explique le laboratoire.

"Cette avancée médicale est le fruit de plus de 20 ans d'efforts de recherche et de développement", souligne dans un communiqué Nicolas Renard, directeur général de Vertex France.

Symkevi a reçu une autorisation de mise sur le marché dans l'Union européenne en octobre 2018 et la Haute autorité de santé (HAS) a rendu un avis favorable à son remboursement en mai 2020, jugeant qu'il permettait une amélioration "modérée" du service médical rendu, en association avec Kalydeco.

Kaftrio, déjà commercialisée aux Etats-Unis sous le nom de Trikafta depuis octobre 2019, a lui obtenu le feu vert de l'UE en août 2020 et la HAS a estimé en novembre "importante" l'amélioration du service médical rendu, en association avec Kalydeco.

"Il aura donc fallu attendre plus de 900 jours et 300 jours à compter de l'autorisation de mise sur le marché (AMM) en Europe, respectivement pour Symkevi et Kaftrio, pour que ces médicaments soient enfin accessibles en France, alors qu'ils l'étaient déjà dans une dizaine de pays européens", déplorent les deux associations.

"Au cours des mois écoulés, près de 500 patients ont pu en bénéficier du fait de la très grande sévérité de leur insuffisance respiratoire", grâce à une +procédure d'accès compassionnel+, précisent-elles.

abb/fmp/zl

VERTEX PHARMACEUTICALS



Lelectronique.com

Mucoviscidose : la Sécurité sociale annonce le remboursement de deux traitements

Lu sur le web

28/06/2021 19h00, par lemonde.fr

Les deux médicaments, Kafrio et Symkevi, agissent sur les « causes sous-jacentes de la maladie » en réparant les défauts d'une protéine, CFTR, causés par une mutation génétique.

[Lire l'actualité](#) / [En savoir plus](#)



La Croix

Contre la mucoviscidose, le « traitement révolutionnaire » enfin remboursé



Explication

Le ministre de la santé, Olivier Véran, a promis l'accès début juillet du Kaftrio aux patients atteints de mucoviscidose . Le traitement pourrait bénéficier à 80 % des malades français.

- Corentin Lesueur ,
- le 28/06/2021 à 17:24
- Modifié le 28/06/2021 à 17:25

Lecture en 2 min.

[mucoviscidose](#) , le « traitement révolutionnaire »enfin remboursé" id="65113130">

La France est le dixième pays européen à rembourser le Kaftrio. Kzenon/Kzenon - stock.adobe.com

Après de longs de mois de mobilisation, de pétitions et interpellations sur les réseaux sociaux, les Français atteints de mucoviscidose ont lâché un « immense ouf de soulagement ». Samedi 26 juin, le ministre de la santé, Olivier Véran , a informé les associations engagées contre cette maladie génétique du remboursement prochain du Kaftrio.

Produit par le laboratoire américain Vertex, ce médicament suscite depuis son autorisation de mise sur le marché (AMM) européen, en août 2020, l'attente de milliers de patients. « C'est le meilleur traitement identifié à ce jour pour soigner, et une source monumentale d'espoir pour les malades , salue Olivier Véran. Il était indispensable que la France permette son accès par le biais de la solidarité nationale. »

→ ANALYSE . [mucoviscidose](#) -2020-11-29-1201127221" target="Dself"> Le Kaftrio, un

traitement prometteur contre la mucoviscidose .

Dixième pays européen à rembourser le Kaftrio, la France sort d'une « négociation serrée » sur le prix avec Vertex. Dans un avis publié en février, la Haute Autorité de santé (HAS) s'interrogeait sur la « soutenabilité » financière d'un produit au coût estimé à 280 000 € par patient et par an aux États-Unis. « Personne ne comprendrait qu'un pays comme la France ne mette pas à disposition des patients un traitement qui pourrait leur sauver la vie ou leur faire gagner des années d'espérance de vie en bonne santé », justifie Olivier Véran, ajoutant avoir obtenu un « prix soutenable pour l'assurance-maladie » . Et le ministre de promettre un « remboursement effectif début juillet » , sans donner davantage de détails.

« Le patient constate un changement de vie »

Le Kaftrio n'est pas la première thérapie protéique accessible contre la mucoviscidose . En 2012, déjà, un traitement visait la correction de la protéine CFTR, à l'origine de la maladie, mais il concernait moins de 5 % des patients. Destinée à ceux atteints de la mutation la plus courante (DeltaF508), la solution de Vertex pourrait à terme être administrée à près de 80 % des 7 500 malades de la mucoviscidose . Le ministère de la santé estime à 4 000 le nombre de Français pouvant bénéficier du remboursement dès juillet.

Environ 500 d'entre eux, parmi les plus sévèrement touchés, y avaient déjà recours dans le cadre d'un programme d'autorisation temporaire d'utilisation (AUT) ouvert en décembre 2019. « On a pu éviter à certains une transplantation pulmonaire alors qu'ils étaient déjà sur les listes d'attente pour l'opération », rapporte Dominique Hubert. Pneumologue au Centre de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM) à l'hôpital Cochin à Paris, elle confirme la « révolution » permise par le Kaftrio, crédité d'une amélioration moyenne de la capacité respiratoire de 14 % : « Le patient lui-même constate un net changement de vie : il ne tousse plus, ne crache plus, est moins essoufflé. On observe aussi des prises de poids, ainsi qu'une diminution des cures d'antibiotique et des hospitalisations. »

Vers une « maladie chronique stabilisée » ?

Certes, il n'est pas encore question de guérison. « Mais on peut envisager à partir de là que la mucoviscidose ne soit plus une maladie aiguë évoluant par exacerbation en permanence, mais une maladie chronique stabilisée » , espère Dominique Hubert.

→ RELIRE. Mucoviscidose : trente ans de progrès scientifiques

« Grâce au Kaftrio, on touche pour la première fois au mécanisme intime de la maladie, avec un effet spectaculaire sur tous les organes touchés », se réjouit Pierre Foucaud, président de l'association Vaincre la mucoviscidose .



Handicap.fr

Mucoviscidose : 2 nouveaux traitements remboursés



Deux nouveaux traitements innovants pour les malades atteints de **mucoviscidose** vont être remboursés par la Sécurité sociale. Un "soulagement" car l'un d'entre eux constitue "une véritable révolution thérapeutique", selon deux associations.

"Un accord sur le prix vient d'être trouvé pour les deux spécialités pharmaceutiques *Kafrio* et *Symkevi*" du laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, "permettant de prendre en charge ces traitements à 100 % par l'Assurance maladie", indique le ministère de la Santé le 28 juin 2021 dans un communiqué. Deux nouveaux traitements innovants pour les malades atteints de **mucoviscidose** vont ainsi être remboursés par la Sécurité sociale. "Le remboursement de ces médicaments interviendra dans les tous prochains jours", ajoute-t-il. Ces médicaments, en association avec un autre traitement, Kalydeco, pourront être utilisés chez les enfants de plus de 12 ans, les adolescents et les adultes.

Un véritable soulagement

Cette décision représente "un véritable soulagement", ont réagi dans un communiqué Vaincre la **mucoviscidose** et l'association Grégory Lemarchal, qui avaient lancé il y a quelques jours une pétition "pour faire commercialiser le traitement *Kafrio* au plus vite en France". "L'espoir de faire un jour de la **mucoviscidose** une maladie chronique stabilisée est fondée", a commenté **Pierre Foucaud**, président de Vaincre la **Mucoviscidose**. "*Kafrio*, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance", expliquent les associations. Greffes de poumons

La **mucoviscidose**, maladie d'origine génétique rare et incurable, fait sécréter du mucus anormalement épais, ce qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif. Elle était autrefois souvent fatale aux enfants et adolescents, mais l'espérance de vie s'est progressivement allongée grâce aux traitements. Les traitements actuels sont toutefois très lourds : kinésithérapie respiratoire, aérosols, médicaments... Beaucoup de malades subissent des infections pulmonaires à cause de l'encombrement des bronches et doivent être hospitalisés plusieurs fois par an. Des greffes de poumons peuvent allonger la durée de vie.

20 ans de recherche

"Plutôt que d'agir sur les symptômes", Kafrio et Symkevi agissent sur les "causes sous-jacentes de la maladie" en réparant les défauts d'une protéine, CFTR, causés par une mutation génétique, explique le laboratoire. "Cette avancée médicale est le fruit de plus de 20 ans d'efforts de recherche et de développement", souligne dans un communiqué Nicolas Renard, directeur général de Vertex France. Symkevi a reçu une autorisation de mise sur le marché dans l'Union européenne en octobre 2018 et la Haute autorité de santé (HAS) a rendu un avis favorable à son remboursement en mai 2020, jugeant qu'il permettait une amélioration "modérée" du service médical rendu, en association avec Kalydeco. Kafrio, déjà commercialisée aux Etats-Unis sous le nom de Trikafta depuis octobre 2019, a lui obtenu le feu vert de l'UE en août 2020 et la HAS a estimé en novembre "importante" l'amélioration du service médical rendu, en association avec Kalydeco.

1 200 jours d'attente

"Il aura donc fallu attendre plus de 900 jours et 300 jours à compter de l'autorisation de mise sur le marché (AMM) en Europe, respectivement pour Symkevi et Kafrio, pour que ces médicaments soient enfin accessibles en France, alors qu'ils l'étaient déjà dans une dizaine de pays européens", déplorent les deux associations. *"Au cours des mois écoulés, près de 500 patients ont pu en bénéficier du fait de la très grande sévérité de leur insuffisance respiratoire",* grâce à une 'procédure d'accès compassionnel', précisent-elles.

« Tous droits de reproduction et de représentation réservés.© (2021) Agence France-Presse.Toutes les informations reproduites sur cette page sont protégées par des droits de propriété intellectuelle détenus par l'AFP. Par conséquent, aucune de ces informations ne peut être reproduite, modifiée, rediffusée, traduite, exploitée commercialement ou réutilisée de quelque manière que ce soit sans l'accord préalable écrit de l'AFP. L'AFP ne pourra être tenue pour responsable des délais, erreurs, omissions qui ne peuvent être exclus, ni des conséquences des actions ou transactions effectuées sur la base de ces informations ».



Le brief du Monde

Mucoviscidose : la Sécurité sociale annonce le remboursement de deux traitements. Les [médicaments Kaftrio et Symkevi](#) seront utilisés pour les patients âgés de 12 ans et plus.

Faire Face

Mucoviscidose : un traitement innovant enfin remboursé

[Emma Lepic](#)

Accord enfin signé pour le remboursement de médicaments permettant de corriger la protéine CFTR. Bien souvent touchée chez de nombreux patients atteints de mucoviscidose, elle génère de nombreux troubles. Une avancée pour une meilleure qualité de vie.

Il aura fallu des mois de combat de la part d'associations de patients. Le 26 juin, [Olivier Véran](#), ministre des Solidarités et de la Santé, l'a annoncé : un accord vient enfin d'être signé entre le Comité économique des produits de santé (CEPS) et le laboratoire Vertex Pharmaceuticals. Cela va permettre le remboursement de deux correcteurs de la protéine CFTR, dont les défauts causent de nombreux troubles chez les personnes atteintes de mucoviscidose.

Un traitement pour 75 % des patients

Le Kaftrio et le Symkevi étaient attendus avec impatience par au moins 5 000 patients qui pourront recevoir ces traitements. Soit près des trois quarts des hommes et des femmes atteints de cette pathologie.

En mai dernier, dans les colonnes du magazine *Faire Face*, Paola de Carli, directrice du département scientifique de [l'association Vaincre la mucoviscidose](#) expliquait combien cette piste de traitement, s'avère prometteuse. En effet, si elle ne promet aucune guérison, elle s'avère en revanche porteuse d'une nette amélioration de la qualité de vie des personnes.

Cette commercialisation en France intervient alors qu'elle était déjà possible dans une dizaine d'autres pays européens.

L'Indépendant

Mucovie 66 - Deux nouveaux médicaments contre la mucoviscidose remboursés à 100 % : "De l'espoir pour tous ces enfants malades"

La décision est tombée ce lundi 28 juin dans la soirée : deux nouveaux traitements contre la mucoviscidose seront pris en charge à 100% par l'assurance maladie. Le Kaftrio et le Symkevi seront inscrits au remboursement et disponibles dans les tout prochains jours en pharmacie. Une belle victoire à mettre au crédit de la mobilisation des associations qui accompagnent les malades.

Stéphane Mathieu se dit ce mardi "bouleversé" par la nouvelle. *"Donner de l'espoir et un avenir à tous ces enfants est merveilleux"*, s'épanche le président de Mucovie 66. Père d'un enfant malade, l'associatif catalan était monté au créneau au côté des collectifs nationaux comme Vaincre la mucoviscidose ou l'Association Grégory Lemarchal dont il salue la mobilisation.

Kaftrio et Symkevi, du laboratoire Vertex, prescrits en association avec un 3^e produit appelé Kalydeo, se sont vu octroyer par la Haute Autorité de Santé une ASMR, pour Amélioration du service médical rendu, de niveau II et III. Ces traitements innovants interviennent donc dans la prise en charge thérapeutique de la mucoviscidose chez les patients à partir de 12 ans. Concrètement, cette ASMR promet pour les malades de *"meilleures chances de qualité de vie"*, se réjouit Mucovie 66, mais également *"une augmentation de l'espérance de vie"*.

Une naissance tous les trois jours d'un enfant atteint par la maladie

"Et en tant que papa d'un enfant atteint de mucoviscidose, c'est une joie et une émotion indescriptibles", réagit Stéphane Mathieu. Avec son association catalane, il avait pesé de tout son poids pour faire accélérer les négociations avec le ministère de la Santé. Pour lui, *"un grand pas est franchi"* avec cette décision de prise en charge à 100% par l'Assurance maladie. C'est un accord sur le tarif des médicaments, trouvé entre l'Etat et le laboratoire, qui a permis d'aboutir à une meilleure prise en charge des patients. Il faut savoir que les chiffres officiels font état d'une naissance tous les trois jours d'un enfant atteint de cette maladie génétique qui touche essentiellement les fonctions digestives et respiratoires. Selon l'Inserm, qui évoque une espérance de vie *"désormais supérieure à 40 ans"* pour les malades, *"la vague d'innovation thérapeutique qui a démarré au début des années 2010 devrait encore améliorer le pronostic de la maladie dans les prochaines années"*.

Cette victoire intervient après plusieurs mois de mobilisation des associations, mais également de nombreux sympathisants puisque Mucovie 66 *"remercie les 37 458 personnes ayant signé la pétition demandant en urgence la prise en charge de ces médicaments."*

À terme, au niveau national, le ministère dénombre 5000 patients éligibles à Kaftrio, soit trois-quarts des malades.

Egora.fr

Mucoviscidose : remboursement de deux médicaments innovants

Un accord de remboursement a été trouvé concernant deux médicaments contre la mucoviscidose : les combinaisons ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor (Kafrio) et tezacaftor/ivacaftor (Symkevi), en association avec l'ivacaftor (Kalydeco), de la société Vertex. Ces traitements seront dorénavant pris en charge à 100% par l'Assurance maladie. Ils sont disponibles dans les pharmacies de ville. « Nous sommes heureux d'être parvenus rapidement à un accord avec les autorités de santé, permettant un accès durable à tous les patients éligibles » a déclaré Nicolas Renard, directeur général de Vertex France. Kafrio et Symkevi, en association avec...

L'accès à la totalité de l'article
est réservé aux professionnels de santé

Pourquidocteur.fr

Mucoviscidose : deux traitements innovants seront pris en charge par l'Assurance maladie

Les deux médicaments, Kaftrio et Symkevi, agissent sur les causes de la maladie : ils permettent de restaurer la protéine CFTR, altérée par une modification génétique.



L'ESSENTIEL

- Les deux médicaments sont fabriqués par le laboratoire américain Vertex.
- En France, 5 000 patients éligibles pourraient en bénéficier.
- Au total, plus de 7000 personnes sont atteintes de mucoviscidose en France.

Deux nouveaux traitements contre la [mucoviscidose](#) seront disponibles dans les jours à venir en France. Le Kaftrio et le Symveki seront pris en charge entièrement par l'[Assurance maladie](#). Le [ministère](#) de la santé l'annonce dans un [communiqué](#) paru lundi 28 juin. "Un accord sur le prix vient d'être trouvé pour les deux spécialités pharmaceutiques Kaftrio et Symkevi en association avec Kalydeco du laboratoire Vertex", annonce le texte.

Un traitement de fond

"Cet accord sur le prix de deux nouvelles spécialités pharmaceutiques est une formidable source d'espoir pour les patients", précise le Ministre des Solidarités et de la Santé dans le même document. Ces deux médicaments peuvent être administrés aux enfants de plus de 12 ans, aux adolescents et aux adultes. Ils appartiennent à une [nouvelle catégorie](#) de traitements : ils n'agissent pas sur les

symptômes mais sur les causes de la maladie. Ces [molécules](#) agissent pour réparer les défauts de la protéine CFTR, provoqués par une mutation génétique. Leur utilisation permet aux patients d'améliorer leur fonction respiratoire et leur état de santé en général.

Des médicaments autorisés à la vente en Europe depuis plusieurs mois

Le Kaftrio et le Symveki avaient obtenu une [autorisation de mise sur le marché](#) par l'Union européenne, en août 2020 pour le premier et en octobre 2018 pour le second, mais la France a négocié ensuite le prix de ces deux [traitements](#) avec les laboratoires qui les fabriquent. Les associations Grégory Lemarchal et Vaincre la Mucoviscidose s'étaient mobilisées pour que l'accès au traitement soit autorisé rapidement. La pétition avait recueilli plus de 38 000 signatures. Dans des publications sur Twitter, elles se réjouissent de l'accord trouvé pour les deux médicaments.

Une maladie grave, et fréquente

La [mucoviscidose](#) est une maladie génétique, "*l'une des plus fréquentes en France*" selon [l'Inserm](#). L'altération du gène CFTR provoque des complications respiratoires, en touchant les [poumons](#), mais a également des conséquences sur les systèmes digestif et reproducteur. "*Cette altération se traduit notamment par une diminution de l'eau excrétée au niveau des muqueuses et, en conséquence, par une inflammation et un épaississement du mucus qui la recouvre*", précise l'Inserm. Chaque année, environ 200 enfants naissent atteints de la [maladie](#) en France. Leur espérance de vie progresse : dans les années 1960, elle n'était que de cinq ans, aujourd'hui elle est de 40 à 50 ans.

Economie Matin

MUCOVISCIDOSE : DEUX MÉDICAMENTS REMBOURSÉS À 100% PAR LA SÉCU

Maladie génétique touchant les fonctions digestives et respiratoires, la mucoviscidose bouleverse le quotidien des malades et de leur famille. Grâce à la recherche, l'espérance de vie d'un patient s'est nettement rallongée. Bonne nouvelle pour ceux qui en sont atteints, deux nouveaux traitements seront remboursés à 100%.

Remboursement de deux traitements contre la mucoviscidose

Bonne nouvelle pour les malades qui sont atteints de mucoviscidose : deux médicaments vont être remboursés à 100% par la Sécu. Il s'agit de Kaftrio et Symkevi, des traitements fabriqués par le laboratoire américain *Vertex Pharmaceuticals*. Selon un communiqué, « *Un accord sur le prix vient d'être trouvé* » et « *le remboursement de ces médicaments interviendra dans les tous prochains jours* ». À terme, 5.000 patients éligibles pourront en bénéficier.

Lors de sa rencontre auprès de plusieurs associations de patients, le ministre des Solidarités et de la Santé, Olivier Véran, s'est exprimé : « *Cet accord sur le prix de deux nouvelles spécialités pharmaceutiques est une formidable source d'espoir pour les patients. Cela signifie très concrètement que les patients bénéficieront de traitements innovants et efficaces, leur donnant les meilleures chances de qualité de vie et d'augmentation d'espérance de vie* ».

La mucoviscidose, une maladie génétique qui réduit l'espérance de vie

« *Aujourd'hui, un enfant naît tous les trois jours atteint de mucoviscidose et la maladie bouleverse encore le quotidien de nombreuses familles et victimes. L'arrivée de traitements innovants constitue ainsi un véritable espoir* », lit-on dans le communiqué. D'origine génétique, la mucoviscidose est une maladie létale. Cependant, « *grâce à la recherche et à l'amélioration de sa prise en charge, l'espérance de vie moyenne d'un patient est comprise entre 40 et 50 ans, alors qu'elle n'était que de 5 ans dans les années 1960* », affirme l'Inserm.

Pour rappel, la mucoviscidose touche surtout les fonctions digestives et respiratoires. Elle est liée à l'altération du gène CFTR (*cystic fibrosis transmembrane conductance regulator*). Elle entraîne en premier lieu une toux chronique, ainsi qu'une gêne et une diminution de la fonction respiratoire puis, à terme, une insuffisance respiratoire.

Sudouest.fr

Mucoviscidose : deux nouveaux traitements remboursés, un « soulagement » pour les associations

Cette décision représente « un véritable soulagement », ont réagi Vaincre la mucoviscidose et l'association Grégory Lemarchal, qui avaient lancé il y a quelques jours une pétition « pour faire commercialiser le traitement Kaftrio au plus vite en France ».

Deux nouveaux traitements innovants pour les malades atteints de mucoviscidose vont être remboursés par la Sécurité sociale, a annoncé lundi le ministère de la Santé, un « soulagement » réagissent deux associations.

« Un accord sur le prix vient d'être trouvé pour les deux spécialités pharmaceutiques Kaftrio et Symkevi » du laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, « permettant de prendre en charge ces traitements à 100 % par l'Assurance maladie », indique le ministère dans un communiqué. « Le remboursement de ces médicaments interviendra dans les tous prochains jours », ajoute-t-il.

« Révolution thérapeutique »

Ces médicaments, en association avec un autre traitement, Kalydeco, pourront être utilisés chez les enfants de plus de 12 ans, les adolescents et les adultes. Cette décision représente « un véritable soulagement », ont réagi dans un communiqué Vaincre la mucoviscidose et l'association Grégory Lemarchal, qui avaient lancé il y a quelques jours une pétition « pour faire commercialiser le traitement Kaftrio au plus vite en France ».

« L'espoir de faire un jour de la mucoviscidose une maladie chronique stabilisée est fondée », a commenté Pierre Foucaud, président de Vaincre la Mucoviscidose. « Kaftrio, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance », expliquent les associations.

La mucoviscidose, maladie d'origine génétique rare et incurable, fait sécréter du mucus anormalement épais, ce qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif. Elle était autrefois souvent fatale aux enfants et adolescents, mais l'espérance de vie s'est progressivement allongée grâce aux traitements.

Les traitements actuels sont toutefois très lourds : kinésithérapie respiratoire, aérosols, médicaments... Beaucoup de malades subissent des infections pulmonaires et doivent être hospitalisés plusieurs fois par an.

La Voix du Nord

Mucoviscidose : deux nouveaux traitements, Kaftrio et Symkevi, désormais remboursés
Deux nouveaux traitements pour les malades atteints de mucoviscidose vont être remboursés par la Sécurité sociale, a annoncé lundi le ministère de la Santé, un « soulagement » car l'un d'entre eux constitue « une véritable révolution thérapeutique », réagissent deux associations.
Afp | Publié le 28/06/2021



« Un accord sur le prix vient d'être trouvé » pour les deux médicaments, Kaftrio et Symkevi, du laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, « permettant de prendre en charge ces traitements à 100% par l'Assurance maladie », indique le ministère dans un communiqué. « Le remboursement de ces médicaments interviendra dans les tous prochains jours. »

Ces médicaments, en association avec un autre traitement, Kalydeco, pourront être utilisés pour les patients atteints [de mucoviscidose](#) et âgés de 12 ans et plus.

« Véritable soulagement »

Cette décision représente « un véritable soulagement », ont réagi dans un communiqué Vaincre la mucoviscidose et l'association [Grégory Lemarchal](#), qui avaient lancé il y a quelques jours une pétition « pour faire commercialiser le traitement Kaftrio au plus vite en France ».

« L'espoir de faire un jour de la mucoviscidose une maladie chronique stabilisée est fondée », a commenté Pierre Foucaud, président de [Vaincre la Mucoviscidose](#).

« Kafrio, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance », expliquent les associations.

7 100 personnes touchées en France

La mucoviscidose est une maladie d'origine génétique rare et incurable qui **touche environ 7 100 personnes en France**. Elle fait sécréter du mucus anormalement épais, ce qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif. Elle était autrefois souvent fatale aux enfants et adolescents, mais [l'espérance de vie s'est progressivement allongée](#) grâce aux traitements.

Les traitements actuels sont toutefois très lourds : kinésithérapie respiratoire, aérosols, médicaments... Beaucoup de malades subissent des infections pulmonaires à cause de l'encombrement des bronches et doivent être hospitalisés plusieurs fois par an. Des [greffes de poumons](#) peuvent allonger la durée de vie.

« Plutôt que d'agir sur les symptômes », Kafrio (commercialisé aux Etats-Unis sous le nom de Trikafta depuis octobre 2019) et Symkevi agissent sur les « causes sous-jacentes de la maladie » en réparant les défauts d'une protéine, CFTR, causés par une mutation génétique, explique le laboratoire.

« Cette avancée médicale est le fruit de plus de 20 ans d'efforts de recherche et de développement », souligne dans un communiqué Nicolas Renard, directeur général de Vertex France.

Plus de 900 jours d'attente pour Symkev

Symkevi a reçu une autorisation de mise sur le marché dans l'Union européenne en octobre 2018 et [la Haute autorité de santé](#) (HAS) a rendu un avis favorable à son remboursement en mai 2020, jugeant qu'il permettait une amélioration « modérée » du service médical rendu, en association avec Kalydeco.

Kafrio a lui obtenu le feu vert de l'UE en août 2020 et la HAS a estimé en novembre « importante » l'amélioration du service médical rendu, en association avec Kalydeco.

« Il aura donc fallu attendre plus de 900 jours et 300 jours à compter de l'autorisation de mise sur le marché (AMM) en Europe, respectivement pour Symkevi et Kafrio, pour que ces médicaments soient enfin accessibles en France, alors qu'ils l'étaient déjà dans une dizaine de pays européens », déplorent les deux associations.

Nice Matin

Mucoviscidose: deux nouveaux traitements remboursés, un "soulagement" pour les associations

Deux nouveaux traitements innovants pour les malades atteints de mucoviscidose vont être remboursés par la Sécurité sociale, a annoncé lundi 28 juin le ministère de la Santé.

"Un accord sur le prix vient d'être trouvé pour les deux spécialités pharmaceutiques Kaftrio et Symkevi" du laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, "permettant de prendre en charge ces traitements à 100% par l'Assurance maladie", indique le ministère dans un communiqué. "Le remboursement de ces médicaments interviendra dans les tous prochains jours", ajoute-t-il.

Ces médicaments, en association avec un autre traitement, Kalydeco, pourront être utilisés chez les enfants de plus de 12 ans, les adolescents et les adultes.

"Véritable soulagement"

Cette décision représente *"un véritable soulagement"*, ont réagi dans un communiqué Vaincre la mucoviscidose et l'association Grégory Lemarchal, qui avaient lancé il y a quelques jours une pétition *"pour faire commercialiser le traitement Kaftrio au plus vite en France"*.

"L'espoir de faire un jour de la mucoviscidose une maladie chronique stabilisée est fondée", a commenté Pierre Foucaud, président de Vaincre la Mucoviscidose.

"Kaftrio, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance", expliquent les associations.

Traitements très lourds

La mucoviscidose, maladie d'origine génétique rare et incurable, fait sécréter du mucus anormalement épais, ce qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif.

Elle était autrefois souvent fatale aux enfants et adolescents, mais l'espérance de vie s'est progressivement allongée grâce aux traitements.

Les traitements actuels sont toutefois très lourds: kinésithérapie respiratoire, aérosols, médicaments... Beaucoup de malades subissent des infections pulmonaires à cause de l'encombrement des bronches et doivent être hospitalisés plusieurs fois par an. Des greffes de poumons peuvent allonger la durée de vie.

Medscape

Mucoviscidose : remboursement à 100% de 2 traitements innovants

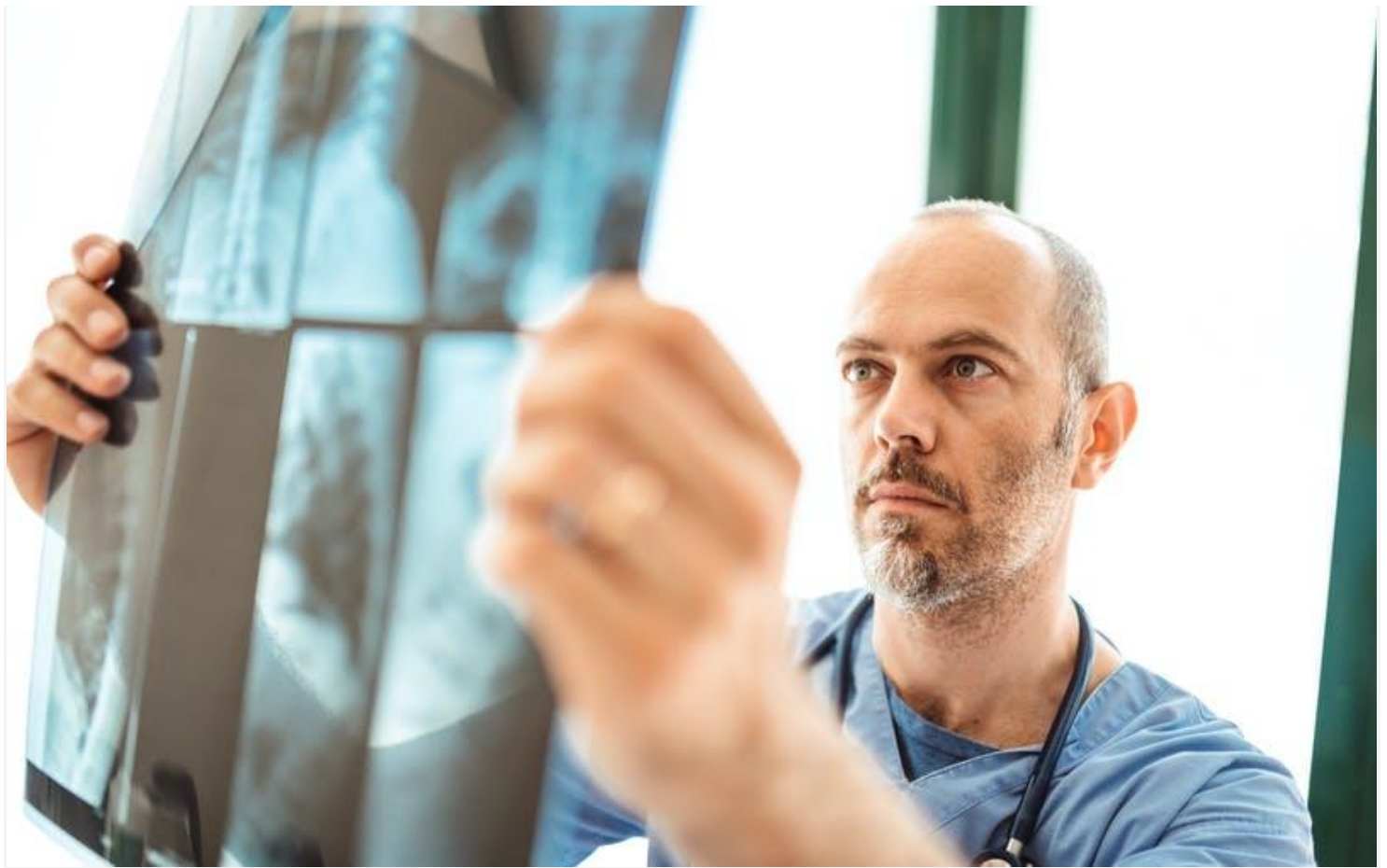
France – Suite à une négociation menée avec le laboratoire Vertex qui commercialise deux spécialités pharmaceutiques dans le traitement de la mucoviscidose, KAFTRIO® (*ivacaftor / tezacaftor / elxacaftor*) et SYMKEVI® (*ivacaftor/tezacaftor*) vont être pris en charge à 100% par l'Assurance Maladie.

L'accord de remboursement permet un accès à KAFTRIO® pour les patients atteints de mucoviscidose âgées de 12 ans et plus présentant une mutation F508del (la plus courante) et une mutation à fonction minimale. La triple association sera également remboursée pour les patients homozygotes pour la mutation F508del du gène CFTR

Santé magazine

Deux nouveaux traitements remboursés pour les patients atteints de mucoviscidose

Le ministère de la Santé vient d'annoncer un accord sur le remboursement de deux nouvelles spécialités pharmaceutiques Kaftrio et Symkevi du laboratoire Vertx utilisées dans la prise en charge de la mucoviscidose. Les associations de patients saluent cette bonne nouvelle et estiment que 5 000 personnes éligibles soit trois quarts des patients atteints de cette maladie génétique en France en bénéficieront.



© iStock/franckreporter

C'est un soulagement pour des milliers de **patients atteints de la mucoviscidose** en France. Lundi 28 juin, le ministre de la Santé Olivier Véran a fait savoir que deux nouveaux traitements, Kaftrio et Symkevi, seront désormais remboursés par l'Assurance maladie. Cette annonce intervient après une négociation entamée par le Comité économique des produits de santé (CEPS) avec le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals sur le prix de ces deux spécialités pharmaceutiques, utilisées en association avec le médicament Kalydeco. « La négociation a abouti à un accord permettant de prendre en charge ces traitements à 100% par l'Assurance maladie. Le **remboursement de ces médicaments** interviendra dans les tous prochains jours. », [indique le ministère dans un communiqué.](#)

Concrètement, grâce à cet accord, seront inscrits au remboursement et disponibles dans les pharmacies ces deux **nouveaux traitements dits « innovants »**. « Aujourd'hui, un enfant naît tous les trois jours atteint de mucoviscidose et la maladie bouleverse encore le quotidien de nombreuses familles et victimes. L'arrivée de traitements innovants constitue ainsi un véritable espoir. », ajoute le ministère. Ces médicaments (toujours en association avec le traitement Kalydeco), pourront être utilisés chez les patients âgés de 12 ans et plus. Ces derniers se sont vus octroyer par la Haute autorité de Santé **une amélioration du service médical rendu (ASMR)**, respectivement de niveau II et III, dans la prise en charge de la mucoviscidose : [en mai 2020 pour Symkevi](#) et en [août 2020 pour Kaftrio](#).

Un soulagement pour les associations de patients

Le ministre Olivier Véran [a rencontré les associations](#) « Vaincre la mucoviscidose » et « l'Association Grégory Lemarchal » à l'occasion de cet accord. Selon lui, il s'agit « d'une formidable source d'espoir pour les patients. Cela signifie très concrètement que les patients bénéficieront **de traitements innovants et efficaces**, leur donnant les meilleures chances de qualité de vie et d'augmentation d'espérance de vie ». L'annonce était attendue de longue date par ces organismes [qui ont lancé une pétition il y a quelques jours](#) pour faire commercialiser le traitement Kaftrio au plus vite en France. « Kaftrio **est vital pour 5000 malades** souffrant de mucoviscidose. Il n'est toujours pas disponible en France alors qu'il est autorisé en Europe depuis plus de 300 jours. » indique le document.

Le traitement Kaftrio permet aux patients de retrouver une **meilleure capacité respiratoire**, donc un mieux-être général. « Il représente un gain de chance et pour certains patients, le seul espoir d'éviter une transplantation pulmonaire. Cette combinaison de molécules (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor), déjà commercialisée aux Etats-Unis sous le nom de Trikafta et réputée pour son efficacité, est donc désormais indiquée en Europe pour le traitement des patients de 12 ans et plus, porteurs d'une seule mutation F508del.», [note l'association Vaincre la mucoviscidose](#). Ces traitements visent la correction **de la protéine CFTR** en cause dans la maladie. [Selon l'Assurance maladie](#), « ils représentent de nouvelles perspectives dans la mesure où les traitements disponibles jusqu'à ce jour étaient symptomatiques. »

La mucoviscidose est la **maladie génétique rare** la plus fréquente au sein de la population européenne, quiconcerne 6000 patients en France. Elle se caractérise par des sécrétions visqueuses au niveau de plusieurs organes, principalement les poumons et le pancréas. Elle se développe dès la naissance, et évolue avec des épisodes d'aggravation. Les fonctions digestives et respiratoires sont les principales touchées, et ses symptômes invalidants et les complications infectieuses et fonctionnelles qui en découlent impactent l'espérance de vie des patients. Aujourd'hui, grâce aux progrès de la recherche, **l'espérance de vie moyenne** est comprise entre 40 et 50 ans, alors qu'elle n'était que de 5 ans dans les années 1960.

Mucoviscidose : un médicament révolutionnaire enfin remboursé après de longs mois d'attente

Paris, le mardi 29 juin 2021 – « *Face à la mucoviscidose, vous croyez que je peux attendre ?* » interrogeait, le regard sans détour, une femme utilisant un masque à oxygène. Le titre de la pétition lancée il y a quelques jours par l'Association Gregory Lemarchal était sans équivoque : elle rappelait clairement au ministère de la Santé l'urgence dans laquelle vivent les familles touchées par cette maladie. Une urgence qui s'est transformée en un espoir douloureux depuis la publication des excellents résultats concernant Kaftrio.

Amélioration significative du VEMS et des symptômes

Kaftrio est une trithérapie combinant plusieurs correcteurs de la protéine CFTR (l'elexacaftor, un correcteur de dernière génération, le tezacaftor et l'ivacaftor qui permettent de restaurer plus complètement la fonction de CFTR pour *Cystic Fibrosis Transmembrane conductance Regulator*). Les résultats de cette trithérapie avaient notamment fait l'objet d'une publication dans le *New England Journal of Medicine* en novembre 2019. Ils étaient éloquentes : la différence en valeur absolue du VEMS avec l'état basal atteignait dans cette étude ayant concerné 403 jeunes patients + 13,8 points à la quatrième semaine et se maintenait à + 14,3 points à la vingt-quatrième. Par ailleurs, les auteurs des travaux constataient une diminution de la fréquence des exacerbations et une meilleure qualité de vie. « *Le patient lui-même constate un net changement (...) : il ne tousse plus, ne crache plus, est moins essoufflé. On observe aussi des prises de poids, ainsi qu'une diminution des cures d'antibiotique et des hospitalisations* », décrit dans *La Croix*, le professeur Dominique Hubert, pneumologue au Centre de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM) à l'hôpital Cochin à Paris. Faisant écho à cette observation, une étude publiée récemment dans *Respiratory Medicine and Research*, grâce à l'initiative de Vaincre la Mucoviscidose, qui repose sur des témoignages de patients confirme chez des malades Français les bénéfices certains en termes de qualité de vie.

Traitements de fond pour une majorité de malades

Si ces Français ont pu, par la voie d'une Autorisation temporaire d'utilisation (ATU) à titre compassionnel avoir accès à ce traitement, Kaftrio (en association avec Kalydeco (ivacaftor) demeurait jusqu'à hier non pris en charge par la Sécurité sociale. Pourtant après le feu vert de l'Union européenne et tandis que dans la foulée plusieurs pays (Allemagne, Danemark, Irlande, Suisse, Finlande, Slovénie, Royaume-Uni...) rendaient accessible Kaftrio, en décembre 2020, la Haute autorité de Santé rendait un avis « *favorable à son remboursement dans le traitement des patients atteints de mucoviscidose âgés de 12 ans et plus, homozygotes pour la mutation F508del du gène CFTR ou hétérozygotes pour la mutation F508del du gène CFTR et porteurs d'une mutation du gène CFTR à fonction minimale* ». Forte des données très positives concernant Kaftrio, la HAS lui octroyait une amélioration du service médical rendu (ASMR) de niveau II, sept mois après avoir accordé une ASMR de niveau III à Symkevi (association de tezacaftor / elexacaftor – toujours combinée à Kalydeco). Outre les très bons résultats de ces molécules combinées, la révolution pour les malades réside dans le fait qu'elles peuvent bénéficier à un nombre important de patients (à la différence d'un traitement autorisé il y a quelques années, également correcteur, mais qui s'adresse aux porteurs d'une mutation rare). On estime que plus de 80 % des patients souffrant de mucoviscidose en France porteurs homozygotes ou hétérozygotes de F508del pourraient en effet être traités par ces molécules. Ainsi, compte tenu de la « *diminution significative, et pour certains [patients], spectaculaire, de l'ensemble des symptômes* », la HAS préconisait que Kaftrio et Symkevi puissent être utilisés comme traitement de fond.

280 000 euros par an par patient aux Etats-Unis

Le hic était économique. Et la HAS ne le cachait pas. « *D'après les résultats de l'analyse d'impact budgétaire, l'arrivée de Kaftrio dans cette indication multiplierait par deux le budget de l'Assurance Maladie par rapport à la prise en charge actuelle* » relevait-elle ainsi en décembre, s'interrogeant encore sur la « *soutenabilité* » financière d'un médicament commercialisé aux États-Unis par les laboratoires Vertex à un prix de 280 000 euros par patient et par an. Aussi, les négociations entre Vertex et le Comité économique des produits de santé ont-elles été longues. Bien trop longues pour un grand nombre de familles, qui ont multiplié les appels au gouvernement, les pétitions et autres opérations. « *Il aura donc fallu attendre plus de neuf cents jours et trois cents jours à compter de l'autorisation de mise sur le marché* »

en Europe, respectivement pour Symkevi et Kaftrio, pour que ces médicaments soient enfin accessibles en France, alors qu'ils l'étaient déjà dans une dizaine de pays européens », ont ainsi résumé Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Gregory LeMarchal après que le ministre de la Santé a annoncé sans éviter une certaine grandiloquence un peu en décalage avec les faits : « Personne ne comprendrait qu'un pays comme la France ne mette pas à disposition des patients un traitement qui pourrait leur sauver la vie ou leur faire gagner des années d'espérance de vie en bonne santé ». Ainsi, dans quelques jours, dans des conditions qui n'ont pas été précisées par le communiqué du ministère de la Santé (notamment en ce qui concerne les prix arrêtés, qui sont uniquement qualifiés de « soutenables pour l'Assurance maladie »), Symkevi et Kaftrio (en association avec Kalydeco) seront pris en charge pour les patients atteints de mucoviscidose.

Au-delà de l'amertume liée au temps perdu, pour les associations, c'est une immense victoire. « *L'espoir de faire un jour de la mucoviscidose une maladie chronique stabilisée est fondée* », assure Pierre Foucault, président de Vaincre la mucoviscidose.

Aurélie Haroche

France 3 Auvergne-Rhône-Alpes

Mucoviscidose : "une nouvelle ère", la joie des associations à l'annonce du remboursement de deux nouveaux traitements

Après des mois de mobilisation, l'annonce par le Ministre de la Santé Olivier Véran du remboursement de nouveaux médicaments contre la mucoviscidose, provoque une immense joie pour les associations qui ont lutté pour obtenir ce feu vert. 85 % des malades sont concernés par ces traitements.

Publié le 30/06/2021 à 19h04



Photo d'illustration. • © Vaincre la mucoviscidose

[Isère](#)

La mucoviscidose est une terrible maladie génétique dont le traitement et la prise en charge progresse d'année en année. Mais sans la mobilisation massive des associations qui récoltent en permanence des fonds pour soutenir les malades, financer la recherche et des pans entiers des services spécialisés, la situation de ces malades et notamment leur espérance de vie serait beaucoup moins favorable.



Le Kaftrio du laboratoire Vertex

Depuis des mois, elles bataillent aux côtés des médecins pour obtenir que le Kaftrio, médicament mis au point par le laboratoire américain Vertex ainsi que le Symkevi soient commercialisés en France et remboursés. Une pétition a rassemblé plus de 37 000 signatures pour demander au gouvernement et au laboratoire de trouver un accord pour l'accès à ces traitements qui représentent une révolution thérapeutique.

Ces médicaments visent à réparer la protéine CFTR, produit du gène muté, par une combinaison de correcteurs associés à un activateur de cette protéine. Ils ont obtenu leur autorisation de mise sur le marché en août 2020 en Europe. L'Angleterre, l'Allemagne, la Suisse ou le Luxembourg en bénéficiaient, mais pas la France. Apparemment, les négociations entre le laboratoire américain et la France ont été assez opiniâtres pour arriver un juste prix. En Australie, aucun accord n'a pu être trouvé et les discussions vont devoir reprendre.

Mais samedi 26 juin, le ministre de la Santé Olivier Véran a enfin annoncé la bonne nouvelle, le feu vert pour l'accès et le remboursement par la sécurité Sociale du traitement. *« C'est le meilleur traitement identifié à ce jour pour soigner, et une source monumentale d'espoir pour les malades. Il était indispensable que la France permette son accès par le biais de la solidarité nationale. »*

Dans les prochains jours, les malades éligibles pourront enfin en bénéficier. A terme, cela concerne 5 000 patients, soit près des $\frac{3}{4}$ des personnes atteintes de mucoviscidose.

Virginie Douine est la maman d'Evann, 11 ans et atteint de la maladie. Déléguée iséroise de l'association "Vaincre la Mucoviscidose", elle raconte l'émotion à l'annonce lors de l'assemblée générale de l'association de l'arrivée de ces traitements. *"C'est tellement fort qu'on est sidéré, on attendait ça depuis tant d'années et voilà que ces traitements, c'est un espoir fou, pourraient stabiliser et rendre cette maladie chronique. Certains patients en attente de greffe ont pu déjà en bénéficier lors d'un protocole dit compassionnel et on a vu leur capacité respiratoire récupérer de 15 à 20%, ce qui est énorme. Ces patients ont aussi pu reprendre du poids, leur état s'est tellement amélioré qu'on a pu les sortir de la liste d'attente des greffes."*

De son côté, le docteur LLéréna, pneumopédiatre à Grenoble et responsable du CRCM, centre de ressources et de compétences en mucoviscidose, exprime aussi une immense émotion devant cette nouvelle ère qui commence sur-le-champ pour ses jeunes patients. (Ces traitements pourront être administrés dès 12 ans) ; ainsi, depuis le feu vert du ministre Olivier Véran samedi, le docteur LLéréna a déjà annoncé à trois de ses patients qu'ils allaient pouvoir commencer le traitement : *"On y va ! Je ne perdrai pas un seul instant pour donner le Kaftrio à ceux que j'ai repéré."* Et le médecin de nous raconter que Leila, 13 ans, hospitalisée, lui confie *"j'aurai plus besoin de penser pour respirer ? Je vais pouvoir rire ? ...En fait, je vais être une nouvelle personne !"*

Elle nous parle aussi d'Anouck, 18 ans lasse de ces traitements qui marchent un temps, mais jamais à long terme comme un incendie qu'on n'arrive pas à éteindre, *"ça va les porter"* affirme la praticienne qui évoque une autre jeune fille qui elle, refuse le traitement *"parce qu'il peut faire grossir ou provoquer de l'acné selon les effets secondaires, mais d'une manière générale, il est bien toléré"* nous rapporte le médecin.

Le laboratoire Vertex est déjà en train de travailler sur d'autres molécules qui pourront être efficaces sur d'autres malades et d'autres mutations, car actuellement explique Virginie Douine, *"10 à 15 % des malades ne sont pas éligibles à ces traitements et c'est pour cela aussi que nous exprimons certes notre joie, mais avec pudeur et respect pour eux."*

Le coût d'un traitement annuel aux USA représente plus de 300 000 dollars, on ne connaît pas encore le prix négocié en France. En Angleterre, un accord a été trouvé pour quatre ans pour permettre au système de santé, le NHS d'ouvrir l'accès à la molécule à quelques 7000 patients. Au delà de ces quatre ans, les tarifs devront faire l'objet d'un nouvel accord.

« C'est le meilleur traitement identifié à ce jour pour soigner, et une source monumentale d'espoir pour les malades, salue Olivier Véran. Il était indispensable que la France permette son accès par le biais de la solidarité nationale. »

Ouest-France

Un médecin d'Angers : le médicament contre la mucoviscidose, « un gain énorme en qualité de vie »

Le Dr Pascaline Priou, responsable du Centre de ressources et de compétences sur la mucoviscidose (CRCM) adultes au CHU d'Angers, commente avec enthousiasme la mise sur le marché imminente d'un traitement révolutionnaire contre cette maladie génétique qui touche 7 200 personnes en France.

Le Dr Pascaline Priou, pneumologue, est responsable du [Centre de ressources et de compétences sur la mucoviscidose](#) (CRCM) adultes qui a ouvert en 2004 au CHU d'Angers, se félicite de [l'arrivée en France d'un traitement révolutionnaire contre la mucoviscidose](#).

Combien de malades suivez-vous ?

Pascaline Priou : « Le CRCM suit 66 enfants et 87 adultes qui viennent du Maine-et-Loire, de la Mayenne et de la Sarthe. Parmi ces derniers, 10 sont sous Kaftrio dans le cadre d'une autorisation temporaire d'utilisation (ATU), le premier depuis janvier 2020. Ce médicament a été fourni gracieusement par le laboratoire américain car ces patients se trouvaient dans un état critique ».

Qu'avez-vous observé ?

« C'est extraordinaire. Les résultats sont concordants avec les données nationales, sachant qu'un peu plus de 400 malades sont déjà sous Kaftrio. Leurs symptômes respiratoires ont quasiment disparu. Ils ne toussent plus, ne crachent plus, ne sont plus encombrés et sont moins essouffés. Une de nos patientes a pu se passer de son assistance respiratoire nocturne. La plupart ont arrêté leur ventilation et beaucoup ne sont plus sur liste d'attente d'une greffe. Le gain est énorme en qualité mais aussi en espérance de vie, plus de 10 ans selon une étude canadienne ».

Et pour les plus jeunes ?

« L'autorisation de mise sur le marché va concerner les enfants à partir de 12 ans. À cet âge, la plupart ont encore une fonction respiratoire normale. Les grosses complications surviennent plutôt chez les jeunes adultes qui peuvent faire des infections très fréquentes, sources de soins importants. Certains sont sous antibiotiques la moitié de leur vie... On peut donc espérer que les jeunes malades aient une vie transformée grâce à ce médicament qui devrait réduire les hospitalisations de 70 % ».

Tous les malades sont-ils concernés ?

« Le Kaftrio qui associe trois molécules concerne les patients avec la mutation génétique la plus fréquente dans la mucoviscidose (Delta F508, N.D.L.R.). Mais il est probable que l'indication de cette trithérapie s'élargisse progressivement. Sur les 7 200 malades en France tous âges confondus, environ 2 600 vont pouvoir être traités dans les prochains jours et près de 5600 à terme, soit les trois quarts d'entre eux ».

En tant que médecin, comment qualifier ce tournant ?

« On a l'impression de donner une seconde chance aux patients. Ceux qui bénéficient déjà du médicament sont encore surpris de ses effets positifs. Ils ne sentent plus malades. Tous les autres sont évidemment très impatients et partagent cette émotion. Ils attendaient ça depuis si longtemps ».

Ouest-France

Mucoviscidose. Un médicament miracle arrive en France : un patient de l'hôpital d'Angers témoigne

Un médicament, élaboré aux États-Unis, arrive en France. Il a déjà changé la vie d'un Manceau, suivi par le CHU d'Angers. Témoignage.

Il y a un an, Julien Beucher n'avait pas d'autre perspective qu'une transplantation pulmonaire pour espérer prolonger son existence. Atteint de mucoviscidose, maladie génétique rare qui touche 7 200 personnes en France dont une majorité d'adultes, principalement au niveau des voies respiratoires et du système digestif, ce Manceau de 34 ans qui réside à Mulsanne (Sarthe) n'avait plus que 20 % de ses capacités respiratoires et «pas très bon appétit », d'où un état de maigreur avancé (49 kg pour 1,65 mètre).

«J'étais engagé dans le processus de la greffe depuis 2016 quand le [CRCM* du CHU d'Angers](#), qui me suit, m'a proposé de passer au Trikafta », raconte ce chargé de communication.

Il n'a évidemment pas hésité à tester ce médicament élaboré par le laboratoire américain Vertex, des comprimés à avaler matin et soir, réservé...

Mucoviscidose. Un médicament miracle arrive en France : un patient de l'hôpital d'Angers témoigne

Var-Matin

Atteinte de mucoviscidose, cette Varoise veut devenir médecin

Un traitement "miracle" va enfin être disponible en France. Une excellente nouvelle pour les patients, à l'image d'Aurore Franceschini, étudiante en médecine originaire de Saint-Maximin.

Le ministre de la santé, Olivier Véran, vient de l'annoncer à l'occasion d'un congrès organisé par l'association Vaincre la mucoviscidose : les médicaments Kafrio et Symkevi seront prochainement disponibles en France. Après de longs mois d'attente, ce traitement, révolutionnaire pour atténuer les symptômes de la mucoviscidose, va pouvoir être prescrit à la plupart des patients.

Sur les 7 500 personnes souffrant de la maladie en France, 5. 000 pourraient en bénéficier (soit 80 % d'entre elles). Aurore Franceschini 22 ans, étudiante en cinquième année de médecine, en fait partie. "J'ai pleuré à l'annonce de l'arrivée du traitement, que j'attends depuis un an. La pression est enfin retombée", confie-t-elle, pressée de pouvoir tester le médicament et espérant qu'il tienne ses promesses.

Un quotidien amélioré par les traitements

La mucoviscidose est une maladie génétique rare et mortelle affectant les fonctions respiratoires et digestives. De simples gestes de la vie quotidienne, comme prendre une douche ou parler, peuvent constituer un effort pour certains patients. Aurore est bien placée pour savoir qu'un médicament peut sensiblement améliorer sa qualité de vie. Elle s'estime "chanceuse" comparée à d'autres malades. "Je peux vivre normalement", déclare-t-elle, enchaînant séances de kiné et prises de médicaments quotidiennes. La jeune femme admet se sentir très fatiguée et souffrir de gênes respiratoires certains jours, mais se réjouit de ne pas avoir subi de cures d'antibiotiques en intraveineuse ces derniers mois.

Une amélioration de son état, notamment grâce à la prise du médicament Orkambi, depuis cinq ans. Ses effets ont été particulièrement bénéfiques pour Aurore, ce qui n'est pas le cas pour tous les patients. Kafrio, le traitement bientôt disponible en France, promet "20 % de capacité respiratoire supplémentaire, contre 5 % pour Orkambi". La mobilisation des associations a payé L'investissement des associations Vaincre la mucoviscidose et Grégory Lemarchal a probablement payé.

Le 18 juin dernier, elles avaient lancé une pétition, pour accélérer l'accès au traitement en France, qui a atteint, en une semaine, plus de 37. 000 signatures. Une négociation pour fixer le prix du médicament entre le laboratoire et le Comité économique des produits de santé (Ceps), bloquait sa disponibilité en France depuis plusieurs mois. Selon Thierry Nouvel, directeur général de l'association Vaincre la Mucoviscidose, "la pression exercée sur les pouvoirs publics et le laboratoire ont probablement entraîné une issue plus rapide". Ils avaient, en effet, enjoint les protagonistes à parvenir à un accord avant la fin du mois de juin. Ne reste que la publication au Journal officiel pour que le traitement arrive en France, "probablement avant mi-juillet" confie Thierry Nouvel.

►

Dans un premier temps, 2. 500 patients devraient se voir prescrire ce médicament, une fois leur éligibilité validée par un protocole. À terme, 5. 000 patients pourront en bénéficier. Il sera remboursé à 100 % par la Sécurité sociale, au titre de la prise en charge des affections longue durée. Une bonne nouvelle pour les malades, à en juger les retours des rares personnes ayant déjà testé Kafrio : une diminution parfois spectaculaire des symptômes, notamment respiratoires. Les patients déclarent "reprendre goût à la vie", certains évoquent même une "renaissance", voire une "résurrection".

Patiente et étudiante en temps de pandémie L'année 2020 a été particulièrement difficile pour Aurore. L'étudiante en médecine a été contrainte, à partir de mars 2020, d'interrompre son stage, le matin, dans différents hôpitaux marseillais, en raison des risques accrus de contracter la Covid-19. L'après-midi, elle suivait les cours dispensés en ligne. "Le plus dur, c'était l'absence totale de vie sociale, l'isolement", confie-t-elle.

En tant que sujet à risque et personnelle soignante, elle a bénéficié du vaccin dès le lancement de la campagne, en janvier 2021. Cela lui a permis de reprendre son stage en hôpital et de retrouver un semblant de vie sociale, même si elle reste prudente et ne prend pas le risque de se réunir en intérieur, par exemple. "Rendre à la médecine ce qu'elle m'a donné"

L'hôpital est un lieu propice aux infections, où l'étudiante doit faire particulièrement attention. Elle était sur le point de démarrer ses études de médecine lorsque nous l'avions rencontrée en 2016. Elle disait vouloir "rendre à la médecine ce qu'elle m'a donné". L'année prochaine, elle souhaite se spécialiser en endocrinologie. Compatible avec sa maladie (car moins exposée aux microbes), cette discipline permet aussi de ne pas "être confronté quotidiennement à des cas très graves et mortels".

Après avoir connu les hôpitaux en tant que patiente puis soignante. Cinq ans plus tard, elle s'est accrochée, même si elle avoue trouver le métier parfois difficile psychologiquement, face à la détresse de certains patients : "Dans les moments de doute, je me souviens pourquoi j'ai choisi ce métier, et ça me redonne de la motivation. " Dans le Var, les "Viradabrués" annulés cette année Chaque année, l'association Vaincre la Mucoviscidose organise les "Virades de l'espoir", des événements sportifs et ludiques dans toute la France, visant à collecter des fonds pour lutter contre la maladie.

Dans la même optique, Annick et Pierre-Jean Scavino, référents de l'association en centre Var, se chargent depuis plusieurs années d'organiser les "Viradabrués", un événement festif qui se tient dans le village de Brue-Auriac. Protéger les participants Cette année, les "Virades" sont maintenues au niveau national et auront lieu les 25 et 26 septembre. Les Varois, eux, ont décidé, comme l'année précédente, d'annuler les "Viradabrués", "afin d'éviter toute prise de risque pour les participants et la population". Cela se justifie, pour Annick Scavino, par le lieu où se déroule la manifestation, sur une place où "la promiscuité est inévitable". Ces annulations en cascade représentent une perte de revenus importante pour l'association Vaincre la Mucoviscidose, à savoir 40 % de sommes récoltées en moins en 2020, selon son directeur général, Thierry Nouvel. ■

Mucoviscidose: deux nouveaux traitements remboursés, "soulagement" pour les associations

Partager
[Enregistrer](#)



Paris, France | AFP | lundi 28/06/2021 - Deux nouveaux traitements pour les malades atteints de mucoviscidose vont être remboursés par la Sécurité sociale, a annoncé lundi le ministère de la Santé, un "soulagement" car l'un d'entre eux constitue "une véritable révolution thérapeutique", réagissent deux associations.

"Un accord sur le prix vient d'être trouvé" pour les deux médicaments, Kaftrio et Symkevi, du laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, "permettant de prendre en charge ces

►

traitements à 100% par l'Assurance maladie", indique le ministère dans un communiqué. "Le remboursement de ces médicaments interviendra dans les tous prochains jours".

Ces médicaments, en association avec un autre traitement, Kalydeco, pourront être utilisés pour les patients âgés de 12 ans et plus.

Cette décision représente "un véritable soulagement", ont réagi dans un communiqué Vaincre la mucoviscidose et l'association Grégory Lemarchal, qui avaient lancé il y a quelques jours une pétition "pour faire commercialiser le traitement Kaftrio au plus vite en France".

"L'espoir de faire un jour de la mucoviscidose une maladie chronique stabilisée est fondée", a commenté Pierre Foucaud, président de Vaincre la Mucoviscidose.

"Kaftrio, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance", expliquent les associations.

La mucoviscidose est une maladie d'origine génétique rare et incurable qui touche environ 7.100 personnes en France. Elle fait sécréter du mucus anormalement épais, ce qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif.

Elle était autrefois souvent fatale aux enfants et adolescents, mais l'espérance de vie s'est progressivement allongée grâce aux traitements.

Les traitements actuels sont toutefois très lourds: kinésithérapie respiratoire, aérosols, médicaments... Beaucoup de malades subissent des infections pulmonaires à cause de l'encombrement des bronches et doivent être hospitalisés plusieurs fois par an. Des greffes de poumons peuvent allonger la durée de vie.

"Plutôt que d'agir sur les symptômes", Kaftrio et Symkevi agissent sur les "causes sous-jacentes de la maladie" en réparant les défauts d'une protéine, CFTR, causés par une mutation génétique, explique le laboratoire.

"Cette avancée médicale est le fruit de plus de 20 ans d'efforts de recherche et de développement", souligne dans un communiqué Nicolas Renard, directeur général de Vertex France.



Symkevi a reçu une autorisation de mise sur le marché dans l'Union européenne en octobre 2018 et la Haute autorité de santé (HAS) a rendu un avis favorable à son remboursement en mai 2020, jugeant qu'il permettait une amélioration "modérée" du service médical rendu, en association avec Kalydeco.

Kaftrio, déjà commercialisée aux Etats-Unis sous le nom de Trikafta depuis octobre 2019, a lui obtenu le feu vert de l'UE en août 2020 et la HAS a estimé en novembre "importante" l'amélioration du service médical rendu, en association avec Kalydeco.

"Il aura donc fallu attendre plus de 900 jours et 300 jours à compter de l'autorisation de mise sur le marché (AMM) en Europe, respectivement pour Symkevi et Kaftrio, pour que ces médicaments soient enfin accessibles en France, alors qu'ils l'étaient déjà dans une dizaine de pays européens", déplorent les deux associations.

"Au cours des mois écoulés, près de 500 patients ont pu en bénéficier du fait de la très grande sévérité de leur insuffisance respiratoire", grâce à une +procédure d'accès compassionnel+, précisent-elles.

[le Lundi 28 Juin 2021 à 06:09](#) | Lu 127 fois

Publié le 05 juillet 2021 à 06h00

Le Télégramme

Traitements contre la muco remboursés : des malades soulagés

RÉSERVÉ AUX ABONNÉS

Lecture : 3 minutes.

Le samedi 26 juin, le ministre de la Santé Olivier Véran a annoncé le remboursement intégral de deux médicaments pour lutter contre la mucoviscidose, le Symkevi et le Kaftrio. Le second révolutionne la vie des patients.



Les patients atteints de mucoviscidose ont salué le remboursement par la Sécurité sociale du Kaftrio, une trithérapie innovante pour améliorer la santé des personnes souffrant de la maladie. (Photo d'archives Claude Prigent)

« Je suis trop heureuse, je n'arrête pas de pleurer de joie depuis samedi », s'exclame une jeune femme sur un groupe Facebook dédié à la mucoviscidose. Depuis l'annonce par Olivier Véran, le 26 juin, du remboursement par la Sécurité sociale du Kaftrio, une trithérapie innovante pour améliorer la santé de patients atteints de mucoviscidose - la plus courante des maladies génétiques héréditaires en France -, c'est l'euphorie. « Les amis, j'ai mon ordonnance depuis cinq minutes », lance un autre patient.

À lire sur le sujet Fondée à Plouescat en 1986, l'association Muco 29 raconte trente-cinq ans de souvenirs

La décision du ministère de la Santé est un vrai soulagement pour les associations (Vaincre la mucoviscidose et l'association Grégory Lemarchal) qui se battaient depuis dix mois pour que ce traitement coûteux soit remboursé à 100 %. La Commission européenne avait donné son feu vert pour une Autorisation de mise sur le marché européen (AMM), en août 2020, mais la négociation sur les prix avec le laboratoire américain Vertex - concepteur du traitement - retardait l'accès au précieux sésame. Ce sont désormais 3 000, puis 5 000 malades sur les 7 500 en France qui pourront en bénéficier dès ce mois de juillet.

PUBLICITÉ

« L'impression de renaître, de respirer à nouveau »



Le Kaftrio couronne trente ans de recherche scientifique sur la protéine CFTR, qui assure normalement la fluidité du mucus, et qui fonctionne mal chez les « mucos ». Chez ces malades, il est trop épais, et retient les bactéries dans les bronches, entraînant des infections à répétition. Elles obligent en dernier recours à être greffé des poumons.

« Je suis passée de la Twingo à la Porsche avec le Kaftrio, ça a été radical », se souvient Véronique, une patiente de 43 ans qui vit à Brest. Depuis quatre mois, elle a pu bénéficier d'un usage compassionnel du médicament, en raison de son insuffisance respiratoire sévère. « Avant le Kaftrio, mes poumons étaient totalement infectés. J'étais sous quatre litres d'oxygène, j'avais beau faire du sport, des aérosols, boire de l'eau, faire de la kiné, il n'y avait rien à faire. J'ai pris trois comprimés, et j'ai eu l'impression de renaître, de respirer à nouveau », raconte-t-elle.

« Le Kaftrio, ça ne guérit pas, mais ça améliore considérablement la qualité de vie ».

L'ingénieure à l'Inserm dort désormais sans tuyaux la nuit, fait beaucoup moins de cures intraveineuses, mais n'a pas encore pu reprendre le travail, notamment en raison des effets secondaires du médicament. « Le Kaftrio, ça ne guérit pas, mais ça améliore considérablement la qualité de vie. Cela me permet de se projeter plus loin, c'est déjà énorme. »

Le marathon des associations n'est cependant pas encore fini : la trithérapie n'est pas encore accessible aux enfants de moins de 12 ans, et la recherche se poursuit pour les mutations génétiques non ciblées par le Kaftrio. En un mot, le combat continue.

Le Parisien

Le parisien

«Ce médicament, c'est un miracle»: comment David, atteint de la mucoviscidose, revit grâce au Kaftrio

David, 38 ans a bénéficié du Kaftrio, ce médicament qui peut permettre à 85% des malades de mucoviscidose de retrouver une vie plus normale et remboursé à 100% depuis début juillet.



Grâce au nouveau traitement contre la mucoviscidose qu'il prend depuis un an et demi, David peut rejouer au

▶
basket avec sa fille. DR
Par Aline Gérard

Le 5 juillet 2021 à 16h42

« Ma fille a retrouvé son papa ». Dans la voix de David F., atteint de mucoviscidose, [cette maladie rare qui éteint le souffle](#), plus encore que le soulagement, on entend la vie qui palpite à nouveau. Une ombre filiforme d'1,80 m, un fantôme pour qui chaque marche d'escalier était un Everest, voilà ce qu'était devenu ce solide rouquin barbu de 38 ans, avant de commencer, il y a un an et demi, à prendre du Kaftrio, ce médicament « miracle » qui vient d'arriver en pharmacie et a déjà contribué à réduire de 56 % le nombre de greffés des poumons l'an dernier.

Depuis le 3 juillet, après de très longs mois d'attente, il est remboursé. Un accord de prix annoncé le 26 juin par Olivier Véran, le ministre de la Santé, a été trouvé entre Bercy, l'assurance maladie et Vertex, le laboratoire américain qui l'a lancé, et l'arrêté de remboursement a été promulgué et publié au journal officiel dans la foulée. Et pour 85 % de quelque 5 000 malades atteints, comme cet ingénieur, de la forme la plus classique de cette maladie, c'est l'espoir qui renaît.

« Des larmes de joie »

Ce traitement, commercialisé dès octobre 2019 aux États-Unis, et depuis dans neuf pays d'Europe, vise spécifiquement leur profil génétique. Il ne répare pas les gènes défectueux responsables d'une sécrétion anormalement épaisse du mucus, qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif caractérisant, mais il permet de retrouver une qualité de vie. Il sera prescrit d'abord dès 12 ans, avant d'être rendu accessible progressivement aux plus jeunes.

« Ce médicament, c'est vraiment [de la super science](#). Un véritable miracle. Je pense à tous ces gamins qui vont pouvoir enfin grandir en ayant une scolarité normale, profiter de leurs copains s'amuser, draguer, vivre quoi ! » s'enthousiasme David, l'un des 500 patients à avoir pu en bénéficier précocement dans le cadre d'une procédure d'accès compassionnel, réservée aux personnes qui ne peuvent



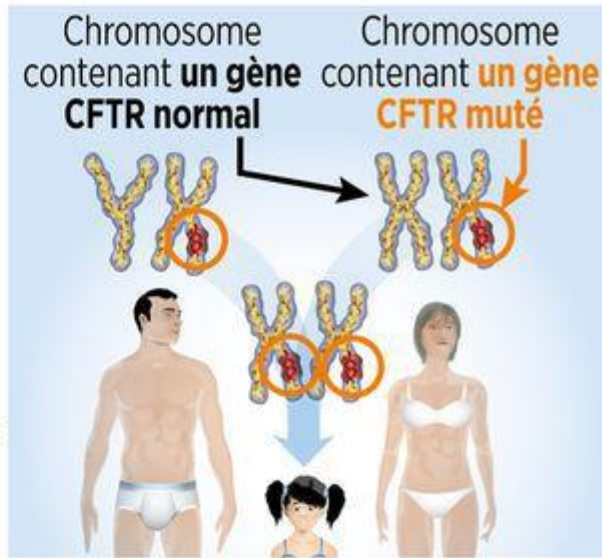
être traitées par des produits déjà sur le marché.

Une maladie qui touche principalement les voies respiratoires



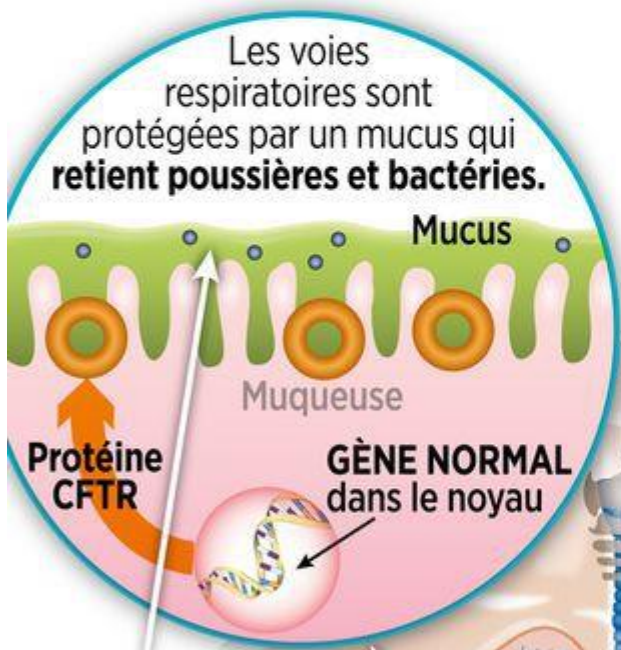
LA MUCOVISCIDOSE est une maladie génétique rare, non contagieuse, qui altère la fluidité du mucus et touche principalement les voies respiratoires et le système digestif.

Si les deux parents sont atteints d'une mutation du gène CFTR, ils peuvent transmettre la mucoviscidose à leur enfant (dans un cas sur quatre).

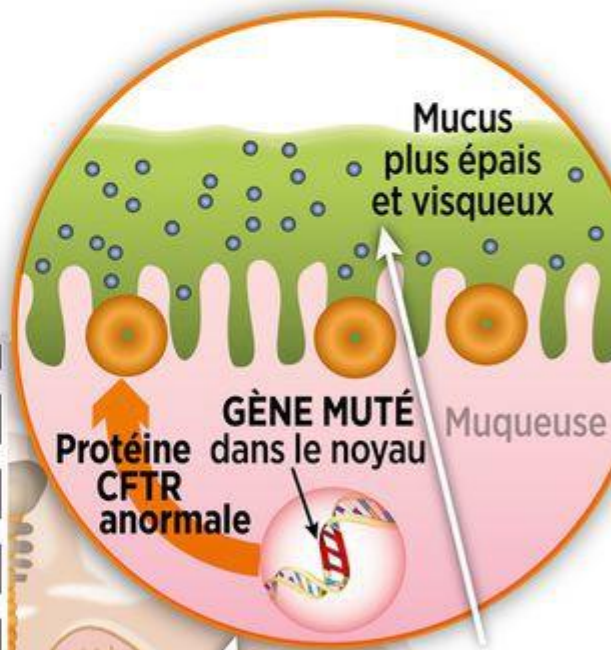


PERSONNE ATTEINTE DE LA MUCOVISCIDOSE

PERSONNE SAIN



Ce mucus doit être suffisamment fluide pour s'évacuer facilement.



Chez les malades, les protéines CFTR sont anormales et entraînent l'apparition d'un mucus épais et collant qui n'est plus évacué.

Le patient subit des infections à répétition et une inflammation chronique.

SOURCE : VAINCRELAMUCO.ORG.

LP/INFOGRAPHIE, C. TÊCHE.

►

[La greffe](#) ou la mort, c'était son unique alternative il y a un an et demi. « Quand j'ai commencé le traitement, j'étais bon pour postuler pour un rôle dans la liste de Schindler », raconte ce scientifique avec cet humour noir propre aux grands malades. « Je ne pesais plus que 58 kg, j'étais sous oxygénothérapie jour et nuit, j'en étais à 4 à 5 heures de kiné et d'exercices par jour, j'avais un appétit de moineau, des insomnies, cela faisait des nuits que j'étais obligé de dormir assis pour soulager ma cage thoracique douloureuse. »

Quand, le 27 février 2020, il reçoit le feu vert de Vertex pour prendre du Kaftrio, il raconte : « Mon médecin venait de m'inscrire sur la liste des patients en attente de greffe, il était dubitatif, moi j'ai versé des larmes de joie, cette date je ne l'oublierai jamais. »

« J'ai craché, expectoré comme jamais, mais j'étais aussi très excité »

Le jour J tant attendu de la prise des premiers comprimés arrive. « Les effets ont été quasi-immédiats, se souvient-il, cela m'a provoqué d'abord de terribles quintes de toux, pendant 24 heures, j'ai craché, expectoré comme jamais, j'avais un peu peur mais j'étais aussi très excité. Puis, dès le lendemain matin, j'ai ressenti un mieux ; je me suis aperçu que je prenais le petit-déjeuner avec appétit, cela ne m'était pas arrivé depuis des lustres, j'ai tenté prudemment l'escalier, surprise, je l'ai monté sans trop de peine, ensuite, j'ai pu prendre ma douche tout seul, et en fin d'après-midi, j'ai pu même sortir avec ma fille faire quelques courses. »

[À lire aussi](#) Alexandra : « Comment le sport m'aide à combattre la mucoviscidose »

Dès la fin de la première semaine de traitement, David respire déjà mieux, « mon médecin n'en revenait pas, il m'a dit : *C'est bizarre, je n'entends plus rien, aucun sifflement, ni grésillement*. Par la suite, les tests ont montré que j'étais déjà remonté à 30 % de souffle contre 17 % », poursuit-il. Son corps retrouve du tonus.

►

« C'est ma fille qui me l'a fait remarquer : *qu'est-ce que tu te tiens droit, Papa !* Je ne marchais plus comme Obélix portant son menhir. »

David en est maintenant à 42 % de capacités respiratoires. Peut-il encore progresser ? « On verra, je conserve des lésions », explique-t-il, prudent, mais pour lui, le progrès est déjà énorme : « Au final, ces 42 % de souffle, cela ne fait jamais qu'un peu moins d'un poumon, mais, déjà, c'est fou ce que l'on peut faire avec », observe ce costaud qui a retrouvé ses 80 kg, repris son travail à plein temps, et peut s'amuser à nouveau à mettre des paniers au basket avec sa fille. Un projet de construction de piscine dans sa maison de Manosque, des vacances à « Paris, Bruxelles, et en Normandie » cet été, puis l'île de la Réunion autour d'octobre... pour David, le miraculé du Kaftrio, la « machine à projets » s'est remise en marche.

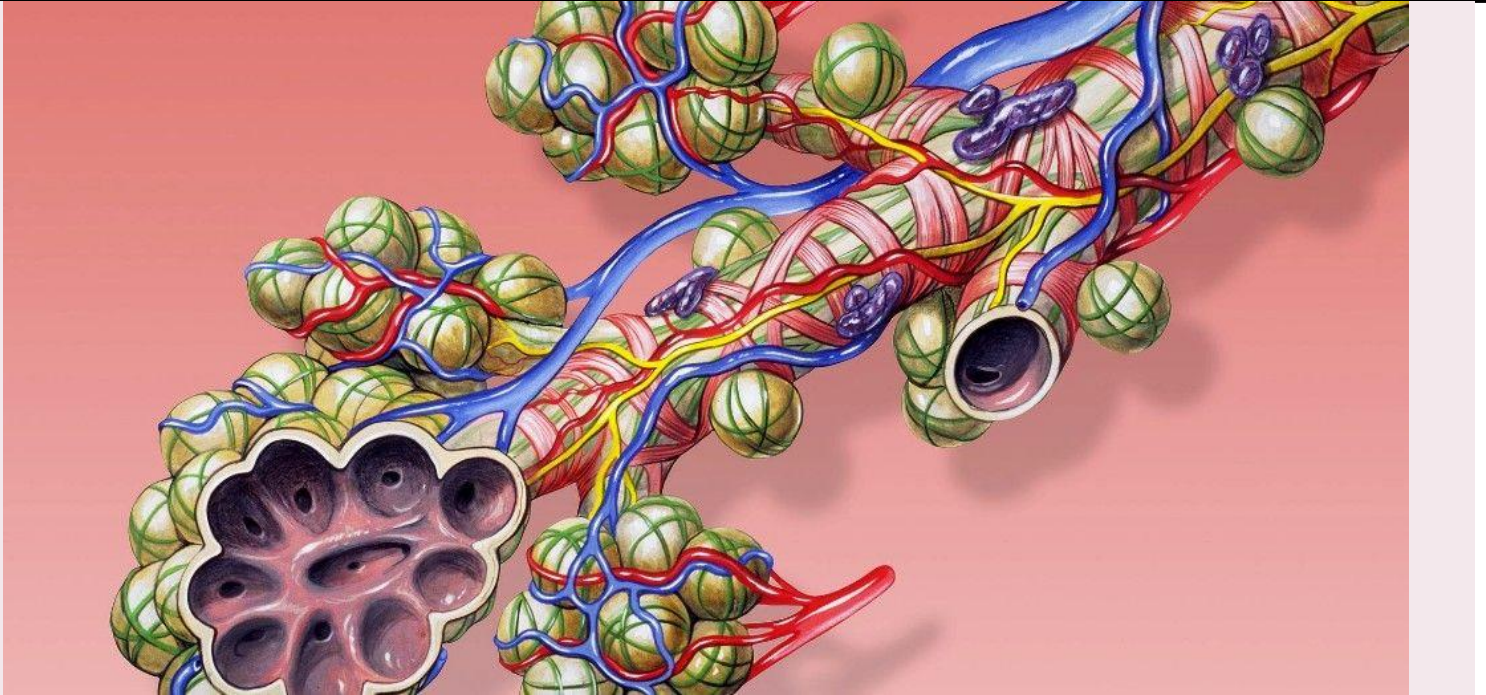
Slate.fr

The logo for Slate FR, featuring the word "Slate" in a large, white, sans-serif font, with "FR" in a smaller, white, sans-serif font to its upper right, all set against a dark red background.

Mucoviscidose: deux médicaments vont enfin permettre aux malades de respirer

[Thomas Abgrall](#) — 6 juillet 2021 à 10h11

À compter du 6 juillet, des milliers de malades qui souffrent de cette pathologie bénéficieront de deux nouveaux traitements. L'un d'eux, le Kaftrio, pourrait considérablement allonger leur espérance de vie.



La mucoviscidose est causée par le dysfonctionnement d'une protéine du gène CFTR qui empêche le mucus de se fluidifier, laissant les poumons sans protection contre les infections. | Patrick J. Lynch [via Wikimedia](#)

Temps de lecture: 11 min

David ne pourra jamais oublier cet instant. Un retour à la vie. Une libération fulgurante. Ce week-end de février 2021, ce père de famille de 38 ans quitte le centre de réhabilitation de Giens (Var) où, armé de sa bouteille d'oxygène, il a passé la semaine afin de rejoindre sa femme et sa fille à l'occasion des deux jours de repos hebdomadaire. Au volant de sa voiture, il est subitement pris d'une grosse quinte de toux. Le mucus qui engluait ses poumons commence comme par magie à se détacher des parois de ses bronches. Ses alvéoles grésillent et s'agitent de partout. Il expulse en quelques heures ce qu'il n'est jamais parvenu à sortir de ses poumons depuis des semaines. Il respire.

Quelques heures plus tôt, David a commencé à prendre du Kaftrio, un nouveau traitement révolutionnaire contre la mucoviscidose. Cette affection est la plus fréquente des maladies génétiques héréditaires en France. «*J'ai eu du mal à croire que quelques comprimés pouvaient avoir un tel effet, c'était incroyable*, se souvient David. *Quand je suis retourné à Giens en début de semaine, le médecin m'a ausculté. Il m'a assuré qu'il entendait l'air circuler dans mes bronches. On ne m'avait jamais dit ça de ma vie.*»

▶ À LIRE AUSSI [L'incompréhensible refus français d'étendre le dépistage génétique des nouveaux-nés](#)

«Une sacrée queue de poisson à la mort» remboursée par la Sécu

Dès mardi 6 juillet, le Kaftrio devient accessible en France. Depuis que le ministère de la Santé a annoncé que la Sécurité sociale allait le rembourser à 100%, on sait qu'il devrait changer la vie d'environ 3.000 malades dans un premier temps. À terme, 5.000 patients seront pris en charge (on compte 6.500 personnes concernées par cette affection en France, d'après les chiffres de la Fondation pour la recherche médicale).

David a eu la chance de figurer parmi les 500 malades qui ont eu la primeur du traitement depuis le début de l'année 2021. Il fait partie des malades les plus dégradés, une condition qui donne le droit à un usage «compassionnel» de cette trouvaille, via une autorisation temporaire d'utilisation nominative (ATUn). Le père de famille n'était alors qu'à un doigt d'être inscrit sur une liste d'attente pour recevoir une greffe des poumons. Avec le Kaftrio, il estime avoir fait «une sacrée queue de poisson à la mort».

Quatre mois de traitement ont suffi à David pour qu'il se passe des 3 litres d'oxygène, des aérosols ou des séjours à l'hôpital qui rythmaient son quotidien.

«J'étais hanté par l'idée de ne pas pouvoir continuer à éduquer ma fille, de laisser ma femme seule avec beaucoup de responsabilités. Ces angoisses se font moins présentes. La machine à projets fonctionne à nouveau à plein régime», se réjouit David. Quatre mois de traitement ont suffi à cet ingénieur spécialisé dans le nucléaire pour se passer des 3 litres d'oxygène, des aérosols, des cures intraveineuses ou encore des séjours à l'hôpital qui rythmaient son quotidien. Il a repris du poids. Il a même retrouvé son travail, dès la levée du confinement. S'il lui arrive de rebrancher son extracteur d'O₂, c'est juste quand il doit tondre sa pelouse. C'est aussi et surtout avec le souci de rassurer sa fille de 10 ans qui reste inquiète pour son papa.

Les fruits d'une recherche acharnée

Cette renaissance, David la doit à près de trente années de recherches scientifiques menées avec acharnement. Les études ont fait leurs premiers pas au début des années 1980 en obtenant des résultats encourageants concernant le séquençages du génome humain. Elles se sont accélérées en 1989 lorsque deux laboratoires concurrents ont uni leurs efforts –l'un basé au Canada, l'autre aux États-Unis. Mais rien n'aurait été possible sans le soutien financier de l'association américaine de mucoviscidose (Cystic Fibrosis Foundation).

La collaboration a porté ses fruits. Ensemble, ils découvrent il y a trente ans le gène responsable de la mucoviscidose, le CFTR. Ce dernier produit une protéine du même nom qui, lorsque le corps fonctionne sainement, permet de fluidifier le mucus afin de protéger les poumons contre les infections. Chez les «mucos», ce processus déraile. Les bactéries restent prisonnières des bronches et génèrent des exacerbations pulmonaires à répétition. Le mucus obstrue aussi les canaux qui relie le pancréas à l'intestin, entraînant des problèmes digestifs.

Dans les années 1990, la recherche commence par privilégier la piste de la thérapie génique. Cette dernière consiste à introduire une copie saine du gène CFTR dans les cellules. Mais cette hypothèse ne donnera aucun résultat probant. *«Plutôt que de modifier l'origine du gène, les chercheurs ont tenté de réparer en aval la protéine CTFR en utilisant*

►
de nouvelles molécules», explique le Dr Dominique Hubert, pneumologue au Centre de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM), à l'hôpital Cochin.

À LIRE AUSSI Les patients atteints de maladies génétiques ne sont pas tous favorables à la manipulation du génome

À la même période, l'association américaine de mucoviscidose joue un rôle décisif en pariant sur la start-up américaine Vertex Pharmaceuticals, créée juste après la découverte du gène. En 1998, l'organisation à but non-lucratif choisit de miser sur l'avenir des remèdes qui sont encore à développer contre la «muco» en finançant les travaux de la firme biotech à hauteur de 150 millions de dollars (126,4 millions d'euros). En échange, l'association compte récupérer des royalties sur la vente des médicaments à venir. Les partenaires inaugurent à cette occasion un nouveau modèle économique au service des maladies rares, la *venture technology*, c'est-à-dire l'application des méthodes de l'entrepreneuriat classique à une cause d'intérêt général. En 2001, Vertex rachète la start-up AuroraBiosciences qui jouera le rôle d'atout maître. «*L'acquisition d'une biotech spécialisée dans le criblage haut débit a permis d'identifier, d'isoler et de tester des milliers de molécules dans le but d'améliorer la fonction de la protéine CFTR. Cette acquisition a été le jackpot pour Vertex*», affirme Frédéric Becq, professeur de physiologie et spécialiste de la mucoviscidose.

«Kaftrio augmente la fonction respiratoire de 14% en moyenne, diminue de 60% les infections respiratoires aiguës et divise par deux les greffes de poumons.»

Pierre Foucaud, président de l'association Vaincre la mucoviscidose

2005 marquera la première avancée majeure dans les travaux qui donneront naissance au médicament: Vertex découvre un activateur (c'est-à-dire une protéine qui sert à se lier à l'ADN et chargée de stimuler la transcription d'un gène ou d'un opéron). La mission du Kalydeco consiste à améliorer la fonctionnalité de la protéine CFTR. Sept ans après cette découverte inédite, le labo obtient une autorisation de mise sur le marché européen (AMM). «*La médecine se contentait jusque-là de traitements symptomatiques, à base de cures d'antibiotiques ou d'aérosols. Pour la première fois, le Kalydeco agit directement sur la cause de la maladie*», souligne le Dr Hubert.

Il restera cependant à régler un problème de taille: cette version du traitement n'est efficace que pour 3 à 5% des malades. L'obstacle ne suffit pas pour autant à entailler l'acharnement des scientifiques. En 2016, Vertex brevète sa première bithérapie, l'Orkambi. Cette dernière est fondée sur l'association entre l'ivafactor et un correcteur (qui agit sur le défaut de maturation de la protéine CFTR), le lumafactor. Celui-ci améliore modérément la fonction respiratoire chez les patients porteurs de la double mutation la plus fréquente, nommée ΔF508. Mais certains patients le supportent mal. Il existe bien une autre bithérapie mieux tolérée par les malades, le Symkevi. Mais, jusqu'à présent, les patients ne pouvaient pas en disposer. Le changement est désormais d'actualité.

À compter du mardi 6 juillet, la dernière génération de médicaments arrive enfin le marché. Olivier Véran en a déjà annoncé le remboursement.

Le Kaftrio est une première trithérapie qui cumule un activateur et deux correcteurs. Cette fois, la combinaison de molécules agit sur près de 80% des personnes souffrantes. «*Sous Kaftrio, la fonction respiratoire des malades a augmenté en moyenne de 14%. Les infections respiratoires aiguës ont aussi diminué de 60% et le nombre de greffes des poumons a été divisé par deux en 2020*», se félicite Pierre Foucaud, président de l'association Vaincre la mucoviscidose (VLM).

Les générations futures ne mourront peut-être plus de cette maladie génétique. Actuellement, l'espérance de vie des gens qui en sont atteints ne va pas au-delà de 47 ans. *«Plus le Kaftrio sera donné tôt, plus on freinera la maladie. Le médicament perd son efficacité dès lors que les lésions pulmonaires sont trop graves. Les enfants qui naissent aujourd'hui n'auront probablement plus besoin de greffe à l'avenir»*, pronostique le Dr Hubert.

Le prix du succès

Obtenir le remboursement des traitements par la Sécurité sociale n'a cependant pas été simple, en raison d'un bras de fer entre Vertex et le gouvernement à propos du prix de vente fixé par la France pour mettre cette nouvelle thérapie sur le marché. Il a fallu patienter onze mois entre l'autorisation de mise sur le marché européenne (AMM) en août 2020 et la décision de remboursement de ce médicament, approuvée par l'Assemblée nationale le 2 juillet 2021.

Depuis que Vertex est coté en Bourse (2006), on retrouve parmi ses principaux actionnaires de grands fonds d'investissement tels que T. Row Price ou BlackRock, lesquels ont repris en main le marketing de la société et ont fait s'envoler le prix des médicaments. La situation de monopole de la firme américaine lui offre une grande liberté pour fixer le coût de ses produits. Elle a distancé ses concurrents en matière d'innovation et ses comprimés ont obtenu le statut de médicament «orphelin» de part et d'autre de l'Atlantique. Au sein de l'Union européenne, la société a réussi à obtenir l'exclusivité commerciale pour une période de dix ans après la date de mise sur le marché de cette trithérapie –sans oublier des avantages fiscaux. L'entreprise a aussi profité du fait que l'on incite les grands labos à faire de la recherche sur les maladies rares. *«Vertex a employé une stratégie agressive en matière d'essais cliniques, visant à capter près de 90% des patients, déjà peu nombreux, pour tester ses médicaments. Quand les malades bénéficient du Kaftrio, ils ne sont plus très volontaires pour expérimenter d'autres préparations pharmaceutiques»*, note Frédéric Becq.

La négociation du prix de l'Orkambi avec Vertex, qui a pris quatre ans, a laissé des souvenirs cuisants aux patients et aux associations. En 2018, le raidissement du dialogue entre l'entreprise et le gouvernement français a poussé le groupe pharmaceutique à suspendre temporairement les essais cliniques qu'il menait en France sur un médicament innovant sous prétexte que l'exécutif l'avait *«pris en otage»*. **Vertex a fait le bras de fer avec le gouvernement au sujet du prix de vente que la France voulait fixer.**

Cette expérience a motivé les associations à mettre rapidement la pression quand il s'est agi du Kaftrio. En octobre 2019, dès l'autorisation de mise sur le marché américain de la trithérapie par la Food and Drug Administration (FDA), elles sont montées au front à l'échelle européenne afin de plaider leur cause. *«L'AMM obtenue en août 2020 a été accélérée par la pandémie. Les premiers mois, les patients atteints de mucoviscidose paraissaient particulièrement vulnérables au Covid-19»*, explique le président de Vaincre la mucoviscidose. L'association a lancé un large appel à témoignages relatifs au ressenti des patients vis-à-vis du Kaftrio. Les malades y ont répondu dès le milieu de l'été. Cette action participe à la genèse de l'ouverture au remboursement émanant de la Haute autorité de santé (HAS).

Les négociations sur les tarifs n'ont cependant pas dit leur dernier mot. *«Le prix du Kaftrio est ultrasecret en France. On connaît celui qui est affiché en Allemagne ou au Royaume-*

►

Uni et qui varie entre 200.000 et 250.000 euros par patient pour une année de prescriptions. Mais en réalité, les prix sont moindres. Il n'empêche que la France a la réputation de négocier les tarifs les moins chers d'Europe», explique Pierre Foucaud. Ces coûts font réagir Frédéric Becq. «Ce sont des prix très élevés que l'on ne peut expliquer uniquement par les dépenses de production ou par la recherche et développement. Les tarifs des médicaments "orphelins" sont connus pour être vingt-cinq fois plus chers que les autres car ils ne concernent qu'un nombre réduit de malades.» On connaît en tout cas les revenus amassés par Vertex Pharmaceuticals pour ses ventes de médicaments contre la mucoviscidose. En 2020, l'entreprise affichait 6,2 milliards de dollars de résultat financier (environ 5,2 milliards d'euros).

«Le combat continue»

L'attente est toujours trop longue pour les personnes qui souffrent de cette pathologie. «On vit avec un chrono dans la tête. Notre échelle du temps n'est pas la même que celle les autres, explique Véronique, une patiente de 43 ans ingénieure à l'Inserm. Il faut maintenir la pression et continuer les recherches pour les 15 à 20% de patients qui ne bénéficient d'aucun traitement efficace. De nombreuses pistes sont prometteuses, notamment celles qui sont liées aux avancées récentes sur l'ARN messager.»

Zélie, 10 ans, devra encore se battre le temps de pouvoir accéder au précieux médicament, auquel les moins de 12 ans n'ont pas encore accès. Aux États-Unis, les jeunes utilisent déjà le Kaftrio. Mais l'extension de l'AMM pour les 6-12 ans n'a pas encore atteint l'Europe. Zélie, «en mode survie», a une «muco» sévère contre laquelle elle se bat comme un diable. «Elle a deux heures de soins [quotidiens] quand tout va bien», raconte sa maman, Blandine Gautrin. Le matin, elle doit souvent porter une pompe à perfusion dans son sac à dos sur le chemin de l'école. Après le goûter, son emploi du temps est souvent synonyme de séances de sport, aérosols et kiné respiratoire. Avant la nuit, une infirmière vient lui brancher la sonde qui sert à sa nutrition entérale. Zélie est atteinte d'un trouble digestif importante et ne pèse que 25 kilos.

«Cela fait plusieurs années que nous avons entendu parler du Kaftrio. Nous avons essayé de faire participer notre fille à un essai clinique en 2020, mais sa fonction respiratoire était trop faible», explique Blandine, qui a raconté son expérience dans le livre Un bisou sur ta peau salée. Il a fallu encaisser la nouvelle. «On apprend à ne pas se projeter ni à se réjouir trop vite. Les premières années de la vie de Zélie nous ont tellement bousculés qu'on préfère se protéger. On se réjouira une fois l'ordonnance sous les yeux», explique la mère. Zélie pourrait bénéficier de l'AMM l'année prochaine ou lorsqu'elle aura 12 ans au plus tard. «Dans quelques années, elle pourra se consacrer à sa vie d'adolescente, faire des études, fonder une famille», se prend à rêver sa mère. L'arrivée du Kaftrio va bouleverser la vie de tout le foyer, lui permettre de se lancer de nouveaux défis et de se mettre à réfléchir à des perspectives d'avenir. «C'est bien compliqué de croire en ce bonheur-là. Ceci dit, nous avons encore un peu de temps pour nous y préparer. En attendant, le combat continue.»

MARLHES

Lutte contre la mucoviscidose : « Ce traitement, c'est inespéré »



Cette maladie fait sécréter du mucus anormalement épais qui obstrue les voies respiratoires et le système digestif.

Photo Progrès/Philippe VACHER

De nombreux patients atteints de mucoviscidose comme Thomas Catel vont pouvoir bénéficier de Kaftrio® et Symkevi®. Deux médicaments disponibles depuis peu en France qui marchent et qui seront remboursés par la Sécurité sociale.

« C'est un message d'espoir » sourit Thomas Catel qui nous accueille dans sa maison à Marlhes où il est père au foyer, « par choix », précise-t-il. Depuis presque toujours, ce papa de 42 ans compose avec la mucoviscidose. Une maladie génétique évolutive grave, incurable, qui lui a été dépistée à l'âge de 3 ans, qui malmène ses poumons et son pancréas. « Je n'ai pas d'autres comorbidités, j'ai la base » plaisante-t-il.

Avec une capacité respiratoire de 60 %, il doit s'astreindre à un traitement lourd au quotidien : prise d'aérosols le matin et le soir, séances de 30 à 40 minutes de kinésithérapie respiratoire, régime de gélules, une vingtaine, qu'il doit avaler « sinon je ne digère pas. » Un traitement complété par des hospitalisations deux semaines par an avec intraveineuses d'antibiotiques trois fois par jour.

Une amélioration au quotidien

« Je fais une cure en janvier et juillet et, là, je sens que mes bronches sont encombrées. » Pile, Thomas Catel s'interrompt, pris par une grosse quinte de toux. « Depuis 10 ans, mes antibiogrammes sont dans le rouge. Je commence à devenir résistant. Il n'y a plus grand-chose qui

commence à faire effet. » Alors la commercialisation en France et le remboursement par la Sécurité sociale des deux médicaments Kaftrio® et Symkevi® du laboratoire américain Vertex, « c'est presque magique ».

S'il ne guérit pas, ce traitement devrait stabiliser la maladie. « J'ai une connaissance qui était en pré-greffe à qui on a administré ce médicament en protocole d'essai. Il a pris quinze kilos, ne crache plus, et a récupéré 10 à 15 % de son volume expiratoire maximal par seconde. » Autant dire que ce traitement suscitait de l'attente. Cet administrateur au niveau national de l'association Vaincre la mucoviscidose fait partie des 5 000 patients éligibles par mutation génétique à cette thérapie protéique.

« Dans les trois mois à venir, le temps que les stocks de médica-

ments soient livrés, nous devrions être traités » espère Thomas qui devrait prendre Kaftrio® dès cette fin de semaine. Et constater, à terme, quelques changements dans sa vie. « Je ne ferai peut-être plus qu'une cure par an, qu'une à deux séances de kinésithérapie par semaine, je prendrai peut-être du poids. Aujourd'hui je pèse 55 kilos pour 1m74, j'ai l'IMC d'un anorexique. Je serai aussi peut-être moins gêné à l'effort. »

Peut-être qu'il ne sera plus affligé par ces quintes de toux qui le secouent au réveil. Et peut-être aussi que cette fichue maladie ne lui volera plus d'années. « Ce traitement est inespéré mais il ne faut pas oublier les autres patients qui n'ont pas la chance d'en bénéficier. Le combat continue pour qu'eux aussi aient des traitements innovants. »

Muriel CATALANO

«À terme, cela concerne 5 000 patients, soit près des trois quarts des malades»

Les parents d'Enzo Cresci, 12 ans, atteint de mucoviscidose depuis la naissance, ont lancé, il y a quelques semaines, une collecte avec leur association, Tous pour Enzo contre la muco, pour obtenir le Kaftrio®.

À l'époque, le traitement n'était proposé qu'à 3 500 malades âgés de plus de 12 ans. Ce médicament était alors remboursé dans une dizaine de pays européens dont l'Allemagne, la Grande-Bretagne, la Suisse mais pas la France. La somme collectée, 23 700 €, avait été remise à Vaincre la mucoviscidose qui participait aux négociations auprès de la Haute Autorité de



Pascale Lefevre, déléguée territoriale de Vaincre la Mucoviscidose et Gilles Cresci, de l'association Tous pour Enzo contre la muco. Photo DR/association Vaincre la mucoviscidose

Santé pour qu'un accord entre le comité économique des produits de santé et le laboratoire Vertex Pharmaceuticals soit trouvé pour le remboursement de Symkevi® et Kaftrio®.

« Cet accord était très attendu par les associations de patients » témoignent dans un communiqué Vaincre la mucoviscidose et Grégory Lemarchal En finir avec la mucoviscidose. « Il signifie que, dans les prochains jours, les malades éligibles pourront enfin en bénéficier. À terme, cela concerne 5 000 patients, soit près des trois quarts des personnes atteintes de la maladie. »