

VAINCRE



hors-série

JUILLET-SEPTEMBRE 2021



INTERVIEWS

Questions à...

Pierre Foucaud,
Pierre Lemarchal,
Paola De Carli,
et Nicolas Renard

P. 10



TÉMOIGNAGES
APRÈS L'ACCORD

Florilège de témoignages

P. 16



ILS EN PARLENT

Vu sur les réseaux,
vu dans la presse

P. 18



#KAFTRIOMAINTEANT

DANS LES COULISSES DE LA BATAILLE POUR KAFTRIO®

P. 04

Merci !

Grâce à vous, Vaincre la Mucoviscidose
lutte avec force contre la maladie.

Du fond du cœur,
nous vous disons **MERCI.**

Merci pour les malades et leurs familles
pour lesquels **l'espoir d'un avenir meilleur**
réside dans la mobilisation constante
et toujours déterminée de l'association.

Merci de rester fidèles en tout temps
à ce combat quotidien.

**C'est avec vous que nous réussissons
à vaincre la maladie.**



Des raisons d'y croire, la force d'agir...

En plus de 50 ans, l'association a livré des batailles et remporté de nombreuses victoires contre la mucoviscidose. Trop de patients, d'enfants, d'amis ont péri. Mais l'espoir et le combat auront permis de faire reculer les noires destinées auxquelles conduit la maladie.

Et cela grâce à vous, communauté de familles, de patients et de sympathisants qui inlassablement vous êtes donné les moyens d'agir. Combien d'heures passées pour collecter et sensibiliser l'opinion publique à l'importance de nous aider à agir ? Des millions sans doute. Il aura fallu soutenir les chercheurs et aussi convaincre les pouvoirs publics.

Oui, le combat contre la mucoviscidose est exemplaire à plus d'un titre.

Non, il n'y a pas de fatalité. Croire en l'espoir donne la force d'agir.

La bataille pour « Kaftrio® » a été orchestrée dès l'autorisation de mise sur le marché aux États-Unis en juillet 2019 et la partition écrite dès l'AMM délivrée par l'agence européenne fin août 2020.

Un seul mot d'ordre, mener une campagne éclair !

Le soulagement est venu le 26 juin 2021 lors du congrès de Vaincre la Mucoviscidose. Kaftrio® et Symkevi® sont à présent disponibles en France.

C'est une étape importante dans la lutte contre la mucoviscidose.

Nos objectifs, vivre aujourd'hui, vaincre demain sont à portée de mains ! Ne baissons pas les bras. Ne laissons personne au bord du chemin et notamment ceux qui ne pourront pas accéder à de tels traitements. Alors, oui, faire association est une absolue nécessité.

Engagez-vous, rejoignez-nous !



KAFTRIO MAINTENANT

DANS LES COULISSES DE LA BATAILLE POUR KAFTRIO®

Ces derniers mois, au sein de l'association, pas un jour n'est passé sans penser aux malades qui s'impatientaient légitimement d'avoir enfin accès à Kaftrio®. L'objectif de l'association était bien de rendre accessible rapidement Kaftrio®; sans toutefois confondre vitesse et précipitation, en faisant confiance aux différents acteurs tout en faisant preuve de fermeté. Nous ne voulions pas revivre des années d'attente comme ce fut le cas pour Orkambi®. Retour sur les coulisses des actions menées par Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Grégory Lemarchal.

Accélérer d'abord le processus d'évaluation

Dès l'annonce fin 2019 du dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché par le laboratoire Vertex auprès de l'agence européenne du médicament (EMA), Vaincre la Mucoviscidose a agi pour accélérer les processus d'évaluation.

L'association, en concertation avec CF-Europe (qui regroupe les associations européennes de patients) œuvre auprès de l'EMA pour accélérer le processus d'autorisation de mise sur le marché (AMM), phase préalable à l'accès de ce nouveau médicament en France. Parallèlement, Vaincre la Mucoviscidose s'adresse en France aux différents acteurs : le laboratoire Vertex, les pouvoirs publics français (HAS, ANSM, CEPS). Tous semblent convaincus de l'importance de rendre le médicament rapidement accessible. L'AMM est ainsi obtenue en moins de 9 mois ainsi qu'une autorisation temporaire d'utilisation pour les patients les plus fragiles délivrée par l'ANSM à la demande du laboratoire. Kaftrio® se voit reconnaître le statut de médicament présumé innovant ce qui ouvre la porte à une procédure accélérée par la HAS. Trois mois à peine après l'AMM, la commission de la transparence de la HAS rend son verdict. S'appuyant naturellement

sur les données des études cliniques mais aussi sur la contribution de Vaincre la Mucoviscidose, elle estime que Kaftrio® apporte une amélioration importante au traitement des malades atteints de mucoviscidose (ASMR II). Rares sont les médicaments qui obtiennent de telles évaluations. Rares sont aussi les fois où la HAS s'appuie aussi fortement sur la contribution d'une association de patients et cite son travail.

Kaftrio®, un enjeu de taille pour 5 000 patients et les finances publiques

Cette première étape franchie, il reste encore celle de la négociation sur le prix du médicament qui demeure la plus délicate et peut s'éterniser. Pour rappel, il a fallu 4 ans de négociation avant que les parties prenantes ne se mettent d'accord sur le prix d'Orkambi®. Il était hors de question de revivre cela.

Le prix affiché aux États-Unis est de 280 000 euros par an et par patient... soit à terme en France plus d'un milliard d'euros par an compte-tenu de la population concernée. L'enjeu est de taille tant pour les patients que pour les finances publiques et naturellement le laboratoire. Mais, il était inimaginable de

voir un médicament aussi révolutionnaire demeurer inaccessible aux malades en France. Consciente de l'importance de l'ouverture de cette 2^e phase qu'est la négociation du prix, Vaincre la Mucoviscidose a souhaité médiatiser l'avis de la HAS. Un communiqué et dossier de presse mettant en avant l'urgence de rendre accessible Kaftrio® sont envoyés à plus de 1 000 journalistes ce qui a permis d'obtenir quelques retombées en presse et en télévision. Déjà se prépare une deuxième phase de mobilisation autour d'un plaidoyer en gestation.

Car Vaincre la Mucoviscidose a arrêté sa stratégie : faire confiance aux parties prenantes tout en maintenant une pression constante jusqu'à menacer de dénoncer publiquement la dégradation de l'état de santé de milliers de malades faute de commercialisation d'un médicament. Et il est aussi apparu indispensable d'associer pleinement l'Association Grégory Lemarchal à l'ensemble des actions. Les deux « Pierre », Pierre Foucaud et Pierre Lemarchal, agissent main dans la main ! Le 16 mars, faute d'avancées tangibles dans les négociations, Pierre Foucaud démissionne de ses fonctions de membre de la Commission de Transparence de la HAS.

Un signal tant pour dénoncer la lenteur du processus que pour reprendre son entière liberté d'action vis-à-vis des pouvoirs publics.

Dans la foulée, le Conseil d'administration de l'association adopte une position forte : un ultimatum doit être lancé et une action de plaidoyer puissante doit être engagée à défaut d'un accord rapide. Un appel d'offre est adressé auprès d'agences de communication pour venir en appui de l'action.

Dans une tribune sur « La valeur des médicaments » publiée dans *l'Opinion*, Thierry Nouvel, directeur général, dénonce alors le problème de la lenteur de l'accès aux médicaments. Bien qu'il n'y cite pas le dossier Kaftrio®, le message est clairement entendu par les parties prenantes à la négociation.

Les négociations sur le prix paraissent s'enliser, l'action de plaidoyer se prépare avec pour objectif de prendre à témoin l'opinion publique sur l'injustice que subissent les malades. Et ce d'autant plus que le nombre de pays dans lesquels un accord intervient progresse.

#kaftriomainenant : un plaidoyer en trois temps

Aux côtés de l'Association Grégory Lemarchal, une action de plaidoyer est lancée au mois de juin. Trois séries d'actions sont programmées.

En premier lieu, une opération de sensibilisation et de mobilisation avec le lancement d'une pétition. Puis, à partir de juillet, à défaut d'accord, le lancement d'une action judiciaire et d'une manifestation autour d'une campagne de communication « agressive ».

Ces deux dernières actions ne devront fort heureusement pas être mise en œuvre, l'accord étant intervenu fin juin.

(Voir la campagne qui n'a pas eu lieu, page 7).

Le lancement de la pétition et des témoignages vidéo

Au programme de ce premier temps de mobilisation publique : des portraits de patients en attente du traitement, sous forme de vidéos, des actions sur les réseaux sociaux avec le lancement de l'hashtag #kaftriomainenant et une pétition en ligne qui recueille, en quelques jours, plus 35 000 signatures.

Le portrait vidéo de Cécile sera dévoilé le 18 juin : un portrait extrêmement puissant vu par 163 000 personnes. Il montre Cécile amoindrie par la maladie dans son quotidien. Le message passé est clair :

Cécile n'a plus le temps d'attendre l'arrivée de Kaftrio®. Elle veut pouvoir vivre dignement. Deux autres longs portraits seront publiés, quelques jours après, ceux de Pierrick et Nicolas, tout aussi touchants.

Dans le même temps, Vaincre la Mucoviscidose lance un appel à témoignages sur les réseaux sociaux et reçoit plusieurs dizaines de témoignages vidéo : hommes, femmes, jeunes ou moins jeunes, en quelques minutes, tous posent la même question : « **Face à la mucoviscidose, vous croyez que je peux attendre ?** »

Ces capsules vidéo ont pour la plupart été mises en ligne par les deux associations.

Un accord enfin obtenu et annoncé par Olivier Véran

Enfin, la pression exercée par les associations aura payé. À l'occasion des 9^{es} Entretiens de la mucoviscidose organisés par Vaincre la Mucoviscidose, le samedi 26 juin 2021, le Ministre des Solidarités et de la Santé, Olivier Véran, annonce qu'un accord entre le Comité économique des produits de santé (CEPS) et le laboratoire Vertex Pharmaceuticals a été trouvé pour le remboursement de Symkevi® et de Kaftrio®. Ce moment n'a pas pu être partagé « physiquement », les Entretiens se déroulant en visio, mais dans chaque message échangé, dans chaque appel, nous avons partagé un moment de joie intense. Comme rarement une association de patients a l'occasion de vivre dans son histoire. Nos pensées se sont également tournées vers celles et ceux qui nous ont quittés trop tôt et à leur famille. ● ● ●





Grâce à l'accord obtenu, tous les malades éligibles à ces nouveaux médicaments pourront enfin en bénéficier. À terme, cela concerne 5 000 patients, soit près des 3/4 des personnes atteintes de mucoviscidose. En un temps record, les arrêtés de remboursement sont publiés le 3 juillet 2021 au journal officiel et les médicaments disponibles en pharmacie dès le 7 !

La presse se fait l'écho de cette bonne nouvelle :

Dès l'envoi du communiqué faisant état de l'accord trouvé, les plus grands titres de presse ont relayé l'information : l'AFP, l'APM, *le Monde*, BFMTV, *Mediapart*, *La Voix du Nord*, Europe 1, France Info, *La Croix*... Un documentaire sur le rôle des associations de patients pour la chaîne Arte a été tourné à l'occasion de la préparation de notre plaidoyer (diffusion fin 2021). Au total près de 50 apparitions dans les médias.

Le combat doit continuer pour les associations

Aujourd'hui, les associations se tournent résolument vers les malades qui n'ont pas la chance de pouvoir bénéficier d'une telle avancée thérapeutique : les 15% des personnes atteintes de mucoviscidose dont les profils génétiques ne sont pas éligibles à ces deux médicaments ainsi que les patients greffés pulmonaires. C'est dans ces directions que les associations vont concentrer leur soutien financier à la recherche.

La campagne qui n'a pas eu lieu...

L'association, soutenue par une agence externe dans cette action de plaidoyer, avait programmé un événement physique et une campagne de communication plus « dure » début juillet.

Cette communication était fondée sur un visuel fort : un patient étouffant sous un sac plastique avec comme slogan « **Je crève d'attendre, n'attendez pas que je crève** ». *(Ci-contre, l'affiche prévue pour cette campagne qui n'a pas eu lieu.)*

Une manifestation était programmée le 8 juillet 2021 devant le ministère de la Santé et le laboratoire Vertex avec des centaines de sympathisants, patients et adhérents de l'association qui auraient dû être mobilisés lors des Entretiens. Les journalistes devaient être conviés à un point presse sur le lieu de la manifestation. Des insertions dans la presse nationale devaient également prendre place au même moment pour alerter l'opinion publique et inciter à signer la pétition.

Une action judiciaire

L'association avait constitué avec l'aide d'un avocat près d'une dizaine de dossiers de patients et leur a assuré tout le soutien juridique nécessaire afin de mener une action judiciaire à l'encontre de l'État et du laboratoire Vertex. L'action judiciaire devait être entamée également le 8 juillet 2021 et médiatisée notamment par une télévision nationale qui avait donné son accord.

Ces patients, en mal d'attendre, étaient donc sur le point de saisir le tribunal avec Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Grégory Lemarchal dans le cadre du droit fondamental du respect à la vie familiale normale afin de contraindre tant le laboratoire que l'État à leur donner accès à Kaftrio®.

Une interpellation des parlementaires

Comme lors du plaidoyer concernant le financement des CRCM, il était prévu que les délégués territoriaux interpellent leurs parlementaires afin qu'ils puissent agir auprès du gouvernement. Une réunion de formation était d'ailleurs prévue début juillet avec la mise à disposition d'un kit pour chaque délégation territoriale. ●

LES HOMMES DE L'OMBRE, UN MINISTRE ET LA DÉTERMINATION DES ASSOCIATIONS AU RENDEZ-VOUS DE L'HISTOIRE

Nombreux auront été les rendez-vous de Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Grégory Lemarchal avec le laboratoire Vertex, le CEPS mais aussi le cabinet du ministre de la Santé. Dans toutes négociations, ce sont des hommes et des femmes de l'ombre qui agissent. Tous ont fait preuve d'écoute et de compréhension. Ils ont joué leur rôle pour que l'accord puisse intervenir. Olivier Véran, ministre de la Santé, pleinement sensibilisé depuis longue date à notre combat, aura également permis qu'un accord puisse intervenir. Mais la fermeté et la détermination des associations lui ont sans doute permis d'aboutir rapidement.

**À SAVOIR**

Voici le visuel de la campagne qui n'a pas eu lieu.

Je crève d'attendre.

N'attendez pas que je crève !

Près d'un an après son autorisation de mise sur le marché, un médicament vital n'est toujours pas disponible pour les personnes souffrant de mucoviscidose.

→ **Signez notre pétition sur www.mucoencolere.fr**





Florilège de témoignages



Je me mobilise pour l'entrée rapide de Kaftrio®.

Mon fils va avoir 3 ans, je me souviens encore quand on m'a dit le mot mucoviscidose : tout s'est écroulé littéralement sous mes pieds. Il n'aura jamais 30 ans, il n'aura jamais d'enfant, je ne serai jamais mamie, il ne jouera jamais en équipe nationale de football, il ne pourra pas faire d'études longues, il ne pourra jamais aller à la piscine, jouer dans le sable, aller au parc, côtoyer les autres enfants... Être un enfant ! Et pis on se ressaisit, on lit, on cherche des témoignages, des solutions, des remèdes ! Pis le Covid !

Finalement on n'est pas malheureux on se dit que pour nous les gens respectent enfin les gestes de notre quotidien et on se dit que la terre entière travaille sur les poumons. Quelle chance pour mon fils ! Et Kaftrio® continue sa venue en France et on espère que pour ses 6 ans il puisse l'avoir. Quelle douleur de voir qu'un traitement qui peut améliorer la vie de notre enfant, le sauver parfois soit une question d'argent alors qu'en tant que parent on serait prêt à vendre nos organes un par un pour pouvoir le guérir !

Papas, mamans, frères, sœurs, fils, filles, mettez-vous à la place de vos familles qui auraient pu être dans nos situations. À nos super héros mucos : on ne lâchera rien, jamais !

— Caroline

Pour arriver à leur objectif professionnel, mes enfants se sont donnés corps et âme et ont mis en jeu leur capital santé.

Je suis la mère de Caroline et Alexandre, tous deux atteints de mucoviscidose. Diagnostiqués à l'âge de 15 et 4 mois respectivement. Pour arriver à leur objectif professionnel, mes enfants se sont donnés corps et âme et ont mis en jeu leur capital santé. La situation de ma fille s'est détériorée rapidement, et sa capacité respiratoire est actuellement de 30% de VEMS. Nous sollicitons depuis quelques années l'aide du CRCM de Cochin pour l'obtention des nouveaux modulateurs / potentialisateurs. Mais mes enfants, d'origine iranienne, ont des mutations assez rares (R334W/M1T) et ne font donc pas partie de la liste de Vertex. Ainsi leur médecin a toujours dû nous refuser la prescription de ces nouveaux médicaments. Jusque-là nous avons le temps

de patienter, mais actuellement la vie quotidienne de Caroline devient compliquée. Elle est essoufflée à l'effort, elle doit être sous oxygène la nuit et à l'effort... Les cures d'antibiotiques se répètent...

Nous sommes tous dans une détresse profonde. J'ai sollicité l'aide de Madame Macron. J'ai également pris contact avec le docteur Foucaud, l'alertant sur notre situation et lui demandant quelle démarche suivre. En effet, je voulais moi-même aller alerter les médias français et internationaux de la situation actuelle des patients muco en France, pris en otage par Vertex. Celui-ci m'a alors fait parvenir la vidéo du 7 juin de Vaincre la Mucoviscidose sur le Kaftrio®. Où nous apprenons que les discussions entre la sécurité sociale et Vertex sont très serrées, et que l'association se laisse jusqu'à fin juin avant de médiatiser à son tour les problèmes actuels.

Ainsi c'est dans cette démarche que je viens vers vous, mes enfants et moi étant complètement motivés pour témoigner dans ce contexte. Je vous laisse revenir vers nous pour nous dire sous quelles modalités nous pourrions aider Vaincre la Mucoviscidose, à médiatiser cette situation intolérable dans laquelle Vertex nous met tous.

— Angélique



magés

Pour avoir tout ce que j'ai aujourd'hui, j'ai passé toute ma vie à me battre.

Je m'appelle Éric, j'ai 52 ans, je suis atteint de mucoviscidose et père de 2 filles de 12 ans. Pour avoir tout ce que j'ai aujourd'hui, j'ai passé toute ma vie à me battre, 50 que je me bats, pour essayer d'avoir les mêmes droits que les gens normaux. Avec le Kaftrio®, je sais que je pourrai récupérer de la capacité respiratoire pour à nouveau jouer avec mes filles, partager plus de moments avec elles, et surtout leur créer à nouveau des souvenirs inoubliables pour leur vie d'adultes. (...)

Dans la vie on a toujours le choix de se sortir d'une situation, soit par le bas, soit par le haut, soit de façon extraordinaire, soit de façon minable. La façon extraordinaire, n'est pas forcément la plus simple, mais elle reste la plus glorieuse. Alors par la même occasion, je profite de remercier tous ces gens extraordinaires qui nous entourent dans notre quotidien, et qui heureusement pour nous, on fait le choix de nous aider. Tous les jours, ils nous montrent le chemin à suivre... Et pour ce qui est des autres, il va falloir apprendre à les oublier.

— Éric



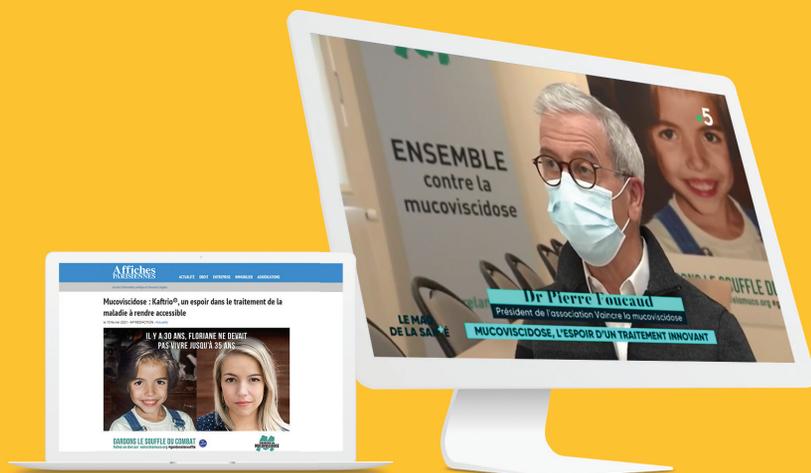
Relations presse

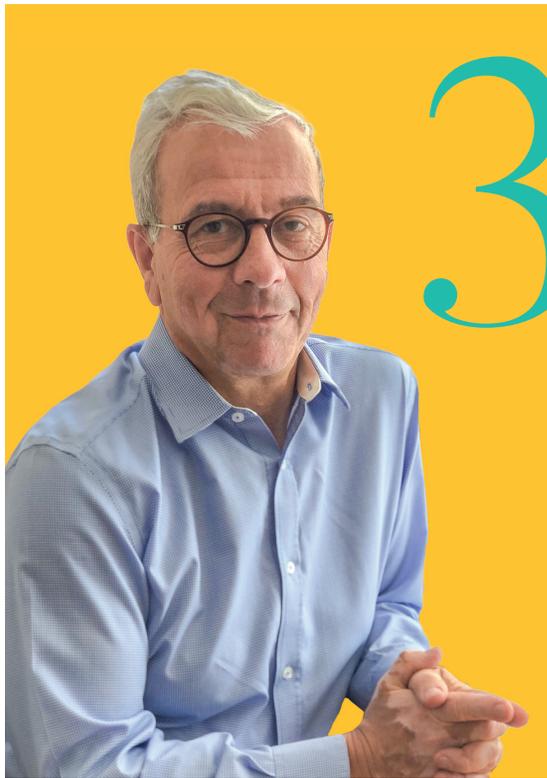
AUTOUR DE LA MOBILISATION DE L'ASSOCIATION POUR L'ACCÈS À UN TRAITEMENT RÉVOLUTIONNAIRE OFFRANT UNE NOUVELLE VIE AUX MALADES

La commercialisation du nouveau traitement Kaftrio® a mobilisé tous les efforts de l'association en termes de communication. Depuis l'été 2020, l'association Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Grégory Lemarchal ont communiqué conjointement et de manière continue, auprès des patients, des médias et du grand public.

En novembre 2020, une première communication envers la presse a été menée, communiqués et dossiers de presse envoyés à plus de 1 000 journalistes, afin de faire connaître le traitement et l'action de l'association pour rendre son accès possible.

Malgré le contexte de crise sanitaire, obstruant tous les canaux, on comptabilise une dizaine d'articles et d'apparitions médiatiques pour évoquer le traitement en lui-même et la mobilisation de l'association : *La Croix*, France 5, Affiches parisiennes, France inter, l'APM, *Sciences et avenir*...





3 questions à PIERRE FOUCAUD

PRÉSIDENT DE VAINCRE
LA MUCOVISCIDOSE

début d'année 2021, fut une véritable douche froide. Un coup de frein inattendu, une réserve majeure dans l'avis publié, succédait à un coup d'accélérateur. Je dus donc prendre, à titre personnel, la difficile décision de démissionner de la Commission de Transparence afin de pouvoir contester ce second avis de la HAS sans être contraint par un quelconque devoir de réserve. Cette démission, clairement argumentée et relayée auprès des autorités de santé, constitua en quelque sorte le premier acte de notre plaidoyer. S'ensuivirent 6 mois de grande tension, attisée par la véritable opacité de la fixation du prix des médicaments. Il nous fallait afficher notre totale indépendance, tant vis-à-vis du laboratoire que des autorités. Il était hors de question de nous laisser instrumentaliser par l'une ou l'autre des parties prenantes à la négociation qui aurait pu tirer parti de la pression constante que nous exerçons. Cela supposait de différencier nos argumentaires. Aux uns, nous reprochions des prétentions excessives en matière de prix, et un refus de l'ATU de cohorte qui aurait permis un accès du médicament à tous les patients éligibles. Ce refus était interprété par nombre de patients comme une forme

Pierre, comment avez-vous vécu les différentes étapes de la négociation pour obtenir l'accord sur le remboursement de Kaftrio® et Symkevi® ?

Ce fut une sacrée aventure, nous marchions régulièrement sur des œufs. Les procédures d'homologation pour le Kaftrio®, en Europe puis en France, avaient pu être accélérées durant toute l'année 2020. Procédures auxquelles nous avons largement contribué, notamment l'avis rapide et très favorable de la Commission de la Transparence de la Haute Autorité de Santé. C'est pourquoi la lecture de l'évaluation médico-économique du Kaftrio® par la même HAS, publiée en



de prise d'otage, en limitant l'accès compassionnel à des malades très sévères en situation d'impasse thérapeutique. Aux autres, nous faisons valoir que la vie de milliers de patients devait passer par un engagement volontariste de la solidarité nationale. Nous avons dû mettre en avant la nécessaire cohérence politique des pouvoirs publics. En effet, la France doit prendre la présidence de l'Union européenne le 1^{er} janvier 2022, et le Président de la république a fait des maladies rares la priorité européenne de son volet santé. Parallèlement, nous avons dû devenir très techniques pour ne pas nous faire manipuler, tout en faisant valoir des valeurs de justice et de morale en relayant sans cesse les attentes des patients, leur incompréhension, voire leur colère en comparant leur sort à celui d'autres patients de pays proches. Si nous avons tenu informé au fil de l'eau notre Conseil d'Administration de nos actions et des obstacles rencontrés, il était terriblement frustrant de ne pouvoir communiquer auprès de nos adhérents. Nous craignions de mettre de l'huile sur le feu, alors que la négociation semblait progresser. Les patients australiens ont fait les frais de pressions excessives, conduisant Vertex à quitter brutalement la table des négociations le 26 avril dernier. Ils sont encore aujourd'hui privés de ce traitement révolutionnaire. Inutile de dire combien cet événement nous a marqué, combien nous avons douté, taraudés entre le trop ou le pas assez.

À quel moment avez-vous commencé à y croire sérieusement ?

L'ultimatum que nous avons lancé le 2 juin, menaçant de mettre sur la place publique la perte de chance pour les patients si un accord n'était pas signé avant le 1^{er} juillet, a visiblement porté ses fruits.



De sacrés défis à relever, tous ensemble, au cours des prochaines années !

Lorsque nous avons eu l'assurance à la mi-juin que Vertex et le CEPS étaient sur le point de conclure grâce à un arbitrage du ministre, il nous a fallu redoubler de prudence. Nous avons dû garder secrète (à l'encontre des valeurs que nous défendons) cette probable issue favorable, afin de garantir que nos équipes salariées resteraient mobilisées jusqu'au bout pour préparer une offensive spectaculaire en cas d'échec, fût-il improbable. Tout au long de ces mois de tension, la complicité et la complémentarité entre Thierry Nouvel, Pierre Lemarchal et moi-même ne s'est jamais démentie.

Que représente cet accord dans votre combat global contre la mucoviscidose ?

Un espoir un peu fou, la démonstration qu'il n'y a pas de fatalité, que la recherche scientifique peut bouleverser des destins, des vies. Que les associations de patients sont en capacité de peser sur les politiques publiques. À titre personnel, confronté à la mucoviscidose d'hier et d'avant-hier, moi qui ai accompagné tant d'enfants au bout du chemin, la rage au cœur, je n'osais espérer qu'un jour... Mais cette avancée majeure n'est qu'une étape. Le potentiel et surtout les limites de ces trithérapies ne sont pas encore claires.

Surtout, les nouveaux modulateurs CFTR ne s'adressent pas à toutes les classes de mutations. Il nous faut donc poursuivre nos efforts pour faire en sorte que tous les patients, quel que soit leur âge et leur statut génétique, puissent trouver une solution. Des pistes sérieuses sont à l'étude, certaines à court terme. Les greffés pulmonaires requièrent une meilleure prévention et prise en charge du rejet chronique. De sacrés défis à relever, tous ensemble, au cours des prochaines années !

À SAVOIR

Au bouclage de ce numéro, nous n'avons pas pu intégrer l'interview du ministre des Solidarités et de la Santé, Olivier Véran, actuellement en cours de rédaction. Vous pourrez retrouver son intervention sur la version digitale de ce hors-série.



Interview

PIERRE LEMARCHAL

PRÉSIDENT DE L'ASSOCIATION GRÉGORY LEMARCHAL

Pierre, comment avez-vous vécu toutes les étapes de négociation pour obtenir l'accord sur le remboursement de Kaftrio® et Symkevi® ?

Dire que j'étais serein ne reflèterait pas la vérité car soyons honnête, depuis fin août 2020 où nous avons obtenu l'autorisation de mise sur le marché Européen jusqu'à la fin des négociations pour la commercialisation, le temps a paru bien long.

Nous avons multiplié les réunions avec d'un côté nos dirigeants politiques et de l'autre le laboratoire Vertex France et nous sommes passés par de nombreuses phases alternant les incertitudes, les doutes mais aussi les espoirs.

Sans compter qu'il fallait répondre aux très nombreuses questions légitimes et à l'impatience des patients et des familles. Quand je dis « nous », je parle évidemment du travail en commun réalisé par les associations Vaincre la Mucoviscidose et Grégory Lemarchal.

Je pense indéniablement qu'en unissant nos forces nous avons fait en sorte que les négociations s'accélérent pour obtenir ce que nous voulions avant l'été.

Je tiens surtout à mettre en avant le pilotage très efficace et remarquablement orchestré par Vaincre la Mucoviscidose, son président Pierre Foucaud et bien sûr son directeur Thierry Nouvel et ses équipes.

Aujourd'hui nous sommes tous soulagés et pouvons à présent savourer cette décision qui fera date dans le combat contre la mucoviscidose et qui nous prouve une fois de plus qu'ensemble on sera toujours plus fort.



Que représente cet accord dans votre combat global contre la mucoviscidose ?

C'est pour moi et sans doute pour nous tous une vraie page qui se tourne dans ce combat. Une telle avancée dans la recherche et donc dans la prise en charge des patients s'avère exceptionnelle.

Je me suis toujours mis en tête avec Laurence et ma fille Leslie que nous verrions le jour où nous pourrions « Vivre avec la mucoviscidose ». C'est par conséquent l'objectif que nous nous sommes fixé.

Ces nouveaux traitements, et ceux qui suivront sans aucun doute, nous confortent dans ce sens.

Comment voyez-vous la poursuite de ce combat dorénavant, qu'est-ce qui va, selon vous, être essentiel pour continuer à se battre pour les patients ?

Soyons clairs, nous ne sommes pas encore à la guérison et par conséquent, le combat continue plus que jamais.

Il est donc essentiel et primordial de continuer et même d'intensifier notre soutien pour la recherche fondamentale, indispensable dans ce paysage scientifique.

Même si nous restons optimistes sur des futurs autres traitements, n'oublions pas les patients non éligibles aux nouveaux médicaments ainsi que les 900 personnes (environ) vivant aujourd'hui avec une greffe pulmonaire et qui ne peuvent pas non plus en bénéficier.

Il est du devoir des associations comme les nôtres de rester mobilisés, d'intensifier encore plus nos actions sur le terrain avec nos bénévoles, d'anticiper les besoins des personnes atteintes de mucoviscidose. Des besoins qui sont d'ordre médicaux évidemment mais plus encore des besoins personnels, affectifs, professionnels et autres...

Voyez-vous désormais différemment la maladie ?

La mucoviscidose fait partie de notre vie depuis 37 ans et nous sommes passés par toutes sortes d'émotions : les angoisses, les peurs, les faux espoirs, les larmes, les rires aussi car cela ne nous empêchait pas de vivre malgré tout. Mais à aucun moment nous n'avons baissé la garde, nous avons toujours fait front et avons toujours voulu croire à la lumière au bout du tunnel.

Aujourd'hui après toutes ces étapes : l'identification du gène CFTR, la création des CRCM, les nouveaux traitements qui se sont enchaînés jusqu'à ces dernières fabuleuses nouvelles, alors oui, incontestablement la mucoviscidose est différente.

Mais nous savons aussi que nous ne devons pas nous relâcher car même si on a gagné une bien belle bataille le combat n'est pas fini...





Interview

PAOLA DE CARLI

DIRECTRICE SCIENTIFIQUE DE VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Paola, en tant que directrice scientifique de Vaincre la Mucoviscidose, comment avez-vous vécu toutes les étapes de mise à disposition de Kaftrio® et de Symkevi® ?

Le département recherche de l'association a accompagné toutes les étapes du développement des modulateurs de la protéine CFTR, depuis le premier médicament de ce type, le Kalydeco®, commercialisé en 2012 qui ne concerne qu'une petite partie des malades. La mise à disposition de Kaftrio® et de Symkevi® représente donc l'aboutissement d'un travail collectif de plusieurs années qui a mobilisé toute la communauté de la mucoviscidose pour que les patients puissent avoir accès le plus rapidement possible à ces traitements qui ciblent la cause de la maladie.

Via la plateforme nationale de recherche clinique en mucoviscidose (PNRC), nous avons notamment participé à la réussite du recrutement de patients dans les essais qui se sont déroulés en France. De plus, une fois les médicaments ayant abouti leur développement clinique et obtenu l'AMM européenne, nous avons contribué à l'évaluation par la Haute Autorité de Santé (HAS). Nous avons en effet pu transmettre à la HAS les données issues des témoignages des patients ayant pu bénéficier de Symkevi® et de Kaftrio®, en rapportant rigoureusement leur ressenti des effets de ces traitements.

Quel tournant cette étape marque-t-elle dans votre parcours scientifique et de partie prenante dans la lutte contre la mucoviscidose ?

Des traitements qui transforment la vie des patients, en leur donnant une



nouvelle perspective de vie, marquent à jamais aussi tous les professionnels qui ont contribué de près ou de loin à ce que cela soit possible. En tant que scientifique, d'une part, cela confirme l'importance de la recherche fondamentale qui a mené à l'avancée des connaissances et, d'autre part, cela montre tout le travail qui reste à faire pour répondre aux problématiques des patients qui restent encore irrésolues. Maintenant que l'on touche du doigt la possibilité d'apporter des réponses, on a envie d'aller plus loin et de pouvoir arriver à le faire pour tous les patients.

Quels sont les espoirs de recherche pour les patients ne pouvant pas bénéficier de ces traitements innovants ?

En agissant sur la protéine CFTR mutée, Kaftrio® et Symkevi® améliorent sa fonctionnalité. C'est le principe de leur efficacité, conditionnée à la production de la protéine, même si partielle et défectueuse. Malheureusement, chez certains patients, les mutations du gène CFTR sont telles qu'il n'y a pas

du tout production de la protéine. Pour ces patients, les chercheurs explorent des pistes différentes pour aboutir à des solutions alternatives ou complémentaires aux modulateurs. Il s'agit de thérapies dont les cibles sont en amont de la production de la protéine : l'ADN ou sa copie, l'ARN, qui sert à la traduction de l'ADN en protéine, ou bien des canaux alternatifs à CFTR (ANO1 ou ENaC). Remplacer ou corriger le matériel génétique ou trouver une voie alternative pour pallier au dysfonctionnement de CFTR, pourrait apporter une solution pour tous les patients. Ces pistes sont à des stades différents de développement, la plupart encore à un stade préclinique, avec des résultats *in vitro*, dans des cellules, ou obtenus dans un modèle animal ; d'autres commencent un développement clinique pour démontrer leur efficacité et leur innocuité chez l'Homme.

Par ailleurs, les travaux se poursuivent aussi pour apporter des réponses aux patients transplantés et plus particulièrement aux patients transplantés pulmonaires, chez qui le rapport risques/bénéfices de l'usage des modulateurs est pour l'heure discutable, en raison des interactions avec les médicaments antirejet. Enfin, les modulateurs de CFTR ne menant pas à la guérison, la recherche doit pouvoir continuer à avancer pour améliorer la prise en charge des symptômes de la maladie, qu'ils soient respiratoires ou digestifs, et aussi des pathologies associées, comme le diabète ou l'ostéoporose.



Interview

NICOLAS RENARD

DIRECTEUR GÉNÉRAL FRANCE
DU LABORATOIRE VERTEX



Nicolas, nos adhérents connaissent Vertex à travers ses médicaments. Pourriez-vous présenter votre laboratoire ?

Vertex Pharmaceuticals est un laboratoire international de biotechnologie, présent dans plus de 15 pays, et spécialisé dans la recherche scientifique et le développement de médicaments innovants contre des maladies rares et graves, dont l'issue est potentiellement fatale à plus ou moins long terme. Vertex compte aujourd'hui plus de 3 700 collaborateurs et 3 centres de recherche. Implantée en France depuis 2012, l'entreprise compte aujourd'hui plus de 40 collaborateurs basés en France et travaillant pour la France ainsi que plusieurs pays de l'Europe du Sud jusqu'au Brésil.

Vertex a été fondé en 1989, la même année que la découverte du gène et de la protéine CFTR¹. Peut-être un signe du destin car c'est à partir des années 2000 que Vertex commença son effort de recherche sur la mucoviscidose.

Cet effort de recherche est un processus long et complexe, qui requiert précision, patience et résilience.

Depuis plus de 20 ans, nos scientifiques consacrent leur énergie à relever des défis

que l'on a longtemps cru insurmontables, en commençant par la compréhension de la maladie. C'est grâce à cette approche et à la compréhension des défauts de la protéine CFTR qui causent la mucoviscidose que nous avons pu mettre au point et développer des médicaments qui traitent la cause sous-jacente de la maladie.

La stratégie de R&D de Vertex repose sur des investissements importants et continus dans la science. Ainsi, plus de 70 % des dépenses opérationnelles et 3 employés sur 5 sont dédiés à la R&D. Ce niveau d'exigence fait de Vertex une exception et oserais-je dire un modèle, dont nous sommes tous très fiers ici en France.

Quel est votre regard sur le rôle de Vaincre la Mucoviscidose et de l'Association Grégory Lemarchal ?

Aujourd'hui, les patients interagissent entre eux et ont une connaissance accrue de leur maladie. Ils deviennent acteurs de leur parcours de soins.

Le rôle des associations est essentiel car elles représentent les patients et portent leur voix plus loin encore. Ainsi, la France est l'un des premiers pays en Europe où les associations de patients ont une place « officielle et formalisée » dans le système de santé.

Ceci est particulièrement notable par la contribution des associations de patients qui est soumise à la HAS² lors des évaluations des médicaments par la commission de la Transparence ou la CEESP³. Ces contributions, notamment au travers des témoignages de patients, participent à l'évaluation de ces traitements en apportant de façon documentée, des éléments de vie réelle ainsi que le regard des malades sur leurs besoins.

La mission de Vertex est de découvrir et développer des médicaments qui offrent une réelle transformation dans la prise en charge des personnes atteintes. Dans ce cadre, nous sommes engagés



aux côtés des patients et des soignants afin de faire avancer efficacement et rapidement la lutte contre la maladie. Mais nous sommes également engagés aux côtés des associations de patients pour apprendre et mieux comprendre les évolutions du quotidien des patients et voir comment nous pouvons continuer d'être aux côtés de la communauté de la mucoviscidose, et pas uniquement au travers des médicaments.

L'action des associations de patients est ainsi complémentaire, comme le montre le travail de Vaincre la Mucoviscidose et de l'Association Grégory Lemarchal, grâce à la mise en place des programmes d'accompagnement des malades et de leurs proches et l'effort constant de sensibilisation du grand public.

Quelles sont aujourd'hui les priorités de Vertex ?

Nos priorités, aujourd'hui, sont :

- d'assurer que tous les patients éligibles aient accès à nos médicaments,
- de continuer à travailler sur de nouvelles associations de molécules et de nouvelles formulations,
- de poursuivre les développements de nos molécules en pédiatrie dans les différentes classes d'âge,
- et de poursuivre la recherche de nouvelles options thérapeutiques pour tous les patients et dès leur plus jeune âge, y compris ceux pour lesquels les modulateurs du CFTR ne peuvent être une option.

Ainsi, depuis près de cinq ans, nous poursuivons nos efforts pour découvrir et développer des thérapies pour toutes les personnes atteintes de mucoviscidose par le biais de technologies alternatives telles que l'ARN messenger (ARNm) ou encore la thérapie génique. Nous cherchons ainsi à déterminer quels

traitements peuvent être efficaces pour les personnes sans mutation F508del - la mutation la plus fréquente du gène CFTR - et nous étudions si des mutations rares peuvent répondre à nos médicaments. Un vrai défi scientifique !

Il nous paraît aussi primordial que les patients puissent avoir accès aux traitements dès leur plus jeune âge, afin de ralentir au plus tôt l'évolution de la maladie. C'est pour cela que nous sommes plus que jamais fortement engagés dans le développement de traitements et de formules galéniques pédiatriques, adaptés aux différentes catégories d'âge parmi les jeunes patients. Ceci constitue aujourd'hui un axe fort de notre R&D.

Quel que soit le temps que cela prendra, nous nous efforcerons sans relâche d'aller au bout de notre engagement.

Quels messages avez-vous à transmettre aux patients et à leur famille ?

Tout d'abord – au nom de toute l'équipe Vertex - un grand merci à toute la communauté pour ses contributions multiples aux progrès réalisés, ne serait-ce que, pour n'en citer qu'une, par la participation aux essais

cliniques. Sans vous tous, rien de ce qui s'est produit ne serait possible. Encore merci de votre engagement et de votre courage au quotidien.

Ce qui nous touche et qui nous motive à continuer de travailler avec passion chaque jour, ce sont les témoignages des patients.

Chez Vertex, depuis plus de 20 ans, nous cherchons sans relâche à guérir la mucoviscidose, et nous vous affirmons que nous ne sommes pas près de nous arrêter !



¹ Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator

² Haute Autorité de Santé

³ Commission d'évaluation économique et de santé publique



Florilège de témoignages



Je suis mère de 2 garçons jumeaux âgés de 19 ans atteints de mucoviscidose suivis depuis leur naissance au CRCM de Bordeaux. Juste pour vous remercier d'avoir poussé des montagnes afin que nos enfants puissent bénéficier de ce traitement sans attendre plus longtemps. J'avais bien sûr essayé moi-même et comme sûrement d'autres parents de me le procurer via d'autres pays européens mais en vain... Aucune possibilité...

Merci, merci de votre persévérance et de vos connaissances.

Avec toute notre reconnaissance.

— Françoise

Merci à Vaincre la Mucoviscidose et à l'Association Grégory Lemarchal : respect ! Et continuons avec autant d'énergie pour ceux qui ne sont pas éligibles.

— Huguette

**Quelle nouvelle !
Quelle émotion !
Nous n'oublions pas les personnes non-éligibles.
Restons motivés, dynamiques pour eux !**

— Nadette

Historique !!!!!

Merci !!!!! Tellement de joie que tous nos copains puissent vivre cela et tous les plus jeunes !!!!! En larmes mais quel bonheur !!!!!

— Germain

Je tiens à vous remercier,

en tant qu'association Vaincre la Mucoviscidose pour votre engagement et votre ténacité. C'est aussi grâce à vous. Immense merci.

— Élise



Merci à vous.

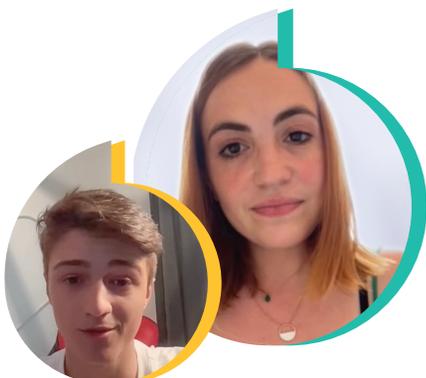
Association qui ne lâche rien toujours au combat. Je suis très heureuse de cette excellente nouvelle même si mon fils de 20 ans n'a pas les bonnes mutations. Mais nous savons que le combat continue pour ne laisser personne sur le bas du chemin.

— Anonyme

Bravo et merci à tous les acteurs de ces négociations réussies autour de Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Grégory Lemarchal. Et merci à ceux qui ont pris cette décision.

— Étienne

nages



J'ai suivi de très près les événements pour Kaftrio®.

Avec ma famille nous avons beaucoup pleuré à l'annonce officielle de l'accord pour le prix pour Kaftrio® et Symkevi® !

J'ai pu en bénéficier immédiatement parce que j'avais rendez-vous au CRCM pour le bilan annuel le jour où Kaftrio® a été disponible dans les pharmacies de ville. Je le commence seulement ce matin et j'attends avec impatience ces effets. C'est avec plaisir que d'ici la fin de la semaine je vous ferais un témoignage écrit concernant Kaftrio® qui j'espère changera ma vie. Merci beaucoup pour votre mobilisation, votre ténacité et votre implication pour nous tous.

Sans vous, nous n'en serions certainement pas là.

— Justine



En tant que parrain national de l'association, je tenais à féliciter Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Grégory Lemarchal pour leur mobilisation qui permet aujourd'hui de rendre le médicament Kaftrio® remboursable par l'Assurance Maladie et donc accessible aux patients. C'est une véritable avancée dans l'amélioration du quotidien des malades. Ensemble, donnons notre souffle pour vaincre la mucoviscidose !

Maxime Sorel



Je suis contente pour vous, j'espère que Kaftrio® sera disponible à tous les malades, comme ma fille Anna.

Massina

Allez on pète un champagne 🍾🍾
et bravo à tous ceux qui se sont battus pour que cela devienne une réalité. Merci !
Chou Bidoune

Merci à tous ceux qui se sont battus pour qu'un accord soit trouvé. Ma fille est éligible et va commencer également le traitement.
Anonyme

Merci du fond du cœur pour votre investissement sans relâche. Je suis maman de trois enfants dont une petite de 8 mois, et grâce à vous je vais enfin pouvoir profiter davantage de mes filles et les voir grandir. Je suis tellement heureuse merci merci merci merci merci merci, il n'y a pas de mot assez fort pour vous témoigner ma gratitude.
Julie



Ça fait tellement longtemps que j'attends un remède pour ma mutation ainsi que pour ma sœur ... Merci de mener le combat pour nous et avec nous !!! ❤️❤️❤️
Anonyme



Une joie immense ! Un bonheur indescriptible en l'annonçant à mon fils de 17 ans qui peut désormais se projeter vers l'avenir ! Une belle et longue vie l'attend !
Anonyme

Génial ! Victoire ! Maintenant occupez-vous un peu de ceux qui ne peuvent avoir ces traitements !! Mon bébé en aura besoin.



Élodie

ILS EN PARLENT

sur les réseaux...



<https://www.facebook.com/VaincrelaMucoviscidose>



<https://twitter.com/vaincrelamuco>



<https://www.instagram.com/vaincrelamuco/?hl=fr>

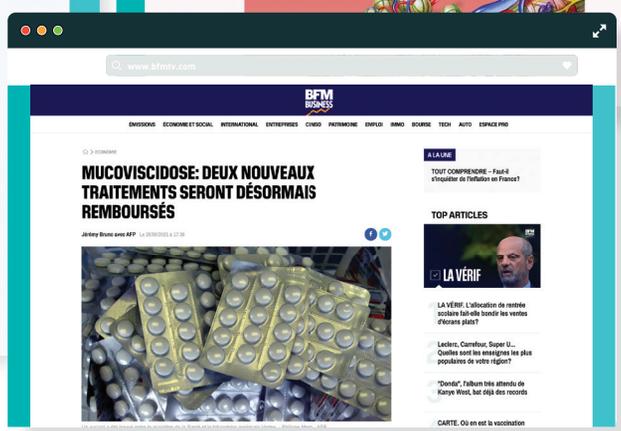
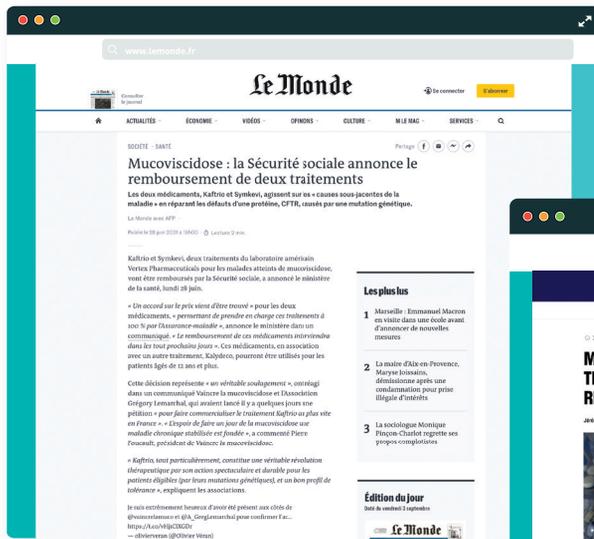


ILS EN PARLENT

dans la presse...

Après l'accord obtenu, la presse se fait l'écho de cette bonne nouvelle

Dès l'envoi du communiqué faisant état de l'accord trouvé, le 28 juin 2021, les plus grands titres de presse ont relayés les informations : l'AFP, l'APM, *le Monde*, BFMTV, *Mediapart*, *La Voix du Nord*, Europe 1, France Info, *La Croix*... Durant la mobilisation de l'association, en pleine préparation de l'action de plaidoyer, un documentaire pour la chaîne Arte s'est également penché sur cette préparation. Sa diffusion est prévue pour l'automne 2021. Au total, au sujet de Kaftrio®, l'association comptabilise près de 100 apparitions dans les médias.



Et demain?

Kaftrio® va permettre à une grande partie des patients de vivre mieux avec la mucoviscidose.

Bien évidemment nous n'avons pas encore assez de recul pour connaître son effet à long terme et *a fortiori* pour celles et ceux qui auront initié le traitement dès le plus jeune âge.

Néanmoins, il est permis d'espérer qu'ils puissent vivre longtemps avec la maladie ainsi stabilisée. Pour autant, notre objectif est bien de vaincre la maladie. C'est pourquoi l'association va intensifier ses actions pour que le slogan de son nouveau projet stratégique, « Vivre aujourd'hui, Vaincre demain ! », devienne une réalité.

L'objectif est que tous les patients puissent bénéficier d'un traitement

ayant un effet au moins équivalent à Kaftrio®.

Cela signifie concrètement que nos priorités en matière de recherche porteront notamment sur les patients non éligibles à Kaftrio® au regard de leur mutation ou de leur greffe.

À terme cette recherche doit nous permettre de surmonter la maladie.

Nous allons en parallèle continuer de promouvoir les projets de vie et de personnaliser l'accompagnement des patients et de leurs proches afin qu'ils puissent pleinement profiter de leur vie tant personnelle que professionnelle.

Enfin, Vaincre la Mucoviscidose ambitionne d'accompagner l'évolution du parcours de soins et de veiller à la qualité des soins PARTOUT.





#TousMobilisés

Retrouvez le magazine numéro 169
de Vaincre la Mucoviscidose ainsi que ce Hors-Série sur
vaincrelamuco.org

Crédits photo : Couverture : BNMK0819 - istockphoto.com • Page 5 : Droits réservés • Page 7 : Mint • Page 8 : Droits réservés •
Page 10 : Vaincre la Mucoviscidose • Page 12 : Julien KNAUB/Association Grégory Lemarchal • Page 13 : Vaincre la Mucoviscidose •
Page 14/15 : Droits réservés/Jean-Marie Liot • Page 18 : Vaincre la Mucoviscidose • Page 19 : agence Advitam -
Vaincre la Mucoviscidose • 4^{ème} de couverture : Loïc Trujillo/Droits réservés.

Vivre aujourd'hui



Vaincre demain.

VAINCRA
VAINCRA LA
MUCOVISCIDOSE