

REVUE DE PRESSE

« ESSAIS CLINIQUES DE PHASE 3
ANNULÉS EN FRANCE »



En date du 2 mars 2018



REVUE DE PRESSE "ESSAIS CLINIQUES"

PRESSE ET WEB



L'Argus de la presse | groupe Cision

SOMMAIRE

www.lesechos.fr (12 février 2018)	Mucoviscidose : bras de fer sur les prix des traitements	4
www.francetvinfo.fr (13 février 2018)	Mucoviscidose : des essais cliniques annulés en France, les patients "désarmés" et "pris en otage"	6
portail.free.fr (13 février 2018)	Mucoviscidose : des essais cliniques annulés en France, les patients "désarmés" et "pris en otage"	8
fr.news.yahoo.com (13 février 2018)	Mucoviscidose : des essais cliniques annulés en France, les patients "désarmés" et "pris en otage"	10
www.msn.com (13 février 2018)	Mucoviscidose : des essais cliniques annulés en France, les patients "désarmés" et "pris en otage"	12
actu.orange.fr (13 février 2018)	Mucoviscidose : des essais cliniques annulés en France, les patients "désarmés" et "pris en otage"	14
www.planet.fr (13 février 2018)	Mucoviscidose : des essais cliniques annulés en France, les patients "désarmés" et "pris en otage"	15
www.pourquoidocteur.fr (13 février 2018)	Mucoviscidose : les patients français privés d'un essai clinique qui aurait pu tout changer	16
www.frequencemedicale.com (13 février 2018)	Mucoviscidose : pas d'essai clinique pour les patients français	18
LES ECHOS (14 FEV 18)	Bras de fer sur les prix des traitements contre la mucoviscidose	19
www.allodocteurs.fr (13 février 2018)	Mucoviscidose : les patients français privés d'essais cliniques	21
www.lequotidiendupharmacien.fr (15 février 2018)	Des essais cliniques annulés	22
QUOTIDIEN DU PHARMACIEN (15 FEV 18)	Des essais cliniques annulés	23
LE FIGARO (19 FEV 18)	Mucoviscidose : pourquoi des essais cliniques ne se feront pas en France ?	24
fr.news.yahoo.com (24 février 2018)	Mucoviscidose: l'annulation d'essais cliniques suscite l'inquiétude des associations de patients	26
sante.lefigaro.fr (24 février 2018)	Mucoviscidose: l'annulation d'essais cliniques suscite l'inquiétude des associations de patients	28



Mucoviscidose : bras de fer sur les prix des traitements

iframe : redir.opoint.com



Avec des concurrents comme le belge Galapagos NV et son partenaire AbbVie ou la biotech Proteostasis Therapeutics, qui développent aussi des produits contre la mucoviscidose, Vertex voudrait profiter au maximum des deux ou trois d'avance dont il dispose pour valoriser son produit - Bill Sikes/AP/SIPA

La biotech américaine Vertex ne réalisera pas les essais cliniques de son prochain médicament en France. Elle juge le prix proposé pour son précédent traitement insuffisant. Les associations de patients protestent. On pourrait en faire un cas d'école, si ce n'était la santé -voire la vie - de patients atteints de mucoviscidose qui n'était en jeu. Vertex, une biotech américaine spécialisée dans le traitement de cette maladie génétique rare, renonce à mener en France, les essais cliniques pour son traitement de troisième génération. Une trithérapie qui devrait permettre de soigner davantage de patients et avec une meilleure efficacité.

Les associations de patients, « Vaincre la Mucoviscidose », « l'Association Grégory Lemarchand » et la « Filière Muco FTR » qui coordonne l'action des acteurs engagés dans la lutte contre la Mucoviscidose ont du coup décidé de monter au créneau. Dans un communiqué commun, elles ont expliqué ce lundi que « *pour les patients souffrant de mucoviscidose [ils sont 7.000 en France], être exclus de ces recherches est une réelle perte de chance.* » car ils ne pourront pas « *bénéficier d'un accès précoce au traitement en cas de succès.* »

Un comparateur discutable

Vertex dit qu'il « *comprend la colère des patients et des professionnels de santé* », mais Pierre-Henri Patin, le directeur général de Vertex France explique aussi que « *le laboratoire ne veut pas mener, en France,*



[Visualiser l'article](#)

des essais sur un produit qu'il ne pourra peut-être jamais y commercialiser ». A l'appui de cette affirmation, les négociations de prix menées depuis un an et demi sur la précédente génération de médicaments, une bithérapie, connue sous le nom de Orkambi.

Alors que la Haute Autorité de Santé, lors de son évaluation, a considéré que ce médicament n'avait pas de « *comparateur* » (les essais ont été réalisés contre placebo), le Comité Economique des Produits de Santé propose comme prix de référence, celui du Pulmozyme de Roche, un médicament autorisé depuis vingt ans, qui agit sur les symptômes mais ne cherche pas comme Orkambi à corriger le mécanisme biologique cause de la maladie.

Pression sur les prix

« *Nous avons fait six propositions de prix au CEPS* », explique Pierre-Henri Patin, *dont la dernière à quelque 13.000 euros par mois et par personne, mais le CEPS campe dans la zone de prix du Pulmozyme, soit environ 1.700 euros par mois et par personne* ». Un écart de près de 1 à 8 que le laboratoire refuse, sachant que son produit de première génération (une monothérapie) dénommé Kalybeco est vendu, lui, 18.000 euros par mois (et traite environ 200 patients en France) .

Les patients français se sentent un peu pris en otages alors que l'Orkambi est déjà disponible Allemagne, en Italie ou en Irlande, dans une même gamme de prix, selon Vertex. Aux Etats-Unis, il est toutefois soumis à une forte pression sur les prix de la part des assureurs privés car il s'agit d'un traitement à vie.

Valorisé à hauteur de 40 milliards de dollars en Bourse, Vertex a réalisé un chiffre d'affaires de 2,1 milliards de dollars en 2017. Avec des concurrents comme le belge Galapagos NV et son partenaire AbbVie ou la biotech Proteostasis Therapeutics, Vertex voudrait profiter au maximum des deux ou trois d'avance dont il dispose pour valoriser son produit et capter l'essentiel des patients et du marché.



Mucoviscidose : des essais cliniques annulés en France, les patients "désarmés" et "pris en otage"

À la suite de l'annulation des essais cliniques d'un médicament contre la mucoviscidose par le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, les acteurs français de la lutte contre cette maladie génétique s'alarment.



Laurence Lemarchal, co-fondatrice et directrice de l'association Grégory Lemarchal, le 17 janvier 2013, à Lille (Nord). (MAXPPP)

Le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals annule des essais cliniques d'un médicament contre la mucoviscidose prévus en 2018 en France. Il en a fait l'annonce le 1er février aux acteurs français engagés dans la lutte contre la maladie, qui s'en alarment lundi 12 février. *"C'est une décision inattendue et désarmante, (...) incompréhensible pour les malades"*, réagit Isabelle Durieu, animatrice de la Filière Muco CFTR.

Nous sommes aujourd'hui pris en otage par cette situation. C'est un espoir de gagner notre lutte contre la maladie qui s'évanouit Audrey, une patiente dans un communiqué

Ces essais cliniques, d'un traitement censé retarder le déclin des capacités respiratoires et donc faire gagner des mois d'espérance de vie, devaient concerner une quarantaine de personnes en France. Cependant, leur annulation touchera les quelque 1 500 patients qui à terme devaient en bénéficier. *"Si les tests sont concluants, ce sont les pays dans lesquels ils ont été menés qui en bénéficient les premiers, les traitements peuvent y être mis sur le marché avec deux ou trois ans d'avance"*, explique à franceinfo un membre de l'association Vaincre la Mucoviscidose.

Impossible de trouver un accord sur le prix

Selon les associations, la direction américaine de Vertex Pharmaceuticals a expliqué son choix par l'impossibilité de trouver avec l'État une entente sur le prix d'un précédent traitement testé en France, l'Orkambi. Ces négociations durent depuis un an et demi et représentent un enjeu financier majeur, pour le laboratoire comme pour l'État. L'association Vaincre la Mucoviscidose voit dans l'annulation des essais en France *"un chantage"* du laboratoire Vertex pour peser sur ces discussions.

[Visualiser l'article](#)

Un traitement proche, le Kalydeco, commercialisé par ce même laboratoire, coûte plus de 20 000 euros par mois et par malade, soit des dizaines de millions d'euros par an à l'État qui le prend en partie en charge pour 1 500 patients environ. La mucoviscidose est une maladie génétique qui touche plus de 7 200 patients en France. L'âge moyen des malades y est de 22 ans. Seul un patient sur 10 est aujourd'hui âgé de plus de 40 ans.

Mucoviscidose : des essais cliniques annulés en France, les patients "désarmés" et "pris en otage"



Franceinfo

À la suite de l'annulation des essais cliniques d'un médicament contre la mucoviscidose par le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, les acteurs français de la lutte contre cette maladie génétique s'alarment.

Le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals annule des essais cliniques d'un médicament contre la mucoviscidose prévus en 2018 en France. Il en a fait l'annonce le 1er février aux acteurs français engagés dans la lutte contre la maladie, qui s'en alarment lundi 12 février. *"C'est une décision inattendue et désarmante, (...) incompréhensible pour les malades"* , réagit Isabelle Durieu, animatrice de la Filière Muco CFTR.

Nous sommes aujourd'hui pris en otage par cette situation. C'est un espoir de gagner notre lutte contre la maladie qui s'évanouit

Audrey, une patiente
dans un communiqué

Ces essais cliniques, d'un traitement censé retarder le déclin des capacités respiratoires et donc faire gagner des mois d'espérance de vie, devaient concerner une quarantaine de personnes en France. Cependant, leur annulation touchera les quelque 1 500 patients qui à terme devaient en bénéficier. *"Si les tests sont concluants, ce sont les pays dans lesquels ils ont été menés qui en bénéficient les premiers, les traitements*



Date : 13/02/2018

Heure : 07:07:48

Journaliste : +

portail.free.fr
Pays : France
Dynamisme : 0



Page 2/2

[Visualiser l'article](#)

peuvent y être mis sur le marché avec deux ou trois ans d'avance" , explique à franceinfo un membre de l'association Vaincre la Mucoviscidose.

Lire la suite sur Franceinfo

fr.news.yahoo.com

Pays : France

Dynamisme : 0



Page 1/2

[Visualiser l'article](#)

Mucoviscidose : des essais cliniques annulés en France, les patients "désarmés" et "pris en otage"



À la suite de l'annulation des essais cliniques d'un médicament contre la mucoviscidose par le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, les acteurs français de la lutte contre cette maladie génétique s'alarment.

Le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals annule des essais cliniques d'un médicament contre la mucoviscidose prévus en 2018 en France. Il en a fait l'annonce le 1er février aux acteurs français engagés dans la lutte contre la maladie, qui s'en alarment lundi 12 février. *"C'est une décision inattendue et désarmante, (...) incompréhensible pour les malades"* , réagit Isabelle Durieu, animatrice de la Filière Muco CFTR.

Nous sommes aujourd'hui pris en otage par cette situation. C'est un espoir de gagner notre lutte contre la maladie qui s'évanouit

Audrey, une patiente
dans un communiqué

[Visualiser l'article](#)

Ces essais cliniques, d'un traitement censé retarder le déclin des capacités respiratoires et donc faire gagner des mois d'espérance de vie, devaient concerner une quarantaine de personnes en France. Cependant, leur annulation touchera les quelque 1 500 patients qui à terme devaient en bénéficier. *"Si les tests sont concluants, ce sont les pays dans lesquels ils ont été menés qui en bénéficient les premiers, les traitements peuvent y être mis sur le marché avec deux ou trois ans d'avance"* , explique à franceinfo un membre de l'association Vaincre la Mucoviscidose.

Impossible de trouver un accord sur le prix

Selon les associations, la direction américaine de Vertex Pharmaceuticals a expliqué son choix par l'impossibilité de trouver avec l'État une entente (...)

Lire la suite sur Franceinfo

Mucoviscidose : des essais cliniques annulés en France, les patients "désarmés" et "pris en otage"

À la suite de l'annulation des essais cliniques d'un médicament contre la mucoviscidose par le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, les acteurs français de la lutte contre cette maladie génétique s'alarment.



© Fournis par Francetv info

Le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals annule des essais cliniques d'un médicament contre la mucoviscidose prévus en 2018 en France. Il en a fait l'annonce le 1er février aux acteurs français engagés dans la lutte contre la maladie, qui s'en alarment lundi 12 février. *"C'est une décision inattendue et désarmante, (...) incompréhensible pour les malades"* , réagit Isabelle Durieu, animatrice de la Filière Muco CFTR.

Nous sommes aujourd'hui pris en otage par cette situation. C'est un espoir de gagner notre lutte contre la maladie qui s'évanouit



www.msn.com
Pays : France
Dynamisme : 0



[Visualiser l'article](#)

Audrey, une patiente dans un communiqué

Ces essais cliniques, d'un traitement censé retarder le déclin des capacités respiratoires et donc faire gagner des mois d'espérance de vie, devaient concerner une quarantaine de personnes en France. Cependant, leur annulation touchera les quelque 1 500 patients qui à terme devaient en bénéficier. *"Si les tests sont concluants, ce sont les pays dans lesquels ils ont été menés qui en bénéficient les premiers, les traitements peuvent y être mis sur le marché avec deux ou trois ans d'avance"* , explique à franceinfo un membre de l'association Vaincre la Mucoviscidose.

Impossible de trouver un accord sur le prix

Selon les associations, la direction américaine de Vertex Pharmaceuticals a expliqué son choix par l'impossibilité de trouver avec l'État une entente sur le prix d'un précédent traitement testé en France, l'Orkambi. Ces négociations durent depuis un an et demi et représentent un enjeu financier majeur, pour le laboratoire comme pour l'État. L'association Vaincre la Mucoviscidose voit dans l'annulation des essais en France *"un chantage"* du laboratoire Vertex pour peser sur ces discussions.

Un traitement proche, le Kalydeco, commercialisé par ce même laboratoire, coûte plus de 20 000 euros par mois et par malade, soit des dizaines de millions d'euros par an à l'État qui le prend en partie en charge pour 1 500 patients environ. La mucoviscidose est une maladie génétique qui touche plus de 7 200 patients en France. L'âge moyen des malades y est de 22 ans. Seul un patient sur 10 est aujourd'hui âgé de plus de 40 ans.

Mucoviscidose : des essais cliniques annulés en France, les patients "désarmés" et "pris en otage"



Le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals annule des essais cliniques d'un médicament contre la mucoviscidose prévus en 2018 en France. Il en a fait l'annonce le 1er février aux acteurs français engagés dans la lutte contre la maladie, qui s'en alarment lundi 12 février. "C'est une décision inattendue et désarmante, (...) incompréhensible pour les malades", réagit Isabelle Durieu, animatrice de la Filière Muco CFTR.

Nous sommes aujourd'hui pris en otage par cette situation. C'est un espoir de gagner notre lutte contre la maladie qui s'évanouit

Audrey, une patiente
dans un communiqué

Ces essais cliniques, d'un traitement censé retarder le déclin des capacités respiratoires et donc faire gagner des mois d'espérance de vie, devaient concerner une quarantaine de personnes...

Lire la suite sur Franceinfo



Mucoviscidose : des essais cliniques annulés en France, les patients "désarmés" et "pris en otage"

Le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals annule des essais cliniques d'un médicament contre la mucoviscidose prévus en 2018 en France. Il en a fait l'annonce le 1er février aux acteurs français engagés dans la lutte contre la maladie, qui s'en alarment lundi 12 février. "C'est une..



Le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals annule des essais cliniques d'un médicament contre la mucoviscidose prévus en 2018 en France. Il en a fait l'annonce le 1er février aux acteurs français engagés dans la lutte contre la maladie, qui s'en alarment lundi 12 février. "C'est une décision inattendue et désarmante, (...) incompréhensible pour les malades", réagit Isabelle Durieu, animatrice de la Filière Muco CFTR.

Nous sommes aujourd'hui pris en otage par cette situation. C'est un espoir de gagner notre lutte contre la maladie qui s'évanouit

Audrey, une patiente

dans un communiqué

Ces essais cliniques, d'un traitement censé retarder le déclin des capacités respiratoires et donc faire gagner des mois d'espérance de vie, devaient concerner une quarantaine de personnes en France. Cependant, leur annulation touchera les quelque 1 500 patients qui à terme devaient en bénéficier. "Si les tests sont concluants, ce sont les pays dans lesquels ils ont été menés qui en bénéficieront les premiers, les traitements peuvent y être mis sur le marché avec deux ou trois ans d'avance", explique à franceinfo un membre de l'association Vaincre la Mucoviscidose.

> Lire la suite sur Franceinfo



Mucoviscidose : les patients français privés d'un essai clinique qui aurait pu tout changer

avec le Pr André Grimaldi et Barbara Azaïs

Le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals ne poursuivra finalement pas les essais cliniques d'un médicament contre la mucoviscidose en France, qui compte pourtant parmi les pays les plus touchés par cette maladie génétique.



familylifestyle/epictura

1 500 patients ne pourront finalement pas en bénéficier comme prévu. Le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals a annoncé lundi 1er février que les essais cliniques de phase 3 prévus en 2018 pour l'évaluation d'une trithérapie ciblant les causes de la mucoviscidose n'auront finalement pas lieu en France. Une décision qui provoque l'ire des acteurs luttant contre cette maladie génétique mortelle, qui détruit progressivement les fonctions digestives et respiratoires.

"Une réelle perte de chance"

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

[Visualiser l'article](#)

ensemble dans une tribune libre Isabelle Durieu, animatrice de la Filière Muco CFTR, Pierre Lemarchal, président de l'Association Grégory Lemarchal et Pierre Guérin, président de Vaincre la Mucoviscidose.

Tous assimilent la décision du laboratoire américain à un véritable "chantage", alors que Vertex Pharmaceuticals justifie sa résolution par l'impossibilité de trouver une entente avec l'Etat français sur le prix d'un précédent traitement contre la mucoviscidose testé en France, l'Orkambi, dont le remboursement aux patients coûterait en l'état, trop cher à la sécurité sociale. La suspension des essais cliniques ne serait, toujours selon les associations, qu'un moyen de pression exercé par Vertex Pharmaceuticals sur l'Etat français afin de remporter les négociations.

7200 patients en France

Les essais cliniques du laboratoire Vertex Pharmaceuticals, qui auront bien lieu aux Etats-Unis et dans certains pays en Europe, ont pour objectif de faire gagner aux patients des années d'espérance de vie en retardant le déclin des fonctions respiratoires. La mucoviscidose est la plus fréquente des maladies génétiques héréditaires graves en Europe et en Amérique du Nord, touchant environ une naissance sur 2500 (la France compte 7 200 malades*). Elle entraîne une atteinte respiratoire létale, dont les traitements actuels n'arrivent toujours pas à venir à bout, malgré une amélioration significative de l'espérance de vie des patients (estimée à 47 ans en 2005 en France, celle-ci n'était que de 7 ans en 1965).

Le traitement de l'atteinte respiratoire utilise actuellement "une kinésithérapie respiratoire, une antibiothérapie, des traitements par des bronchodilatateurs, des anti-inflammatoires et fluidifiants mucolytiques", comme l'explique l'Institut Pasteur, précisant que la thérapie génique n'avait, malgré de nombreux essais, pas encore fait ses preuves pour vaincre la mucoviscidose. En moyenne, seul un patient sur 10 atteint actuellement l'âge de 40 ans.

*L'incidence varie selon les régions de 1/2500 dans le nord-ouest à 1/10000 dans le sud-est avec environ 2 millions de porteurs hétérozygotes dans tout le pays (source : Institut Pasteur).



Mucoviscidose : pas d'essai clinique pour les patients français

Le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals ne poursuivra finalement pas les essais cliniques d'un traitement contre la mucoviscidose en France, qui compte pourtant parmi les pays les plus touchés par cette maladie génétique.



Article avec accès abonné : <http://www.frequence medicale.com/Actus-Medicale/2359-Mucoviscidose-pas-d-essai-clinique-pour-les-patients-francais>



INDUSTRIE & SERVICES

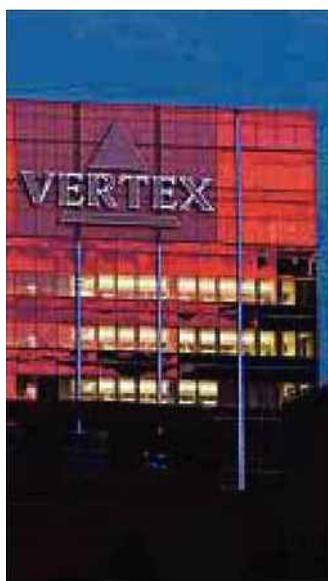
Bras de fer sur les prix des traitements contre la mucoviscidose

SANTÉ

La biotech américaine Vertex ne réalisera pas les essais cliniques de son prochain médicament en France.

Elle juge le prix proposé pour son précédent traitement insuffisant.

On pourrait en faire un cas d'école, si ce n'était la santé – voire la vie – de patients atteints de mucoviscidose qui n'était en jeu. Vertex, une biotech américaine spécialisée dans le traitement de cette maladie génétique rare, renonce à mener en France, les essais cliniques pour son traitement de troisième génération. Une trithérapie qui devrait permettre de soigner



Le siège de Vertex à Boston aux Etats-Unis. Photo Bill Sikes/AP/Sipa



davantage de patients et avec une meilleure efficacité.

Les associations de patients, vaincre la Mucoviscidose, l'Association Grégory Lemarchand et la Filière Muco FTR, qui coordonne l'action des acteurs engagés dans la lutte contre la Mucoviscidose, ont du coup décidé de monter au créneau. Dans un communiqué commun, elles ont expliqué ce lundi que « pour les patients souffrant de mucoviscidose [ils sont 7.000 en France], être exclus de ces recherches est une réelle perte de chance », car ils ne pourront pas « bénéficier d'un accès précoce au traitement en cas de succès. »

Un comparateur discutable

Vertex dit qu'il « comprend la colère des patients et des professionnels de santé », mais Pierre-Henri Patin, le directeur général de Vertex France explique aussi que « le laboratoire ne veut pas mener, en France, des essais sur un produit qu'il ne pourra peut-être jamais y commercialiser ». A l'appui de cette affirmation, les négociations de prix menées depuis un an et demi sur la précédente génération de médicaments, une bithérapie, connue sous le nom de Orkambi.

Alors que la Haute Autorité de santé, lors de son évaluation, a considéré que ce médicament n'avait pas de « comparateur » (les essais ont été réalisés contre placebo), le Comité économique des produits de santé propose comme prix de référence, celui du Pulmozyme de Roche, un médicament autorisé depuis vingt ans, qui agit sur les

symptômes, mais ne cherche pas, comme Orkambi, à corriger le mécanisme biologique, cause de la maladie.

Pression sur les prix

« Nous avons fait six propositions de prix au CEPS, explique Pierre-Henri Patin, dont la dernière, à quelque 13.000 euros par mois et par personne, mais le CEPS campe dans la zone de prix du Pulmozyme, soit environ 1.700 euros par mois et par personne ». Un écart de près de 1 à 8 que le laboratoire refuse, sachant que son produit de première génération (une monothérapie) dénommé Kalybeco est vendu, lui, 18.000 euros par mois (et traite environ 200 patients en France).

Les malades français se sentent un peu pris en otage alors que l'Orkambi est déjà disponible en Allemagne, en Italie ou en Irlande, dans une même gamme de prix, selon Vertex. Aux Etats-Unis, il est toutefois soumis à une forte pression sur les prix de la part des assureurs privés, car il s'agit d'un traitement à vie.

Valorisé à hauteur de 40 milliards de dollars en Bourse, Vertex a réalisé un chiffre d'affaires de 2,1 milliards de dollars en 2017. Avec des concurrents comme le belge Galapagos NV et son partenaire AbbVie ou la biotech Proteostasis Therapeutics, Vertex voudrait profiter au maximum des deux ou trois ans d'avance dont il dispose pour valoriser son produit et capter l'essentiel des patients et du marché. — C. D.

Mucoviscidose : les patients français privés d'essais cliniques

C'était le traitement le plus prometteur pour soigner les patients atteints de mucoviscidose. Un espoir pour des milliers de malades. Mais la biotech américaine Vertex a renoncé à réaliser en France les essais cliniques qui permettraient, à terme de le commercialiser.

Vidéo : https://www.allodocteurs.fr/maladies/poumons/mucoviscidose/mucoviscidose-les-patients-francais-privés-d-essais-cliniques_24209.html

Mucoviscidose : les patients français privés d'essais cliniques

Parce qu'elle est rare, la mucoviscidose a longtemps été le parent pauvre de la recherche. Faute de débouchés financiers, peu de laboratoires travaillent sur cette maladie génétique qui affecte le système respiratoire et digestif. Mais l'essor de nouvelles thérapies a rebattu les cartes. " *On a effectivement depuis quelques années, des traitements qui s'adressent au produit du gène, c'est-à-dire à la protéine qui est fabriquée par le gène, qui est le résultat de cette anomalie génétique et qui peut donc être corrigé, dans certains cas de mutation très spécifique. Cela veut dire se remettre à marcher pour certains patients. Actuellement, le laboratoire Vertex a trouvé un deuxième médicament qui permet de corriger plus efficacement cette mutation. Il s'adresse donc à un nombre beaucoup plus important de patients* ", explique Isabelle Sermet-Gaudelus, pédiatre et responsable du centre mucoviscidose à l'hôpital Necker.

Sauf que Vertex, le laboratoire en question vient de retirer la France de ses essais cliniques, pourtant prometteurs. La raison de cette volte-face : des négociations sur le prix du précédent médicament. Pour ce traitement, à prendre à vie, le laboratoire demande 13.000 euros par mois et par personne. L'Etat français propose quant à lui 1.700 euros, soit huit fois moins. Des pourparlers qui ont viré au bras de fer, sans jamais aboutir.

Les patients crient au chantage et dénoncent une vraie perte de chance. " *Certains patients avaient l'espoir de rentrer dans le protocole parce qu'en France, beaucoup de patients n'étaient pas traités par ce type de thérapie. Rentrer dans le protocole représente un vrai espoir parce qu'en effet, les essais ont montré que les patients amélioraient de 10 à 12% leurs fonctions respiratoires. C'est une vraie amélioration en terme de qualité de vie, de souffle, d'énergie... C'est vraiment un progrès qui pourrait être important* ".

Les pays qui accueillent les essais cliniques sur leur territoire sont aussi les premiers à bénéficier du traitement. Le médicament arrive en général avec deux ou trois années d'avance sur le reste du monde. Autant d'années de perdues pour les malades, dont l'espérance de vie est de 52 ans.

www.lequotidiendupharmacien.fr

Pays : France

Dynamisme : 8



Page 1/1

[Visualiser l'article](#)

Des essais cliniques annulés

Les associations de patients atteints de mucoviscidose dénoncent l'abandon par le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals des essais cliniques prévus cette année en France pour une nouvelle génération de traitement, au motif qu'il n'a pu obtenir un terrain d'entente avec le Comité économique des produits de santé (CEPS) sur le prix de son traitement précédent, l'Orkambi.

Le prix de cette bithérapie avait été en effet proposé à Vertex au même tarif que le Pulmozyme, soit...

Article avec accès abonné: https://www.lequotidiendupharmacien.fr/actualite-pharmaceutique/article/2018/02/15/des-essais-cliniques-annules_270688



Mucoviscidose Des essais cliniques annulés

Les associations de patients atteints de mucoviscidose dénoncent l'abandon par le Laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals des essais cliniques prévus cette année en France pour une nouvelle génération de traitement au motif qu'il n'a pu obtenir un terrain d'entente avec le Comité économique des produits de santé (CEPS) sur le prix de son traitement précédent l'Orkambi. Le prix de cette bithérapie avait été en effet proposé à Vertex au même tarif que le Pulmozyme soit environ 1700 euros par mois soit de huit fois inférieur à ce que le laboratoire prétendait. Quarante patients sont directement concernés par l'abandon de ces essais cliniques mais à terme plus de 1500 patients soit un patient sur cinq atteints de mucoviscidose auraient pu bénéficier de ce traitement de troisième génération.



QUESTIONS-RÉPONSES SANTÉ

Mucoviscidose : pourquoi des essais cliniques ne se feront pas en France ?

ISABELLE DURIEU
ANIMATRICE DE LA FILIÈRE
MUCO CFTR

PIERRE LEMARCHAL
PRÉSIDENT DE L'ASSOCIATION
GREGORY LEMARCHAL

PIERRE GUÉRIN
PRÉSIDENT DE VAINCRE
LA MUCOVISCIDOSE

Longtemps délaissées par l'industrie pharmaceutique, les maladies rares sont aujourd'hui considérées comme une mine d'or. La mucoviscidose profite notamment de cet engouement. Mais la semaine dernière, les associations de patients atteints de cette maladie génétique rare ont reçu un coup sur la tête. Alors que trois essais cliniques de phase 3 étaient prévus en France, le laboratoire Vertex Pharmaceuticals a annoncé qu'ils n'auraient pas lieu. « Le laboratoire ne veut pas mener, en France, des essais sur un produit qu'il ne pourra peut-être jamais y commercialiser », a justifié Pierre-Henri Patin, le directeur général de Vertex France.

Ce dernier fait référence au bras de fer engagé avec les autorités publiques autour d'un médicament appelé Orkambi. Aucun accord chiffré n'a pu être obtenu depuis un an et demi. « Le produit bénéficie d'une autorisation d'utilisation temporaire (ATU) depuis octobre 2015, les patients y ont donc accès. Cette mesure de rétorsion visant un essai clinique pour un autre produit est incompréhensible », confie une source proche du dossier.

Néanmoins, avec cette ATU, le laboratoire a le sentiment d'être en position de force. Cette disposition prévoit que le prix du médicament est fixé par l'industriel lui-même. Vertex a demandé 13 000 euros par mois et par patient. Un montant qu'il veut voir

maintenant se pérenniser. Mais en face, l'État veut le diviser par 8 car les autorités sanitaires ont jugé l'efficacité de l'Orkambi « modeste ». « Il est donc impensable de dépenser 150 000 euros par an et par patient pour ce traitement à prendre à vie. Le prix proposé par l'État est indexé sur le traitement de référence le plus cher », ajoute cette même source. Et de préciser : « Ce qui se passe avec Orkambi ne présage en rien des futures négociations autour du prochain médicament développé par Vertex. S'il représente une vraie innovation, il obtiendra de bonnes conditions tarifaires. » Un cri de colère que les associations espèrent bien être entendu.

LE FIGARO. - Pourquoi êtes-vous en colère ?

Pierre LEMARCHAL. - Des essais cliniques de phase 3 du laboratoire Vertex Pharmaceuticals, prévus en 2018 pour l'évaluation d'une trithérapie ciblant les causes de la mucoviscidose, n'auront finalement pas lieu en France. La direction américaine de l'entreprise a brutalement annulé leur réalisation dans les Centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM) qui avaient initialement été retenus par le laboratoire.

Plusieurs essais cliniques de phase 3 concernant l'évaluation de nouvelles thérapies étaient fortement attendus par les patients, les familles et les soignants. En janvier dernier, plusieurs CRCM avaient reçu confirmation qu'ils



participeraient à ces nouveaux essais. Vertex en a décidé autrement et les prochains essais n'auront pas lieu en France mais aux États-Unis et dans certains pays en Europe. L'annonce a fait l'effet d'une douche froide pour les patients français, ainsi privés de la possibilité de participer à l'évaluation de ces nouveaux traitements.

Y voyez-vous une forme de chantage de Vertex Pharmaceuticals ?

Isabelle DURIEU. - Oui, cela apparaît comme une forme de chantage. Pour les patients souffrant de mucoviscidose, être exclus de ces recherches est une réelle perte de chance. Cette situation, qui sonne comme une condamnation pour les acteurs engagés dans la lutte contre la mucoviscidose en France, est inacceptable tant pour les patients que pour les soignants. La déception est forte, d'autant plus que les CRCM et l'association de patients Vaincre la mucoviscidose ont jusqu'ici contribué activement à la réussite des précédents essais cliniques menés par le laboratoire.

Que demandez-vous ?

Pierre GUÉRIN. - La direction américaine de Vertex Pharmaceuticals a expliqué son choix par l'impossibilité de trouver en France une entente concernant le prix pour le traitement Orkambi®. Malgré une autorisation de mise sur le marché obtenue en no-

vembre 2015, et l'accès précoce au traitement depuis lors pour les patients de plus de 11 ans, les négociations pour en fixer le prix n'ont pas abouti. C'est aussi la raison qui bloque l'accès à Orkambi® pour les enfants de 6-11 ans.

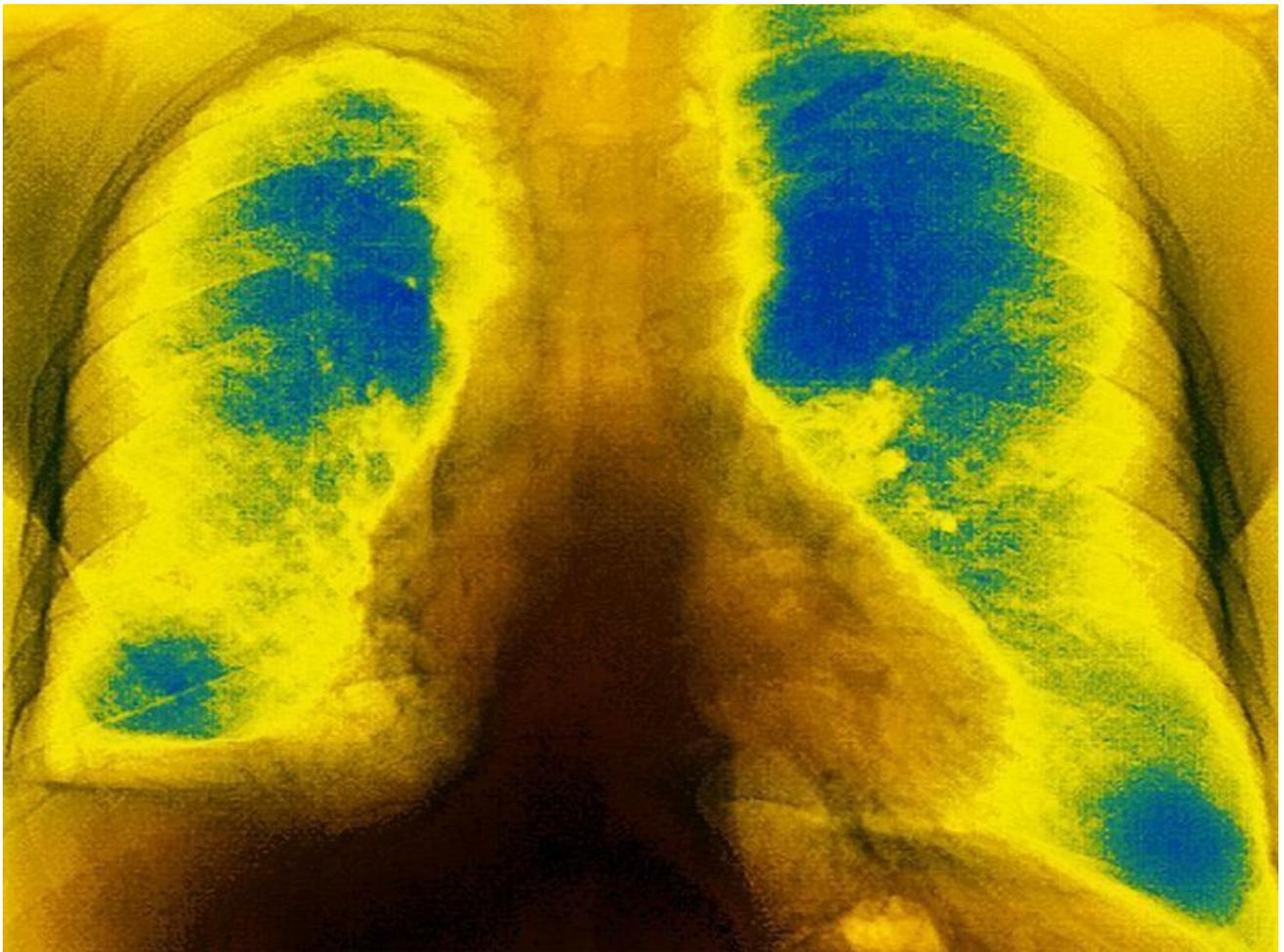
Vaincre la mucoviscidose, l'Association Grégory Lemarchal et la Société française de la mucoviscidose (qui fédère l'ensemble des CRCM) demandent au siège américain de Vertex Pharmaceuticals de reconsidérer sa position, d'honorer ses engagements auprès des CRCM et des patients concernant les essais cliniques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

PROPOS RECUEILLIS PAR
ANNE-LAURE LEBRUN



Mucoviscidose: l'annulation d'essais cliniques suscite l'inquiétude des associations de patients

LeFigaro.fr



Accumulation de mucus dans les voies respiratoires visualisée par une radiographie thoracique de face. / CAVALLINI JAMES / BSIP/CAVALLINI JAMES / BSIP

INTERVIEW - Le laboratoire qui devait réaliser ces études a annoncé qu'elles n'auraient finalement pas lieu en raison d'un désaccord financier avec les autorités sanitaires françaises. Trois acteurs associatifs s'en inquiètent*.

Longtemps délaissées par l'industrie pharmaceutique, les maladies rares sont aujourd'hui considérées comme une mine d'or. La mucoviscidose profite notamment de cet engouement. Mais la semaine dernière, les associations de patients atteints de cette maladie génétique rare ont reçu un coup sur la tête.

[Visualiser l'article](#)

Alors que trois essais cliniques de phase 3 étaient prévus en France, le laboratoire Vertex Pharmaceuticals a annoncé qu'ils n'auraient pas lieu. «Le laboratoire ne veut pas mener, en France, des essais sur un produit qu'il ne pourra peut-être jamais y commercialiser», a justifié Pierre-Henri Patin, le directeur général de Vertex France.

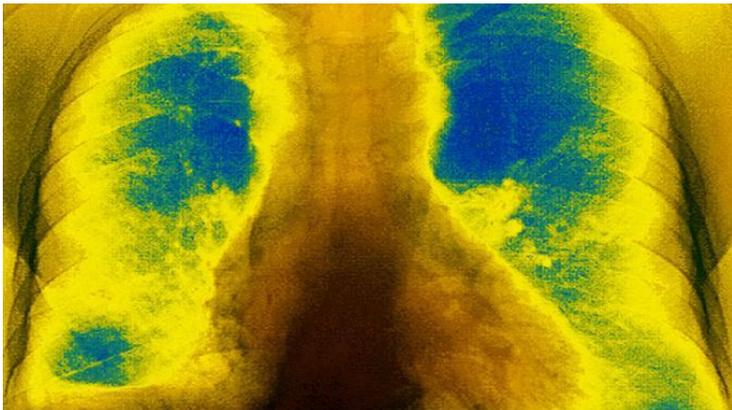
Ce dernier fait référence au bras de fer engagé avec les autorités publiques autour d'un médicament appelé Orkambi. Aucun accord chiffré n'a pu être obtenu depuis un an et demi. «Le produit bénéficie d'une autorisation d'utilisation temporaire (ATU) depuis octobre 2015, les patients y ont donc accès. Cette mesure de rétorsion visant un essai clinique pour un autre produit est incompréhensible», confie une source proche du dossier.

Néanmoins, avec cette ATU, le laboratoire a le sentiment d'être en position de force. Cette disposition prévoit que le prix du médicament est fixé par l'industriel lui-même. Vertex a demandé 13.000 euros par mois et par patient. Un montant qu'il veut voir maintenant se pérenniser. Mais en face, l'État veut le diviser par 8 car les autorités sanitaires ont jugé l'efficacité de l'Orkambi «modeste».

«Il est donc impensable de dépenser 150.000 euros par an et par patient pour ce traitement à prendre à vie. Le prix proposé par l'État est indexé sur le traitement de référence le plus cher», ajoute cette même source. Et de préciser: «Ce qui se passe avec Orkambi ne présage en rien des (...) Lire la suite sur Figaro.fr



Mucoviscidose: l'annulation d'essais cliniques suscite l'inquiétude des associations de patients



Accumulation de mucus dans les voies respiratoires visualisée par une radiographie thoracique de face. CAVALLINI JAMES / BSIP/CAVALLINI JAMES / BSIP

INTERVIEW - Le laboratoire qui devait réaliser ces études a annoncé qu'elles n'auraient finalement pas lieu en raison d'un désaccord financier avec les autorités sanitaires françaises. Trois acteurs associatifs s'en inquiètent*.

Longtemps délaissées par l'industrie pharmaceutique, les maladies rares sont aujourd'hui considérées comme une mine d'or. La mucoviscidose profite notamment de cet engouement. Mais la semaine dernière, les associations de patients atteints de cette maladie génétique rare ont reçu un coup sur la tête.

Alors que trois essais cliniques de phase 3 étaient prévus en France, le laboratoire Vertex Pharmaceuticals a annoncé qu'ils n'auraient pas lieu. «Le laboratoire ne veut pas mener, en France, des essais sur un produit qu'il ne pourra peut-être jamais y commercialiser», a justifié Pierre-Henri Patin, le directeur général de Vertex France.

Ce dernier fait référence au bras de fer engagé avec les autorités publiques autour d'un médicament appelé Orkambi. Aucun accord chiffré n'a pu être obtenu depuis un an et demi. «Le produit bénéficie d'une autorisation d'utilisation temporaire (ATU) depuis octobre 2015, les patients y ont donc accès. Cette mesure de rétorsion visant un essai clinique pour un autre produit est incompréhensible», confie une source proche du dossier.

«Cette situation, qui sonne comme une condamnation pour les acteurs engagés dans la lutte contre la mucoviscidose en France, est inacceptable tant pour les patients que pour les soignants.»

Isabelle Durieu, animatrice de la filière muco CFTR.

Néanmoins, avec cette ATU, le laboratoire a le sentiment d'être en position de force. Cette disposition prévoit que le prix du médicament est fixé par l'industriel lui-même. Vertex a demandé 13.000 euros par mois et par patient. Un montant qu'il veut voir maintenant se pérenniser. Mais en face, l'État veut le diviser par 8 car les autorités sanitaires ont jugé l'efficacité de l'Orkambi «modeste».

[Visualiser l'article](#)

«Il est donc impensable de dépenser 150.000 euros par an et par patient pour ce traitement à prendre à vie. Le prix proposé par l'État est indexé sur le traitement de référence le plus cher», ajoute cette même source. Et de préciser: «Ce qui se passe avec Orkambi ne présage en rien des futures négociations autour du prochain médicament développé par Vertex. S'il représente une vraie innovation, il obtiendra de bonnes conditions tarifaires.»

LE FIGARO. - Pourquoi êtes-vous en colère?

PIERRE LEMARCHAL. - Des essais cliniques de phase 3 du laboratoire Vertex Pharmaceuticals, prévus en 2018 pour l'évaluation d'une trithérapie ciblant les causes de la mucoviscidose, n'auront finalement pas lieu en France. La direction américaine de l'entreprise a brutalement annulé leur réalisation dans les Centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM) qui avaient initialement été retenus par le laboratoire.

Plusieurs essais cliniques de phase 3 concernant l'évaluation de nouvelles thérapies étaient fortement attendus par les patients, les familles et les soignants. En janvier dernier, plusieurs CRCM avaient reçu confirmation qu'ils participeraient à ces nouveaux essais. Vertex en a décidé autrement et les prochains essais n'auront pas lieu en France mais aux États-Unis et dans certains pays en Europe. L'annonce a fait l'effet d'une douche froide pour les patients français, ainsi privés de la possibilité de participer à l'évaluation de ces nouveaux traitements.

Y voyez-vous une forme de chantage de Vertex Pharmaceuticals?

Isabelle DURIEU. - Oui, cela apparaît comme une forme de chantage. Pour les patients souffrant de mucoviscidose, être exclus de ces recherches est une réelle perte de chance. Cette situation, qui sonne comme une condamnation pour les acteurs engagés dans la lutte contre la mucoviscidose en France, est inacceptable tant pour les patients que pour les soignants. La déception est forte, d'autant plus que les CRCM et l'association de patients Vaincre la mucoviscidose ont jusqu'ici contribué activement à la réussite des précédents essais cliniques menés par le laboratoire.

Que demandez-vous?

Pierre GUÉRIN. - La direction américaine de Vertex Pharmaceuticals a expliqué son choix par l'impossibilité de trouver en France une entente concernant le prix pour le traitement Orkambi®. Malgré une autorisation de mise sur le marché obtenue en novembre 2015, et l'accès précoce au traitement depuis lors pour les patients de plus de 11 ans, les négociations pour en fixer le prix n'ont pas abouti. C'est aussi la raison qui bloque l'accès à Orkambi® pour les enfants de 6-11 ans.

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

** Pierre Lemarchal est président de l'Association Grégory Lemarchal, Isabelle Durieu est animatrice de la filière muco CFTR et Pierre Guérin est président de Vaincre la mucoviscidose.*



REVUE DE PRESSE "ESSAIS CLINIQUES"

DEPÊCHES APM

DÉPÊCHE DU 12/02/2018

Mucoviscidose: Vertex renonce à un essai clinique en France faute d'un prix pour Orkambi*

Mots-clés : #essais cliniques #produits de santé #pneumo #protection sociale #Vertex #maladies rares #patients-usagers #CEPS #accès au marché #prix #remboursement

PARIS, 12 février 2018 (APMnews) - Vertex a renoncé à mener un essai clinique en France en raison du blocage de la négociation sur le prix du traitement de la mucoviscidose Orkambi* (lumacaftor + ivacaftor), a indiqué le laboratoire dans une déclaration écrite à APMnews lundi.

La France devait faire partie des pays participant à l'essai de phase III évaluant une trithérapie combinant la molécule expérimentale VX-659 à l'association tézacaftor + ivacaftor dans la mucoviscidose. Vertex France réagissait à un communiqué diffusé dans la matinée par Vaincre la mucoviscidose, l'Association Grégory-Lemarchal et Filière Muco FTR.

Les trois associations y exprimaient leur "colère" quant à la décision de Vertex. Ces essais cliniques étaient "fortement attendus" et l'annonce de l'exclusion de la France du programme a "fait l'effet d'une douche froide pour les patients français, ainsi privés de la possibilité de participer à l'évaluation de ces nouveaux traitements".

Cette situation "inacceptable" est, selon elles, "une forme de chantage". Pour cela, les associations demandent au laboratoire de "reconsidérer sa position" et "d'honorer ses engagements".

"Vertex comprend la colère de la communauté des patients souffrant de mucoviscidose et des professionnels de santé qui les accompagnent", répond le laboratoire. Il explique que, pour ses anciens traitements, il avait une "visibilité suffisante" sur leur mise à disposition mais que, depuis, "le processus français d'accès et de remboursement est devenu imprévisible et se révèle d'issue incertaine pour nos molécules actuelles et à venir".

Le groupe met en cause le blocage des négociations avec le Comité économique des produits de santé (CEPS) sur le prix d'Orkambi*. "On se rend compte qu'après 18 mois on n'arrive pas à sécuriser ce produit", a indiqué lundi un porte-parole du groupe à APMnews.

Orkambi* a été homologué en novembre 2015 pour traiter les enfants à partir de 12 ans et les adultes atteints de mucoviscidose présentant deux copies de la mutation F508del. La commission de la transparence (CT) lui a attribué une note d'amélioration du service médical rendu (ASMR) de niveau IV (mineure), avec une population cible estimée à 1.070 patients par an (cf [dépêche du 18/07/2016 à 16:44](#)). Il a ensuite obtenu une extension d'indication chez les enfants âgés de 6 à 11 ans en janvier (cf [dépêche du 10/01/2018 à 19:43](#)).

Vertex fait valoir qu'en 18 mois de discussions "aucune offre n'a été acceptée" et que "les contre-propositions des autorités ont systématiquement pris pour comparateur un médicament ancien, autorisé il y a plus de 20 ans, et non spécifique à la mucoviscidose, ne reconnaissant ni la valeur thérapeutique ni l'innovation apportée par Orkambi*".

Comme preuve de sa bonne volonté, le porte-parole a souligné que le groupe avait même soumis une offre de prix incluant l'extension d'indication pédiatrique afin de permettre une "mise en traitement la plus rapide possible des enfants".

Interrogé quant à une possible décision du laboratoire de stopper les négociations, le porte-parole a répondu que Vertex "n'exclut rien" mais "fait tous les efforts pour que le produit approuvé soit disponible en France".

"Cette situation critique compromet l'accès à nos innovations et notre capacité à conduire des essais cliniques de phase III des thérapies de nouvelle génération de Vertex en France. En l'absence de reconnaissance de la valeur thérapeutique de nos traitements, Vertex ne peut pas garantir aux patients inclus dans nos essais cliniques de pouvoir continuer leur traitement en France", souligne le groupe dans sa déclaration.

yb/vib/APMnews

[YB1P41LJ5]

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.

©1989-2018 APM International -

<https://www.apmnews.com/depeche/123603/316151/mucoviscidose-vertex-renonce-a-un-essai-clinique-en-france-faute-d-un-prix-pour-orkambi>

DÉPÊCHE DU 28/02/2018

Orkambi*: sous le feu des critiques, Vertex maintient sa position

Mots-clés : #produits de santé #médico-éco #pneumo #agences sanitaires #Vertex #Parlement #prix #accès au marché #HAS #CEPS #maladies rares

PARIS, 28 février 2018 (APMnews) - Vertex "reste engagé" pour trouver un accord sur le remboursement de son traitement de la mucoviscidose Orkambi* (lumacaftor + ivacaftor), mais n'entend pas revenir sur sa décision de priver la France d'un essai clinique sur un autre produit dans cette maladie en raison du blocage de l'actuelle négociation de prix malgré la demande du député (LREM, Isère) Olivier Véran, a indiqué le laboratoire dans un message écrit à APMnews mardi soir.

Orkambi* a obtenu une autorisation de mise sur le marché (AMM) européenne centralisée en novembre 2015 dans le traitement de la mucoviscidose chez les patients âgés de 12 ans et plus homozygotes pour la mutation F508del du gène CFTR, rappelle-t-on. L'homologation a été étendue aux enfants de 6 à 11 ans en janvier.

Dans un avis rendu en juin 2016, la commission de la transparence (CT) a estimé que le médicament présentait un service médical rendu (SMR) important et une amélioration du SMR mineure (ASMR IV). La population cible (à partir de 12 ans) a été estimée à 1.070 patients. Depuis, le médicament, qui a bénéficié d'une autorisation temporaire d'utilisation (ATU) de cohorte puis de statut de post-ATU, n'a pas obtenu son inscription au remboursement.

Pour manifester son mécontentement face au blocage des négociations avec le Comité économique des produits de santé (CEPS), Vertex a récemment renoncé à conduire en France la phase III sur un nouveau produit contre la mucoviscidose, ce que les associations de patients ont qualifié de "chantage" (cf [dépêche du 12/02/2018 à 17:36](#)).

Dans un message sur Facebook lundi soir, Olivier Véran, rapporteur général de la commission des affaires sociales de l'Assemblée nationale, a qualifié "inacceptable" l'attitude de Vertex qui "relève du chantage" et d'une "tentative de rétorsion sur les patients". "Je tiens à préciser que cela est tout à fait inhabituel dans l'histoire des relations entre Etat et laboratoires", a ajouté le parlementaire, qui a indiqué avoir été interpellé par le père d'un enfant malade.

"Vertex doit immédiatement se ressaisir et aura l'occasion de le faire, en reprenant sans délai ses essais cliniques dans notre pays, qui demeure un pays très favorable à l'innovation, notamment en santé. Et s'il prenait l'envie à Vertex de refuser de commercialiser ses futurs traitements en France, je serais là pour leur rappeler que dans notre droit il existe un dispositif, la licence obligatoire, qui permet à l'Etat de lever d'office un brevet pour des raisons de santé publique", a déclaré Olivier Véran.

"Nous comprenons l'inquiétude du Dr Olivier Véran face à la décision de Vertex de ne pas poursuivre les essais cliniques en France et c'est pourquoi Vertex reste engagé dans la recherche d'une solution de remboursement à long terme pour les patients souffrant de mucoviscidose et éligibles à Orkambi* en France", a indiqué Vertex France à APMnews, qui souligne s'être "engagé librement avec l'ATU pour Orkambi* fin 2015 afin d'assurer aux patients un accès le plus précoce possible".

Revendication de prix très élevée

L'avis d'efficience d'Orkambi*, rendu public opportunément lundi alors qu'il remonte à mai 2016, a mis en évidence les revendications de prix très élevées de Vertex (cf [dépêche du 26/02/2018 à 10:00](#)). Le prix pratiqué dans le cadre de l'ATU revient à un coût de traitement de 169.000 euros par an par patient, note-t-on.

Le ratio différentiel coûts-résultats (RDCR), de 574.390 euros par année de vie supplémentaire ajustée sur la qualité de vie (QALY) sur l'ensemble de la population concernée par l'indication (à partir de 12 ans), est d'ailleurs qualifié d'"extrêmement élevé" par la commission évaluation économique et de santé publique (Ceesp).

Vertex est "conscient" que la commission a estimé ce ratio "très élevé" mais considère que ce n'est "pas l'indicateur médico-économique le plus pertinent pour évaluer les médicaments contre les maladies rares", soulignant que la comparaison a été établie avec des traitements symptomatiques, alors qu'Orkambi* s'attaque "à la cause sous-jacente de la mucoviscidose".

La Ceesp a par ailleurs émis des "réserves importantes" sur la méthode sur laquelle repose l'étude médico-économique fournie par le laboratoire. Vertex France rappelle qu'une "réserve importante" n'est pas une "réserve majeure" qui, seule, aurait "mis en évidence un important problème de méthodologie".

yb/eh/APMnews

[YB6P4TEA1]

POLSAN - ETABLISSEMENTS 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.

©1989-2018 APM International -

<https://www.apmnews.com/depeche/123603/316874/orkambi-sous-le-feu-des-critiques--vertex-maintient-sa-position>



REVUE DE PRESSE "ESSAIS CLINIQUES"

RADIO ET TV

KANTAR MEDIA

SOMMAIRE

France Info

- Journal de 17h
- Journal de 19h
- Interview de Pierre Guérin à 17h45 Script intégral page 37 & 38

France Inter

- Journal de 16h
- Journal de 17h Script intégral page 39

France 5

- Le magazine de la santé Script intégral page 40 & 41

France 3 Aquitaine

- Journal de 12h Script intégral page 42 & 45
 - Reportage
 - Interview plateau
- Journal de 19h
 - Reportage

Ref. Doc. : 2501-11746576-4

A : ELISE SAGNARD / ASSOCIATION VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Mot-Clé : MUCOVISCIDOSE

franceinfo:

FRANCE INFO

INTERVIEW – Le 12/02/2018 – 17:44:12

Invité : Pierre GUERIN, président de l'association Vaincre la Mucoviscidose

Sujet : Annonce du laboratoire américain de l'arrêt des essais thérapeutiques sur le médicament Orkambi

NICOLAS TEILLARD

On en vient l'inquiétude de malades de la mucoviscidose. Elles ont appris, il y a quelques jours, l'annulation des essais cliniques prévus cette année sur un médicament ; des essais confiés à un laboratoire américain qui s'arrête, visiblement pour des questions d'argent. Bonsoir, Pierre GUERIN.

PIERRE GUERIN

Oui, bonsoir monsieur.

NICOLAS TEILLARD

Président de l'association Vaincre la mucoviscidose. C'est le laboratoire VERTEX PHARMACEUTICALS qui a décidé l'arrêt de ces essais, laboratoire américain. Pourquoi ?

PIERRE GUERIN

C'est un arrêt effectivement qui vient d'arriver, c'est le siège de Boston qui a pris cette décision, donc, il y a quelques jours, tout simplement parce que la négociation qu'il a entamée avec la Commission... avec le Comité économique des produits de santé sur le prix d'un médicament – il s'appelle Orkambi – a échoué, c'est-à-dire qu'ils ne se sont pas mis d'accord. Donc comme il était prévu un essai clinique très innovant pour compléter finalement l'efficacité de ce médicament, donc médicament Orkambi – donc on parle là, de trithérapie, mais surtout d'attente très, très importante – le laboratoire américain donc a décidé de ne pas faire, de ne pas démarrer ses essais cliniques de manière à faire pression sur les autorités.

NICOLAS TEILLARD

Pour une histoire d'argent, clairement.

PIERRE GUERIN

VERTEX, c'est une société qui est cotée au NASDAQ, donc la Bourse des sociétés innovantes aux Etats-Unis ; ils ont effectivement un niveau de négociation qui est lié à leur modèle économique, c'est-à-dire que bon, ils sont sur une maladie rare, il y a une file active de patients qui est limitée ; donc ils veulent effectivement négocier le maximum du prix ! Voilà !

NICOLAS TEILLARD

KANTAR MEDIA

TEL : 01.47.67.18.00

serviceclients.ri@kantarmedia.com

Tous droits réservés

La conséquence – qui est le principal, ce qui nous intéresse – la conséquence pour les malades, Pierre GUERIN ?

PIERRE GUERIN

La conséquence, elle est grave. Elle est grave parce que là, on parle de la thérapie de la protéine, qui est une technique, disons, hyper-efficace en termes d'avancée pour faire reculer la mucoviscidose ; Orkambi donne déjà des premiers résultats pour tous les patients qui le reçoivent depuis un peu plus d'un an. Le fait de renoncer à cet essai clinique place les patients dans une situation – en France, je parle – où l'espérance de vie ne va pas progresser, c'est-à-dire qu'on est en train, là, de les condamner à avoir un état de santé qui ne s'améliore pas par rapport aux espérances qui étaient attendues.

NICOLAS TEILLARD

Et ça concerne 1.500 patients environ, en France ?

PIERRE GUERIN

Un peu plus, voilà, un peu plus de 1.500 patients.

NICOLAS TEILLARD

Concernés précisément par...

PIERRE GUERIN

Et à terme, beaucoup plus ! Parce que là, on parle de – je ne veux pas rentrer trop dans le détail technique – on parle des patients qui sont homozygotes Delta F508, mais on sait très bien que ces essais peuvent déboucher sur l'élargissement du traitement à des patients hétérozygotes, c'est-à-dire ayant deux copies différentes.

NICOLAS TEILLARD

Et donc on a bien compris que cet arrêt pourrait avoir des conséquences importantes et ne pas permettre l'amélioration des traitements actuels, surtout ceux qui en ont le plus grand besoin. Merci, Pierre GUERIN...

PIERRE GUERIN

Merci !

NICOLAS TEILLARD

D'avoir réagi sur France Info. Je rappelle que vous êtes président de l'association Vaincre la mucoviscidose. 17:47:38 FIN\$

Ref. Doc. : 2501-11746640-3

A : ELISE SAGNARD / ASSOCIATION VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Mot-Clé : MUCOVISCIDOSE



FRANCE INTER

FLASH – Le 12/02/2018 – 17:01:22

LAËTITIA GAYET

Il n'y aura pas d'essais cliniques VERTEX en France pour les patients atteints de mucoviscidose. Le laboratoire américain y renonce. Les associations de malades parlent d'un bras-de-fer avec l'Etat, mais au bout de la chaîne, il y a des patients qui devront attendre. Pas simple quand on sait que la maladie génétique est mortelle et qu'un patient sur dix en France dépasse les 40 ans. Jules de KISS.

JULES DE KISS

Ce nouveau traitement doit permettre de retarder le déclin des capacités respiratoires des malades, faire gagner des mois d'espérance de vie. VERTEX fera donc ses derniers essais cliniques aux Etats-Unis. C'est un coup rude pour la quarantaine de patients initialement choisis en France, des espoirs qui s'évanouissent, mais plus largement pour tous les malades français, car quand un médicament est testé dans un pays, c'est lui qui en bénéficie en premier, avec parfois deux à trois ans d'avance. En France, il faudra donc attendre. Pour l'association Grégory Le Marchal ou vaincre la mucoviscidose, il y a là un chantage du laboratoire américain pour faire plier l'Etat français. « Cela fait un an et demi qu'il négocie sans succès le prix d'un précédent traitement et il y a des dizaines de millions d'euros par an en jeu ; des profits pour VERTEX et des dépenses pour l'Etat qui peuvent monter très vite. Le Kalydeco par exemple, particulièrement efficace pour la mucoviscidose, est vendu près de 20.000 euros la boîte en pharmacie ; une boîte remboursée qui dure vingt-huit jours.

LAËTITIA GAYET

Jules de KISS. 17:02:36 FIN\$

Ref. Doc. : 2501-11749741-5

A : ELISE SAGNARD / ASSOCIATION VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Mot-Clé : MUCOVISCIDOSE



FRANCE 5

LE MAGAZINE DE LA SANTE – Le 13/02/2018 – 13:50:56

MICHEL CYMES

C'était le traitement le plus prometteur pour soigner les patients atteints de mucoviscidose, l'espoir de milliers de malades en France, mais la biotech américaine VERTEX a renoncé à réaliser en France les essais cliniques qui permettraient, à terme, de le commercialiser.

PHILIPPE CHARLIER

Et la raison, eh bien malheureusement un bras de fer financier avec l'Etat français autour du prix d'un précédent traitement. Pour les patients, annuler ces essais cliniques, représente une véritable perte de chance. On regarde les explications de Romain MARECHAL, Anaïs PLATEAU et Hervé DROGUET.

ROMAIN MARECHAL

C'était un espoir pour les 7 000 malades atteints de mucoviscidose. La mucoviscidose, une maladie génétique rare sur laquelle peu de laboratoires travaillent, faute de débouchés financiers. Mais l'essor des thérapies géniques a rebattu les cartes et relancé la recherche.

PR ISABELLE SERMET-GAUDELUS, RESPONSABLE CENTRE DE MUCOVISCIDOSE HOPITAL NECKER – ENFANTS MALADES AP-HP 75

On a effectivement, depuis quelques années, des traitements qui s'adressent au produit du gène, c'est-à-dire à la protéine qui est fabriquée par le gène, qui est le résultat de cette anomalie génétique, et qui peut donc être, dans certains cas, et dans les cas de mutation très spécifiques, être corrigé, c'est-à-dire, en gros se remettre à marcher. Et ce qui se passe actuellement, c'est que le laboratoire VERTEX a trouvé du coup un médicament qui permet de corriger plus efficacement cette mutation. Donc ça s'adresse à un nombre beaucoup plus important de patients.

ROMAIN MARECHAL

Sauf que VERTEX, le laboratoire en question, vient de retirer la France de ses essais cliniques, pourtant prometteurs. La cause : des négociations sur le prix du précédent médicament, négociations qui ont viré au bras de fer et qui n'ont pas abouti. Ce traitement, le laboratoire en demande 13 000 € par mois et par personne, la France en propose 1 700 €, soit 8 fois moins. Les patients dénoncent un chantage et se sentent pris entre deux feux.

PR ISABELLE SERMET-GAUDELUS

KANTAR MEDIA

TEL : 01.47.67.18.00

serviceclients.ri@kantarmedia.com

Tous droits réservés

Il y a des patients qui avaient l'espoir de rentrer dans ces protocoles, parce que, en France en tout cas, en particulier, on avait beaucoup de patients qui, actuellement, n'étaient pas traités mais parce ce type de thérapie, qui auraient pu rentrer dans ce type de protocole. Donc c'était un vrai espoir, parce qu'en effet, ils ont effectivement montré que les patients s'amélioraient de 10, 12 % de fonctions respiratoires. Et 10,12 % de fonctions respiratoires, c'est une vraie amélioration en termes de qualité de vie, en termes de qualité du souffle, en termes d'énergie. C'est vraiment un progrès qui pourrait être important.

ROMAIN MARECHAL

Les pays qui accueillent les essais cliniques sur leur territoire, sont aussi les premiers à bénéficier du traitement. Le médicament arrive en général avec deux ou trois années d'avance sur le reste du monde, autant d'années de perdues pour les malades, dont l'espérance de vie est de 52 ans. 13:53:31.
FIN£

Ref. Doc. : 2501-11764427-2

A : ELISE SAGNARD / ASSOCIATION VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Mot-Clé : MUCOVISCIDOSE



FRANCE 3 AQUITAINE

12/13 AQUITAINE – Le 19/02/2018 – 12:05:36

VINCENT DUBROCA

Venons-en au dossier santé de cette édition, consacré donc à la mucoviscidose et aux progrès de la recherche à Bordeaux. Cette grave maladie génétique a été médiatisée en son temps par le chanteur Grégory LEMARCHAL, elle touche une douzaine de nouveaux patients dans la région, chaque année. Bordeaux est un centre de référence européen pour la recherche, une recherche qui permet aux malades de vivre plus longtemps, à condition de suivre un lourd traitement quotidien. Dossier signé Patricia MANDON et Sébastien DELALOT.

PATRICIA MANDON

Quentin souffre de mucoviscidose. Chaque trimestre il vient passer des examens de suivi-là l'Hôpital des enfants de Bordeaux. Cette pathologie génétique touche de plus en plus de personnes en France. Dans le cas de cette maladie, le corps fabrique un mucus épais, visqueux, qui entraîne de graves difficultés respiratoires et digestives.

CAROLINE BRUNEAUX, MASSEUR-KINESITHERAPEUTE – BORDEAUX – CENTRE RESSOURCES ET COMPETENCES MUCOVISCIDOSE

L'objectif de la kinésithérapie, c'est de drainer ce mucus, pour faciliter son évacuation, c'est du quotidien, toute l'année, malheureusement la mucoviscidose ne prend pas de vacances.

PATRICIA MANDON

Depuis 2 ans, Quentin bénéficie des progrès de la recherche et teste de nouvelles molécules. Il a même repris une activité physique et intégré une équipe de football.

SANDRINE DELBOS, MAMAN DE QUENTIN, 13 ANS

Il a grossi, il respire mieux, il court, il s'amuse comme les autres, c'est le principal.

DOCTEUR FRANÇOIS GALODE, PEDIATRE SERVICE PNEUMOLOGIE CENTRE RESSOURCES ET COMPETENCES MUCOVISCIDOSE

Il y a deux types de traitements. Il y a le traitement qui est symptomatique, qui existe déjà depuis toujours et qui pour l'instant n'est pas du tout substituable, notamment la kiné, les vitamines, les antibiotiques, les enzymes pancréatiques. Et puis après, il y a effectivement ces nouvelles

thérapeutiques qui arrivent et qui émergent, pour lesquelles on a des bons résultats. Donc les deux choses sont complémentaires.

PATRICIA MANDON

A 16 ans, Timothée gère bien sa maladie, tout en préparant un bac Gestion des milieux naturels.

TIMOTHEE COUTREAU, 16 ANS – DE CHARENTE MARITIME

Il faut juste prendre des médicaments.

PATRICIA MANDON

Il y en a beaucoup ?

TIMOTHEE COUTREAU

Un peu ouais, sinon après je fais tout ce que dit l'hôpital, et tout va bien. Je fais du rugby et puis je fais aussi de l'équitation, mais par exemple pour brosser le cheval, ils m'ont dit de porter un masque, du coup, voilà.

PATRICIA MANDON

A cause des poils et de la poussière ?

TIMOTHEE COUTREAU

Des bactéries qu'il peut dégager et voilà.

PATRICIA MANDON

A 2 ans et demi, Lola connaît bien le Centre de ressources et de compétences de la mucoviscidose, elle le fréquente avec ses parents, quatre fois par an.

CHRISTOPHE COUSTILLAS

Nous avons vu la terrible nouvelle, d'apprendre que oui, trois semaines après sa naissance, elle était atteinte de cette maladie génétique rare. Comment est-ce qu'on va faire, quelles sont les perspectives ?

JULIE COUSTILLAS

De suite, moi je me suis demandée : voilà, qu'est-ce qui nous attend ? Rien que dans la première année de vie, à quoi on doit s'attendre ?

CHRISTOPHE COUSTILLAS

C'est une organisation de vie, et c'est un fonctionnement. Une fois qu'on y est, ça se passe plutôt bien.

JULIE COUSTILLAS

C'est beaucoup de contraintes, mais une fois que ces contraintes sont incluses dans l'organisation quotidienne, ça nous paraît facile.

CHRISTOPHE COUSTILLAS

Son quotidien devient le nôtre en fait.

PATRICIA MANDON

La recherche progresse vite, cet été le CRCM de Bordeaux va coordonner nationalement des essais de trithérapie sur 50 patients.

VINCENT DUBROCA

Pour compléter ce dossier, j'accueille sur ce plateau, le docteur Stéphanie BUI. Merci d'être avec nous. Bonjour.

DOCTEUR STEPHANIE BUI, PNEUMO-PEDIATRE HOPITAL DES ENFANTS- BORDEAUX

Bonjour.

VINCENT DUBROCA

Vous êtes responsable du Centre de ressources de compétences de la mucoviscidose de Bordeaux, où nous étions pour ce reportage. Bordeaux, dans un instant où l'on parlera des progrès de la recherche, qui viennent de connaître un sérieux coup de frein, on en parlera dans un instant. Un mot d'abord sur cette maladie génétique, pourquoi touche-t-elle de plus en plus d'Aquitains ?

DOCTEUR STEPHANIE BUI

Alors, c'est une maladie, donc, qui est dépistée à la naissance, avec une prise en charge qui s'est organisée, et des enfants qui passent de plus en plus à l'âge adulte et donc il y a de plus en plus aussi d'adultes, et régulièrement, donc nous avons des diagnostics au moins une fois par mois pour les bébés en Aquitaine.

VINCENT DUBROCA

Alors, c'est une maladie qui est transmise par les deux parents, qui sont souvent porteurs sains, sans le savoir, jusqu'à la naissance de leur enfant, pourquoi ne peut-on pas diagnostiquer cela avant la naissance ?

DOCTEUR STEPHANIE BUI

Alors, on le peut, on le peut, une fois qu'on a le diagnostic de l'enfant, on peut proposer aux parents un dépistage anténatal, en regardant s'ils sont porteurs sains, et donc avec un diagnostic très tôt, en tout début de grossesse.

VINCENT DUBROCA

Mais ça ne se fait pas systématiquement, c'est ça en fait.

DOCTEUR STEPHANIE BUI

Non, malheureusement non.

VINCENT DUBROCA

Et ce mode de dépistage peut évoluer peut-être ?

DOCTEUR STEPHANIE BUI

Ce serait possible, ce serait possible de le proposer lors des suivi de grossesse, c'est un tout petit peu plus compliqué, on passerait à côté de diagnostics, notamment pour les jeunes enfants.

VINCENT DUBROCA

Alors, on le disait, Bordeaux est un centre de référence internationale pour la recherche, un centre de recherche qui vient d'apprendre une mauvaise nouvelle, expliquez-nous.

DOCTEUR STEPHANIE BUI

Donc, au niveau donc du médicament dont bénéficie Quentin, dans le dans le reportage, c'est un médicament, donc, qui a l'autorisation de mise sur le marché, mais pour l'instant les négociations de prix ont un petit peu échoué, et donc ce médicament n'est pas remboursé. On l'attendait pour les petits de 6 à 12 ans, et le corollaire de ça, c'est que le laboratoire qui distribue ce

médicament, a arrêté les essais et le développement de la recherche en France.

VINCENT DUBROCA

Donc là vous avez perdu tout le potentiel de recherche sur ce médicament.

DOCTEUR STEPHANIE BUI

Sur ce médicament et surtout sur les autres générations à venir.

VINCENT DUBROCA

Alors que c'est un médicament qui peut soigner ces patients, on est...

DOCTEUR STEPHANIE BUI

Mais comme on le dit dans le reportage, pour le jeune garçon, ça les aide, ça ne les guérit pas totalement actuellement, mais c'est quelque chose, c'est une avancée thérapeutique qui permet de faire reculer la maladie.

VINCENT DUBROCA

D'accord. Et vous espérez quelle évolution pour ce dossier, ce médicament qui est autorisé à être commercialisé mais qui est bloqué par le bas par le laboratoire ?

DOCTEUR STEPHANIE BUI

Alors deux choses. Il faut d'abord reprendre bien sûr ces négociations, c'est important en effet de négocier le coût de la santé, ça je pense que cela va se faire, mais surtout aussi ne pas empêcher la France de pouvoir participer au développement de toutes ces nouvelles thérapeutiques, qui sont fondamentales et porteuses de beaucoup d'espoir pour les patients et leurs familles.

VINCENT DUBROCA

Et c'est un coup d'arrêt pour combien de chercheurs sur Bordeaux, là, au centre ?

DOCTEUR STEPHANIE BUI

Eh bien c'est surtout, donc on devait coordonner au niveau national, c'est un coup d'arrêt pour tous les CRCM, c'est-à-dire que pour tous les patients français.

VINCENT DUBROCA

Bon, eh bien merci docteur Stéphanie BUI. On suivra ce dossier, donc responsable de ce CRCM, le Centre de Ressources de Compétences de Mucoviscidose à Bordeaux, et je rappelle que tous les dossiers santé sont à retrouver sur le blog santé du site internet de France 3 Aquitaine. 12:12:02. FIN£