

MUCOVISCIDOSE : APRÈS LE FEU VERT DE LA HAS, LES PATIENTS ATTENDENT DÉSORMAIS L'ACCÈS À ALYFTREK® !

À la suite de l'avis favorable de la Haute Autorité de santé, Vaincre la Mucoviscidose appelle à une négociation rapide et à l'exploration de solutions innovantes pour permettre aux patients français d'accéder sans délai à ALYFTREK®, déjà disponible dans plus de 20 pays. La France qui avait su être le leader mondial de l'accès à KAFTRIO®, en mettant en place un cadre de prescription compassionnel, ne doit pas rester à la traîne.

Le 10 juin 2026, la Haute Autorité de santé (HAS) a rendu un avis favorable au remboursement d'ALYFTREK® dans la mucoviscidose, lui attribuant un Service Médical Rendu important et une ASMR V. Si elle considère qu'ALYFTREK® n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu par rapport à KAFTRIO®, traitement de référence actuel, elle reconnaît qu'il constitue une alternative thérapeutique utile appelée à rejoindre l'arsenal thérapeutique disponible en France.

L'enjeu n'est plus l'évaluation, mais l'accès

L'enjeu est aujourd'hui celui de l'accès effectif au traitement. Alors qu'ALYFTREK® est déjà disponible dans plus de 20 pays, les patients français ne doivent pas être durablement privés d'une option thérapeutique validée par les autorités sanitaires. Vaincre la Mucoviscidose estime qu'il serait incompréhensible que des considérations économiques ou administratives retardent de plusieurs mois l'accès à ce traitement.

« Les patients ne comprennent pas pourquoi plusieurs mois peuvent s'écouler entre une décision favorable des autorités sanitaires et l'accès réel à un traitement. Cela fait un an que l'agence européenne a délivré l'AMM de ALYFTREK®. Aujourd'hui, leur attente est simple : que les négociations de prix aboutissent rapidement afin que le traitement soit disponible pour ceux qui pourraient en bénéficier. » précise Audrey Chansard, présidente de Vaincre la Mucoviscidose.

Des patients dans l'impasse thérapeutique

Pour environ 200 patients, cette nouvelle thérapie pourrait être une solution concrète : ceux qui ont dû interrompre KAFTRIO® en raison d'effets indésirables, ainsi que ceux pour lesquels ce traitement s'avère insuffisamment efficace.

Faire de la mucoviscidose un laboratoire d'innovation

La mucoviscidose réunit des conditions rarement réunies dans le système de santé :

- une population de patients parfaitement identifiée grâce au diagnostic néonatal ;
- un suivi médical structuré au sein des CRCM ;
- un registre national de référence reconnu au niveau international ;
- une expertise clinique de premier plan ;
- une capacité unique de collecte et d'analyse des données en vie réelle.

Pour rappel, les données du Registre français de la mucoviscidose, appuyées sur des études financées par Vaincre la Mucoviscidose et conduites par les professeurs Burgel et Sermet, avaient permis la réévaluation de l'ASMR de KAFTRIO® de II à I, un fait sans précédent dans l'histoire de la HAS. Ces atouts offrent un cadre particulièrement sécurisé pour expérimenter des approches innovantes conciliant accès rapide à l'innovation et maîtrise des dépenses de santé.

Vaincre la Mucoviscidose invite ainsi les parties prenantes à étudier toutes les solutions susceptibles d'accélérer la conclusion d'un accord, notamment :

- les mécanismes de partage du risque ;
- les contrats fondés sur les résultats observés en vie réelle ;
- les dispositifs de suivi de l'efficacité, de la tolérance et de l'observance ;
- les clauses d'ajustement reposant sur les données du Registre français de la mucoviscidose ;
- toute autre modalité conventionnelle permettant de sécuriser la décision publique tout en garantissant un accès rapide aux patients.

« À travers l'Europe, nous constatons chaque jour les conséquences des différences de délais d'accès aux traitements. La France dispose pourtant d'atouts uniques, avec un registre national de référence, des centres experts et une population parfaitement suivie. ALYFTREK® pourrait être l'occasion de démontrer qu'accès rapide, évaluation en vie réelle et soutenabilité financière peuvent avancer ensemble au bénéfice des patients. » souligne Thierry Nouvel, directeur général de Vaincre la Mucoviscidose et président de CF Europe.

Vaincre la Mucoviscidose appelle le Comité économique des produits de santé (CEPS) et Vertex Pharmaceuticals à engager sans délai les discussions nécessaires afin qu'un accord soit trouvé rapidement. L'association se tient à leur disposition pour faciliter cette étape cruciale pour les patients français.

A PROPOS DE VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE :

Vaincre la Mucoviscidose, créée en 1965, accompagne les patients et leurs familles face à la maladie. L'association agit autour de quatre missions : guérir, soigner, améliorer la qualité de vie et sensibiliser. Reconnue d'utilité publique, elle milite pour les droits des malades et finance la recherche pour de nouveaux traitements. Soutenez-nous sur vaincrelamuco.org.

Contact presse :

Elodie AUDONNET

eaudonnet@vaincrelamuco.org

06 83 18 00 28



**VAINCRE
LA MUCOVISCIDOSE**