

## 14ème législature

<b>Question N° :</b> <b>42411</b>	De <b>M. Gérald Darmanin</b> ( Union pour un Mouvement Populaire - Nord )	<b>Question écrite</b>
<b>Ministère interrogé</b> > Affaires sociales et santé		<b>Ministère attributaire</b> > Affaires sociales
<b>Rubrique</b> > santé	<b>Tête d'analyse</b> > hépatite C	<b>Analyse</b> > traitement. mise à disposition.
Question publiée au JO le : <b>12/11/2013</b> Réponse publiée au JO le : <b>26/08/2014</b> page : <b>7150</b> Date de changement d'attribution : <b>03/04/2014</b> Date de renouvellement : <b>11/03/2014</b> Date de renouvellement : <b>11/03/2014</b>		

### Texte de la question

M. Gérald Darmanin attire l'attention de Mme la ministre des affaires sociales et de la santé sur le fait qu'un nouveau médicament contre le virus de l'hépatite C, le sofosbuvir, est actuellement en cours de développement par une compagnie pharmaceutique. Ce traitement semblerait être composé de l'une des molécules les plus avancées permettant un taux élevé de guérison de l'hépatite C, cause majeure du cancer du foie et de la cirrhose aujourd'hui en France. En vertu du dispositif d'autorisations temporaires d'utilisations qui permet de délivrer un accès précoce aux médicaments avant leur autorisation sur le marché lorsque l'état de certaines personnes présente une urgence, l'Agence nationale de sécurité du médicament a accordé des autorisations nominatives du sofosbuvir à des personnes transplantées, en attente de transplantation et à des personnes cirrhotiques en impasse thérapeutique. C'est pourquoi les groupes interassociatifs de traitements et de recherche thérapeutique aimeraient connaître les avancées de la compagnie sur la mise en place sur le marché du médicament. Il souhaiterait également savoir si l'Agence nationale de sécurité du médicament va autoriser définitivement la mise en vente du traitement sur le marché.

### Texte de la réponse

De nombreux antiviraux sont actuellement en cours de développement clinique, et représentent une perspective d'avancée thérapeutique majeure pour le traitement de l'infection chronique due au virus de l'hépatite C (VHC). Parmi ces antiviraux, le sofosbuvir, développé par le laboratoire Gilead, a été mis à disposition des patients en France (dans un schéma d'association à la ribavirine +/- interféron pégylé) depuis novembre 2012, dans le cadre d'autorisations temporaires d'utilisation (ATU) nominatives délivrées par l'agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM). Cette nouvelle option thérapeutique ouvre surtout des perspectives de schémas de prise en charge sans interféron, ce dernier étant associé à des effets indésirables importants à type de dépression potentiellement sévères, d'atteintes hématologiques et de fatigue majeure pouvant significativement altérer la qualité de vie des patients. L'ANSM a considéré qu'un accès précoce, dans le cadre d'une ATU nominative du sofosbuvir se justifiait dans les situations de pré-transplantation, de post-transplantation et chez les patients cirrhotiques en impasse thérapeutique. Ainsi, entre novembre 2012 et jusqu'à la mise en place d'ATU de cohorte en octobre 2013, plus d'une centaine d'ATU nominatives ont été octroyées par l'ANSM : environ 40 en post-transplantation, 20 en pré-transplantation et 50 chez des patients cirrhotiques en impasse thérapeutique. Depuis la mi-octobre 2013, le sofosbuvir est également disponible pour les patients français dans le cadre d'une ATU de

cohorte, dans le traitement d'adultes atteints d'infection au virus de l'hépatique C (VHC) chronique qui sont sur liste d'attente pour une transplantation hépatique et nécessitent un traitement pour éviter une ré-infection par le VHC, ou qui ont subi une transplantation hépatique et présentent une récurrence de l'infection par le VHC, agressive, se traduisant par une aggravation de l'atteinte hépatique, avec une espérance de vie inférieure à 12 mois en l'absence de traitement. Il s'agit d'une autorisation d'utilisation délivrée, à titre exceptionnel, par le directeur général de l'ANSM pour des médicaments destinés à traiter des maladies graves ou rares, lorsqu'il n'existe pas de traitement approprié et que l'efficacité et la sécurité de ces médicaments sont fortement présumées, au vu des résultats d'essais thérapeutiques auxquels il a été procédé en vue d'une demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM). Une demande d'AMM européenne a par ailleurs été déposée pour le sofosbuvir (SOVALDI) fin avril 2013 par le laboratoire Gilead auprès de l'agence européenne du médicament (EMA) en application de la procédure centralisée d'AMM, dans l'indication « en association avec d'autres médicaments, pour le traitement de l'hépatite C chronique (HCC) chez les adultes », laquelle n'impose pas des schémas fixes d'association thérapeutique, afin d'éviter de mettre les prescripteurs en situation « hors AMM », au regard des données évolutives d'études cliniques d'association d'antiviraux. Ce dossier a été évalué selon une procédure accélérée dans la mesure où le sofosbuvir, au regard de ses caractéristiques (notamment premier représentant d'une nouvelle classe thérapeutique, bonne tolérance globale), représente une avancée thérapeutique. L'AMM a été accordée en janvier 2014 ; la commission de la transparence de la haute autorité de santé (HAS) a rendu son avis et la négociation du prix entre le laboratoire et le comité économique des produits de santé va s'engager. A cet égard, la France, compte tenu du prix particulièrement élevé du traitement, est à l'origine d'une initiative européenne commune à 14 Etats membres et à la commission européenne, pour favoriser un juste compromis entre l'accès aux soins de l'hépatite C et la rémunération de l'industrie pharmaceutique. Cette préoccupation a été relayée par le collège de la HAS, dans une recommandation rendue publique le 1er juillet dernier : « Le collège de la HAS s'inquiète du niveau de prix qui pourrait être attribué à ces traitements et s'interroge sur la justification et la construction du prix revendiqué par l'industriel alors même que persistent de nombreuses incertitudes à ce stade sur l'efficacité à long terme et l'efficience de ces traitements. Le collège de la HAS redoute l'impact budgétaire majeur de ces produits et les risques de renoncement à la prise en charge par la solidarité nationale d'autres traitements que cela induirait ».