



17ème législature

Question N° : 1917	De M. Bérenger Cernon (La France insoumise - Nouveau Front Populaire - Essonne)	Question écrite
Ministère interrogé > Santé et accès aux soins		Ministère attributaire > Santé et accès aux soins
Rubrique >maladies	Tête d'analyse >SLA : pour un accès urgent à Qalsody	Analyse > SLA : pour un accès urgent à Qalsody.
Question publiée au JO le : 12/11/2024		

Texte de la question

M. Bérenger Cernon alerte Mme la ministre de la santé et de l'accès aux soins sur le refus d'accès précoce au traitement Qalsody pour les personnes atteintes de sclérose latérale amyotrophique (SLA) liée à une mutation du gène SOD1. Cette décision de la Haute Autorité de santé (HAS), rendue le 10 octobre 2024, prive ces malades de leur unique espoir dans la lutte contre cette maladie dévastatrice. La SLA SOD1 est un fléau rare, touchant 30 à 40 personnes par an en France, qui ne laisse que 2 à 5 années d'espérance de vie aux patients diagnostiqués. Qalsody, ou Tofersen, est le seul traitement existant qui cible directement la cause génétique de cette forme de SLA. Alors que d'autres pays (comme l'Allemagne, l'Italie et les États-Unis d'Amérique) autorisent et remboursent ce traitement, la France vient de refuser à la fois son remboursement et l'accès précoce pour les nouveaux patients. Ce refus suscite l'incompréhension : l'Agence européenne des médicaments (EMA) a autorisé la mise sur le marché en février 2024 et en France, les retours des patients traités sont encourageants. Un accès au Qalsody, autorisé par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) depuis février 2022, montre des effets favorables : stabilité des fonctions respiratoires, nutritionnelles et motrices sans effets indésirables majeurs. La revue *New England Journal of Medicine* a également publié des résultats qui attestent des bénéfices biologiques du traitement, notamment la réduction des taux de protéines SOD1 et des neurofilaments dans le sang, marqueur crucial du pronostic de la SLA. Pourquoi ignorer des résultats aussi prometteurs ? Ce refus semble d'autant plus injuste que cette décision repose sur des critères inadaptés, appliqués de manière identique pour les maladies rares et les maladies plus fréquentes, sans prendre en compte les contraintes spécifiques à la recherche sur la SLA. Il est inacceptable que des patients français soient contraints de franchir des frontières pour accéder à un traitement. Cette décision envoie également un signal désastreux aux chercheurs et aux entreprises qui investissent dans les maladies rares, risquant de décourager l'innovation. La France, pays pionnier dans le domaine des pathologies rares, s'apprête ainsi à abandonner son rôle de chef de file. Les malades de SLA et leurs familles méritent mieux que de voir leur pays renoncer à une innovation cruciale. L'espoir est là et c'est à Mme la ministre d'agir pour qu'ils puissent se saisir de cette chance. Il lui demande donc d'intervenir pour infléchir cette décision.