



## 17ème législature

<b>Question N° :</b> <b>2140</b>	De <b>M. Stéphane Viry</b> ( Libertés, Indépendants, Outre-mer et Territoires - Vosges )	<b>Question écrite</b>
<b>Ministère interrogé</b> > Santé et accès aux soins		<b>Ministère attributaire</b> > Santé et accès aux soins
<b>Rubrique</b> > pharmacie et médicaments	<b>Tête d'analyse</b> > Accès au traitement Qalsody : une urgence pour les patients atteints de la SLA	<b>Analyse</b> > Accès au traitement Qalsody : une urgence pour les patients atteints de la SLA.
Question publiée au JO le : <b>19/11/2024</b> Date de changement d'attribution : <b>24/12/2024</b>		

### Texte de la question

M. Stéphane Viry alerte Mme la ministre de la santé et de l'accès aux soins sur l'accès au traitement Qalsody pour les personnes atteintes de sclérose latérale amyotrophique (SLA), dite maladie de Charcot. Il rappelle que ce n'est pas la première fois qu'il alerte sur cette situation critique, insistant sur le fait que « le temps de l'administratif n'est pas celui du malade ». Cette urgence a été réitérée lors de l'audition récente de Mme Catherine Paugam-Burtz, en sa qualité de directrice générale de l'ANSM, où il a de nouveau souligné l'importance d'une réponse rapide et adaptée. À ce jour, la France vient de refuser l'accès précoce à ce médicament, comme annoncé par la Haute Autorité de santé (HAS) le 10 octobre 2024, privant ainsi les patients de leur unique espoir de traitement. Qalsody, ou Tofersen, est le premier traitement ciblant directement la cause génétique de cette forme rare de SLA, une maladie qui ne laisse qu'une espérance de vie de deux à cinq ans après le diagnostic. Alors que l'Agence européenne des médicaments (EMA) a donné son autorisation de mise sur le marché en février 2024 et que ce traitement est disponible en Allemagne, en Italie et aux États-Unis d'Amérique, la France reste en retrait. La HAS justifie son refus par l'absence d'effets significatifs sur l'échelle d'évaluation fonctionnelle globale de la SLA dans l'étude pivot, malgré des résultats biologiques irréfutables, tels que la réduction du taux de la protéine SOD1 et des neurofilaments, qui sont des marqueurs pronostiques majeurs. Les données en vie réelle montrent une stabilisation des fonctions motrices, voire une régression de la maladie, un phénomène jamais observé dans la SLA jusqu'à présent. Comment expliquer aux patients français qu'ils ne pourront plus accéder à un traitement pourtant validé et accessible dans d'autres pays européens ? Pourquoi appliquer à une maladie aussi rare des critères d'évaluation inadaptés, sans tenir compte de la difficulté de recueillir des données suffisantes à cause de la faible prévalence de cette pathologie ? De plus, ce refus envoie un message inquiétant aux chercheurs, industriels et soignants impliqués dans le développement de traitements pour les maladies rares, compromettant l'avenir de l'innovation médicale en France. Il est inconcevable que des patients soient contraints de traverser les frontières ou de s'endetter pour accéder à une thérapie prometteuse, créant ainsi une inégalité inacceptable en matière de santé publique. M. le député invite Mme la ministre à intervenir sans délai pour infléchir cette décision. Il lui demande quelles mesures concrètes elle envisage de prendre pour garantir un accès équitable à cette innovation médicale pour les patients français et ainsi éviter de compromettre leur espoir de survie. Une intervention rapide de l'État est nécessaire. Le monde avance, mais la France recule. Il aimerait savoir quelle décision Mme la ministre envisage de prendre pour y remédier.