



Communiqué de presse
Paris, 12 novembre 2019

Accord en vue sur le prix d'Orkambi® 4 ans après l'AMM : entre soulagement et inquiétude !

Le Comité économique des produits de santé (CEPS) vient enfin de donner un avis favorable au prix proposé par le laboratoire Vertex pour le médicament Orkambi® qui avait obtenu une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) en Novembre 2015. **Il aura donc fallu 4 ans d'interminables négociations** et une forte pression exercée par Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Grégory Lemarchal depuis juillet 2019, tant auprès du laboratoire que du gouvernement, **pour qu'un accord puisse enfin être trouvé.**

Certes, plus de 1 000 patients français de 12 ans et plus ont bénéficié d'Orkambi® depuis octobre 2015, dans le cadre d'un dispositif d'autorisation temporaire d'utilisation. Mais, 750 enfants âgés de 2 à 11 ans en étaient exclus et étaient ainsi pris en otage pour des raisons strictement économiques, sans considération de leur état de santé pourtant affecté par une maladie mortelle. Il reste donc la signature d'un contrat entre les parties et la publication au Journal officiel pour la mise à disposition du médicament pour tous les patients concernés. **Tant que l'accord ne sera pas signé nous resterons extrêmement vigilants.**

La France est donc en passe de rejoindre, avec retard, la liste¹ des pays dans lesquels Orkambi® est accessible dès l'âge de 2 ans.

Aussi, « cette perspective d'accord est un soulagement pour nombre de patients et de familles » souligne Pierre Lemarchal, Président de l'association Grégory Lemarchal. Mais, « la lenteur des processus de décision est inacceptable ! », s'insurge Pierre Foucaud, Président de Vaincre la Mucoviscidose. « D'autres médicaments porteurs de grands espoirs pour plusieurs milliers de patients sont attendus. Je pense notamment à la trithérapie qui vient d'obtenir, dans des délais records, l'AMM aux États-Unis et pour laquelle un dossier vient d'être déposé à l'Agence Européenne du Médicament (EMA) ».

¹ Allemagne, Angleterre, Ecosse, République d'Irlande, Suède, Danemark, Israël, Autriche, Pays-Bas, Islande, Australie & États-Unis

Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Grégory Lemarchal vont continuer à se battre afin que de tels retards ne se reproduisent pas et pour qu'en France soit garanti l'accès rapide aux innovations thérapeutiques pour l'ensemble des patients qui le nécessitent.

La mucoviscidose est la plus répandue des maladies rares. C'est une maladie génétique grave qui touche principalement les voies respiratoires et le système digestif.

En France, elle représente :

- 7 500 patients recensés d'un âge moyen de 22 ans (seulement 11% sont âgés de plus de 40 ans)
- 900 d'entre eux respirent et vivent grâce à une greffe pulmonaire
- tous les 3 jours, un enfant naît avec la maladie
- 2 millions de personnes sont porteuses saines du gène défectueux
- L'âge médian de décès est de 33 ans
- 1 à 2 heures de soins quotidiens et 20 médicaments en moyenne par jour. Des soins multipliés dans des périodes de surinfection (2 à 5 heures de soins par jour, aérosols, kiné respiratoire, cure d'antibiotique etc., ainsi que plus de 30 médicaments à prendre au quotidien.

Les co-signataires sont :

* **Association Grégory Lemarchal** : créée en juin 2007, l'association a pour mission d'améliorer la qualité de vie des patients et de leur famille, leur prise en charge dans les hôpitaux, de financer la recherche, d'informer et de sensibiliser au don d'organes.

* **Vaincre la mucoviscidose** : créée en 1965, l'association accompagne les patients et les familles dans tous les aspects de leur vie. Ses 4 missions principales sont : la recherche, les soins, l'accompagnement des patients et des familles et l'information.

CONTACTS PRESSE

Vaincre la Mucoviscidose

Elise Sagnard

Attachée de presse

esagnard@vaincrelamuco.org

01 40 78 91 96 / 06 89 45 07 24

Association Grégory Lemarchal

Pierre Lemarchal

Président

pierre.agl@free.fr

06 60 29 31 76