

Paris, le 28/06/2021



Communiqué de presse :

**Après des mois d'attente, Olivier Véran annonce enfin un accord
sur le remboursement de Kaftrio® & Symkevi® :
les patients atteints de mucoviscidose n'ont plus à attendre !**

A l'occasion des 9es Entretiens de la mucoviscidose organisés par Vaincre la Mucoviscidose, le samedi 26 juin 2021, le ministre des Solidarités et de la Santé, Olivier Véran a annoncé qu'un accord entre le Comité économique des produits de santé (CEPS) et le laboratoire Vertex Pharmaceuticals avait été trouvé pour le remboursement de Symkevi® et de Kaftrio®.

Cet accord était très attendu par les associations de patients. Il signifie que dans les prochains jours, les malades éligibles pourront enfin en bénéficier. A terme, cela concerne 5 000 patients, soit près des ¾ des personnes atteintes de mucoviscidose.

Des traitements innovants qui révolutionnent la vie des patients

Ces deux médicaments visent à réparer la protéine CFTR, produit du gène muté, par une combinaison de correcteurs et activateurs de cette protéine. Kaftrio®, tout particulièrement, constitue une véritable révolution thérapeutique par son action spectaculaire et durable pour les patients éligibles (par leurs mutations génétiques), et un bon profil de tolérance, données appuyées par la Haute Autorité de Santé.

Au cours des mois écoulés, près de 500 patients ont pu en bénéficier du fait de la très grande sévérité de leur insuffisance respiratoire (accès compassionnel).

Tout au long de l'année, Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Grégory Lemarchal ont exercé une pression constante sur les pouvoirs publics et le laboratoire afin de permettre l'accès rapide à ces traitements révolutionnaires pour les patients.

Une pression au point de dénoncer publiquement cette situation inique si elle n'était pas résolue avant la fin du mois de juin. Une vaste opération de plaidoyer avait été préparée à cet effet.

Une pétition ayant regroupé 37 000 signatures en quelques jours

Les associations avaient lancé un appel au gouvernement et au laboratoire, il y a quelques jours, en lançant une pétition pour faire commercialiser le traitement Kaftrio® au plus vite en France. Cette action s'était accompagnée par la diffusion de nombreux témoignages vidéos de patients en attente de traitement.

Il aura donc fallu attendre plus de 900 jours et 300 jours à compter de l'autorisation de mise sur le marché (AMM) en Europe, respectivement pour Symkevi® et Kaftrio®, pour que ces médicaments

soient enfin accessibles en France, alors qu'ils l'étaient déjà dans une dizaine de pays européens (dont l'Allemagne, la Grande Bretagne, la Suisse et le Luxembourg).

Un véritable soulagement pour les associations : « Vivre avec la mucoviscidose va pouvoir s'inscrire dans la durée pour une majorité de patients »

« *Comment accepter d'attendre quand sa vie est en jeu, et que l'on voit un traitement potentiel dans une vitrine fermée à clé ?* » a déclaré Pierre Lemarchal, président de l'Association Grégory Lemarchal.

« *C'est avec un immense soulagement et une intense émotion que l'information a été reçue par la communauté des patients. Beaucoup de larmes ont coulé, car l'espoir de faire un jour de la mucoviscidose une maladie chronique stabilisée est fondé* » a réagit Pierre Foucaud, président de Vaincre la Mucoviscidose.

Les associations tiennent à remercier sans réserve la communauté scientifique pour ses efforts sans relâche, le laboratoire Vertex Pharmaceuticals et les autorités de santé françaises dans leur volonté de surmonter les obstacles pour le bien commun. Le remboursement de ces médicaments innovants constitue un beau marqueur de la solidarité nationale.

Le combat doit continuer pour les associations

Dès à présent, les associations se tournent résolument vers les malades qui n'ont pas la chance de pouvoir bénéficier d'une telle avancée thérapeutique. En premier lieu, à toutes celles et ceux qui nous ont quittés trop tôt. Mais aussi aux 15 % des personnes atteintes de mucoviscidose dont les mutations génétiques ne sont pas éligibles à ces deux médicaments ainsi qu'aux patients greffés pulmonaires.

C'est dans ces directions que les associations vont concentrer leur soutien financier à la recherche.

« **Notre détermination est sans faille pour que chaque patient puisse bénéficier d'un traitement efficace contre la mucoviscidose et un jour la guérir** » concluent les présidents des deux associations, Pierre Foucaud & Pierre Lemarchal.



Créée en 1965 par des parents de jeunes patients et des soignants, **Vaincre la Mucoviscidose** se consacre à l'accompagnement des malades et de leur famille dans chaque aspect de leur vie bouleversée par la maladie. L'association organise son action autour de quatre missions prioritaires : guérir, soigner, améliorer la qualité de vie, et informer et sensibiliser. Vaincre la Mucoviscidose est une association reconnue d'utilité publique, agréée par le Comité de la Charte du Don en Confiance et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie. Elle est le premier financeur associatif pour la recherche sur la mucoviscidose.

Grégory Lemarchal était un artiste accompli mais c'était aussi un jeune homme atteint d'un mal incurable, contre lequel il luttait sans jamais baisser les bras. **L'Association Grégory Lemarchal** a été créée en juin 2007 après son décès, à 24 ans. Sa famille a voulu une association à taille humaine, de proximité, basée sur sa connaissance intime et douloureuse de la maladie pour pouvoir répondre rapidement et efficacement aux besoins des familles, des hôpitaux et des chercheurs.



Contacts presse :

Vaincre la Mucoviscidose : Stéphanie Baz, sbaz@vaincrelamuco.org , 06.74.04.35.92
Association Gregory Lemarchal : Pierre Lemarchal, pierre.agl@free.fr , 06.60.29.31.76