

N°182
DÉCEMBRE
2024

Vaincre

LE MAG

L'INVITÉ

Pr Édouard Sage,
chef de service
de chirurgie pulmonaire
de l'hôpital Foch
à Suresnes

P. 04

RECHERCHE

Kaftrio : bilan des
effets secondaires

P. 30

DOSSIER

La transplantation
toujours d'actualité
dans la mucoviscidose

P. 10

VOTRE
MAGAZINE FAIT
PEAU NEUVE



SOMMAIRE

- 03 Édito
- 04 L'invité

06

ACTUALITÉS

- 06 Brèves
- 08 Retour sur... Zaho de Sagazan
- 09 Maîtriser les prix des médicaments



22

GÉNÉROSITÉS

- 22 Virades 2024, une édition sous les nuages
- 24 Les Green de l'espoir fêtent leur 30^e édition

25

COMMUNICATION

- 25 Un témoignage poignant sur la mucoviscidose

26

RECHERCHE

- 26 Recherche participative : de la théorie à l'action
- 28 L'essai clinique HIT-CF a débuté en Europe
- 29 Rassembler les forces
- 30 Kafrio : bilan des effets secondaires
- 32 Kafrio : retours sur quelques études internationales
- 34 Journée « Appel à projets 2024 : nouvelles équipes, nouveaux projets »
- 34 Appel à projets : un budget record

35

SOIGNER

- 35 Enzymes pancréatiques
- 37 Partenariat parent-patient/soignant, une approche innovante en éducation thérapeutique
- 38 Retour sur la conférence américaine de Boston
- 39 Mise à jour du PNDS
- 40 Mucoviscidose et cancers : état des lieux



41

QUALITÉ DE VIE

- 41 Pass souffle d'espoir et Pass Nouveau Départ 2024
- 42 La campagne APCAS 2025

43

VIE PRATIQUE

- 43 Animaux de compagnie et mucoviscidose

Vaincre magazine édité tous les trois mois par Vaincre la Mucoviscidose association reconnue d'utilité publique et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie | 181, rue de Tolbiac - 75013 Paris / Tél. : 01 40 78 91 91 | Directeur de la publication David Fiant | Directrice de la communication Élodie Audonnet - eaudonnet@vaincrelamuco.org / 01 40 78 91 75 | Rédacteur en chef Quentin Fuseau - qfuseau@vaincrelamuco.org | Ont participé à ce numéro Elodie Audonnet, Antoine Bessou, Paola De Carli, Sabine Duchatelet, Anne-Sophie Duflos, Rajah El Assad, Emmy Ernoult, Gautier Le Mouel, Marie Gaborit, Marianne Namysl, Romain Montariol, Anna Ronayette, Nathalie Senecal | Comité de lecture Élodie Audonnet, Thomas Graindorge, Jessica Maetz, Thierry Nouvel | Numéro de Commission paritaire 1225 H 84368 Numéro ISSN 1961-3210 | Création, réalisation et impression Agence CIMAYA. | Crédits photos ©Droits réservés, ©iStock, ©Freepik, ©A&F Créavision.

Vous avez des questions ?

Rendez-vous sur notre site www.vaincrelamuco.org ou écrivez-nous par mail à l'adresse suivante : mail@vaincrelamuco.org

Un sujet à proposer, des remarques ? Participez à la construction du magazine, dites-nous ce que vous aimeriez lire, sujets, etc... Envoyez nous un mail ! communication@vaincrelamuco.org

Déterminantes GREFFES !

David Fiant

Président de Vaincre la Mucoviscidose

Le dossier de ce numéro de notre magazine Vaincre porte sur la greffe. Un important sujet, indispensable, et devant être remis à la une. La diminution de 90 % du recours à la greffe pulmonaire depuis l'introduction de Kaftrio est sans aucun doute la statistique la plus spectaculaire liée au traitement. Mais, elle ne doit pas nous faire oublier plusieurs éléments. La greffe, en effet, est le seul traitement disponible en cas de dégradation majeure de la fonction pulmonaire. Elle a sauvé des milliers de vies et continuera à prolonger la vie des patients. Mais, n'oublions pas, la greffe n'est pas la guérison. Elle est une nouvelle forme de la maladie avec de nouveaux traitements (immunosuppresseurs, corticoïdes, etc.), et potentiellement de nouvelles contraintes et effets indésirables...

Qu'en est-il aujourd'hui ? Déjà près de 15 % ou plutôt près de 1 000 patients non greffés ne sont pas aujourd'hui éligibles aux modulateurs. Nous ne sommes pas tous égaux vis-à-vis de l'efficacité des modulateurs. Bien que la recherche soit active pour trouver de nouveaux traitements, lorsque la fonction respiratoire est trop sévèrement touchée, nous devons assurer aux patients mis sur liste la disponibilité d'un greffon le plus rapidement possible. Cet objectif est également valable en cas de besoin d'une nouvelle transplantation ou de défaillance du greffon pour ceux d'entre nous déjà greffés. Alors que le taux d'opposition aux prélèvements d'organes demeure trop élevé en France, l'association milite au côté du collectif Greffes+ et l'Agence nationale de biomédecine pour sensibiliser au don d'organes.

Ensuite, nous devons continuer d'agir pour garantir la bonne santé du greffon par la prévention et le traitement des rejets chroniques du greffon. Malgré l'amélioration de la réussite des transplantations et de son suivi, les risques sont toujours très élevés. L'association a toujours fait de la greffe un sujet prioritaire. Le consortium PLUTO financé pour trois ans, avec l'aide de l'Association Grégory Lemarchal, à hauteur d'1,5 million d'euros doit permettre d'améliorer la prévention du rejet chronique et ainsi le traiter le plus tôt possible. Il est nécessaire que les communautés médicale et scientifique continuent d'étudier cette voie qui ne fait pas l'objet de consensus à l'échelle internationale.

En parallèle des questions légitimes sur la mise sous modulateurs en étant greffé pulmonaire se posent pour améliorer d'autres fonctions impactées par la maladie. Comme pour chaque traitement la balance bénéfices/risques oriente la prescription. Il est nécessaire que les communautés médicale et scientifique continuent d'étudier cette voie qui ne fait pas l'objet de manière internationale de consensus.

Je vous souhaite une excellente lecture de ce dossier **passionnant et indispensable**.

La greffe, en effet, est le seul traitement disponible en cas de dégradation majeure de la fonction pulmonaire. Elle a sauvé des milliers de vies et continuera à prolonger la vie des patients.

MERCI

Avant de vous laisser lire avec attention notre magazine, je tiens au nom du Conseil d'administration à remercier les organisateurs de Virades et leurs bénévoles de nos 39^e Virades de l'espoir. Partout en France, j'ai de nouveau pu constater combien peut rayonner notre combat à travers vous. J'ai également une chaleureuse pensée aux viradeurs de l'ouest fortement pénalisés par la météo.





LES INNOVATIONS THÉRAPEUTIQUES RÉCENTES ONT REBATTU LES CARTES.

Pr Édouard Sage

chef de service de chirurgie thoracique et transplantation pulmonaire de l'hôpital Foch, à Suresnes

Avec l'arrivée des modulateurs, quel est l'avenir de la greffe pulmonaire dans la mucoviscidose ?

Il est certain que ces innovations thérapeutiques récentes ont rebattu les cartes pour un certain nombre de patients. Et de fait, le nombre de transplantations a drastiquement chuté après l'arrivée de ces traitements. En 2019, quarante-quatre personnes atteintes de mucoviscidose ont été greffées dans notre service contre cinq en 2023. À vrai dire, les projections pour la greffe dans cette maladie sont pour l'instant incertaines. Des patients, adolescents ou adultes, ont entamé les modulateurs après déjà plusieurs années de maladie, de dysfonction pulmonaire avec des dégâts irréversibles au niveau des bronches. Chez ces personnes, les modulateurs rétablissent la fonction respiratoire, mais ne réparent pas ces dégâts. À ce jour, on ne sait pas, pour ces patients, si les modulateurs empêcheront le recours à une greffe ou s'ils retarderont seulement celle-ci.

Et pour les patients traités très tôt par modulateur ?

Pour eux, la problématique est différente. Même s'ils restent malades, l'hypothèse d'une greffe s'éloigne dès lors que la fonction pulmonaire et l'organe lui-même sont préservés par des traitements initiés dès le début de la vie. Mon espoir en tant que chirurgien thoracique est que les enfants qui naissent aujourd'hui avec la mucoviscidose n'aient plus du tout besoin de nous.

Il est absolument certain que nous parviendrons dans l'avenir à transplanter des greffons qui seront tolérés bien plus longtemps qu'aujourd'hui.

Cependant, il ne faut pas oublier que ces traitements ne sont pas efficaces chez tous les malades et que la transplantation restera toujours une solution incontournable pour certains.

Ces cas devenant rares, les patients concernés ne vivront-ils pas davantage la greffe comme une injustice ?

En effet, le rapport à la greffe a changé depuis l'arrivée des modulateurs. Initialement considérée comme une solution ultime de survie à l'échelle de la population atteinte de mucoviscidose, elle devient exceptionnelle et réservée à des sujets ne répondant pas aux modulateurs. C'est notamment très difficile pour les individus qui ont été greffés juste avant l'arrivée des modulateurs. J'ai entendu dire « Si j'étais né six mois après, ça ne se serait pas passé comme ça. Si j'avais tenu six mois de plus, j'y aurais échappé... ».



Bien sûr, mais ces bouleversements s'appellent l'innovation et les prises en charge évoluent au rythme de ces innovations. On peut toujours se demander en cas de cancer ou d'accident : pourquoi moi ? Dans la vie, nous ne choisissons pas la période de notre naissance et il faut faire avec les moyens à notre disposition au moment où il faut agir.

À l'avenir, quel sera le profil des patients atteints de mucoviscidose ayant recours à la greffe ?

Si nous considérons l'hypothèse d'adultes atteints de mucoviscidose allant mieux aujourd'hui grâce aux modulateurs, mais qui pourraient avoir besoin d'une greffe dans vingt ou trente ans, nous verrions arriver dans les centres de transplantation une population de patients plus âgés. Ils seront finalement plus proches du profil des sujets transplantés dans d'autres indications pour une fibrose ou encore un emphysème, ils auront déjà franchi la soixantaine, voire plus. Nous avons l'habitude de prendre en charge ces patients, le geste reste le même. Toutefois, l'âge est le plus souvent associé à des fragilités et des maladies chroniques comme le diabète ou l'insuffisance rénale, ce qui ne facilite pas la récupération après une opération qui reste extrêmement lourde.

Cela dit, c'est une évolution favorable du point de vue du chirurgien. En effet, les greffons ont une durée de vie limitée en raison du risque de rejet persistant tout au long de la vie, de sorte qu'il est toujours plus opportun de greffer un senior qu'un jeune de vingt ans. Je rappelle que le taux de survie après la greffe est d'environ 70 % à cinq ans. Cela signifie que malheureusement, un certain nombre de patients décèdent dans les cinq premières années.

Si la greffe pulmonaire devient rare dans le domaine de la mucoviscidose, y a-t-il un risque de perte d'expérience pour les équipes de transplantation ?

Non, car l'expertise de la transplantation pulmonaire n'est pas propre à cette maladie et l'activité s'est maintenue à un niveau avant-modulateurs en raison d'un report des interventions en faveur d'autres indications. Nous avons simplement restructuré la filière. Alors que nous accueillions par le passé une majorité de patients jeunes atteints de mucoviscidose à l'hôpital Foch, nous opérons aujourd'hui davantage de patients plus âgés atteints d'autres maladies. Ainsi, nous avons effectué soixante-quinze greffes pulmonaires en 2023, dont seulement cinq dans le domaine de la mucoviscidose. Et les progrès se poursuivent dans ce domaine. Nous réhabitons de plus en plus de greffons grâce à un dispositif développé dans notre service, avec le soutien des associations, qui permet d'améliorer la fonction de l'organe avant son implantation.

Nous avons aussi considérablement amélioré la chirurgie et les suites opératoires, de sorte que nous sommes tombés à 5-6 % de mortalité hospitalière après l'intervention, ce qui est faible au regard du risque d'infection ou encore de défaillance d'organe. Enfin, nous poursuivons la lutte contre le rejet de greffe. Finalement, non seulement l'expertise ne se tarit pas, mais la survie des personnes transplantées ne cesse de s'améliorer.

Cette durée de vie limitée du greffon est-elle un problème insoluble ?

Non. Il est absolument certain que nous parviendrons dans l'avenir à transplanter des greffons qui seront tolérés bien plus longtemps qu'aujourd'hui. Je ne doute pas une seconde que nous disposerons un jour de traitements antirejets plus sophistiqués qui assureront la tolérance du greffon tout en maintenant un système immunitaire efficace contre les infections ou les processus cancéreux qui représentent aujourd'hui une menace importante pour les personnes transplantées. Mais, quand ? Des mois ? Des années ? Je serais bien imprudent de faire des projections ou des promesses.

La transplantation restera donc toujours une solution thérapeutique dans la mucoviscidose ?

Je le crois. Il y aura toujours des individus qui ne répondront pas aux modulateurs de CFTR ou dont l'état de santé se dégradera. Et ceux-là doivent savoir que les chercheurs et les cliniciens restent totalement mobilisés pour améliorer la transplantation à tous les échelons, depuis la santé du greffon transplanté jusqu'à la qualité de vie du patient après cet événement majeur. La transplantation reste une solution thérapeutique essentielle dans la mucoviscidose et les progrès en cours sont très prometteurs. —

FOCUS

LE SERVICE DE CHIRURGIE THORACIQUE ET TRANSPLANTATION PULMONAIRE DE L'HÔPITAL FOCH

Adossé à un CRCM, ce centre bénéficie d'une grande expérience dans le domaine de la mucoviscidose. Il est le plus important en France pour cette indication avec plusieurs dizaines de patients opérés chaque année jusqu'en 2020.



HOMMAGE

DISPARITION DU PROFESSEUR MICHEL GOOSSENS

Michel Goossens, ancien chef du service de biochimie et génétique de l'hôpital Henri Mondor à Créteil, fut le premier en France à développer des outils d'analyse du gène CFTR et à proposer le diagnostic génétique. Il est décédé le 4 août dernier à l'âge de 77 ans.

Michel Goossens a toujours été très investi dans la lutte contre la mucoviscidose. À l'époque des premières grandes identifications de mutations responsables de maladies monogéniques, il a contribué de façon remarquable à cet essor, avec son équipe. Il a lui-même joué un rôle déterminant pour fédérer des réseaux de laboratoires français qui ont pu apporter des expertises complémentaires en fonction de leur spécialisation. Il s'est particulièrement distingué dans le champ de la mucoviscidose, montant avec son équipe des outils d'analyse moléculaire très performants pour le diagnostic génétique de la mucoviscidose. Président durant les années 1990 du Conseil scientifique de Vaincre la Mucoviscidose, à une époque où l'association s'appelait encore l'Association Française de Lutte contre la Mucoviscidose (AFLM), il fut également très engagé dans la création des réseaux de génétique, présidant notamment pendant vingt ans l'association des Praticiens de Génétique Moléculaire. La structuration exemplaire de laboratoires français de référence travaillant dans le domaine de la mucoviscidose lui doit beaucoup. Elle a permis d'offrir aux patients et à leurs familles un diagnostic moléculaire qui est reconnu aujourd'hui au niveau international. Merci Michel ! Toutes nos pensées vont à son épouse, ses enfants et petits-enfants. —

EXPLOIT EN APNÉE POUR LA MUCO

En septembre dernier, Christophe Jobazé et son association Apnée Solid'Air ont réalisé l'exploit de plonger sept fois deux minutes en apnée dans le Lac d'Annecy pour sensibiliser sur la mucoviscidose et plus généralement sur les maladies rares.

« Le terme maladie rare me dérange, car cela n'a rien de rare », précise d'emblée Christophe Jobazé, ambassadeur de Vaincre la Mucoviscidose. Il y a, en effet, plus de 7 200 maladies rares, qui concernent 3 millions de personnes, soit 4,4 % de la population mondiale. Elles concernent, dans la moitié des cas, des enfants de moins de cinq ans et sont responsables de 10 % des décès entre un an et cinq ans : « De fait, je trouve le terme maladie orpheline plus adapté. »

En 2018, Christophe fonde Apnée Solid'Air pour réaliser avec son équipe des événements d'apnée statique, d'endurance ou sous-glace : « J'ai toujours aimé l'apnée, qui nécessite à la fois un vrai travail sur le souffle et une médiation intérieure. C'est un sport noble, sans artifice. » En 2019, Christophe se rapproche de Vaincre la Mucoviscidose pour donner de la visibilité au don d'organes. Actuellement, 36 % des familles refusent encore le don d'organes. Pour sensibiliser à la cause, l'association organise plusieurs événements en apnée en faveur de la lutte contre la mucoviscidose. En septembre, il a plongé sept fois deux minutes, avec sept secondes de reprise de souffle entre chaque plongée. « Le chiffre 7 est symbolique, il évoque le chromosome 7 porteur de la maladie. », explique Christophe. Apnée Solid'Air se mobilise aussi pour la myopathie FSH (facio-scapulo-humérale), des Enfants de la lune, des P'tites Étoiles, ainsi que du don d'organes en partenariat avec France ADOT74. —



→ Pour en savoir plus
<https://apneesolidair.org/>



LES JO DE MORPHO

Bruno Gouagout, alias Morpho, a exposé son travail pendant les Jeux Olympiques. Avec succès !

Bruno Gouagout, trente-neuf ans, patient muco et artiste plasticien sculpteur, crée des œuvres anamorphiques qui se transforment selon le point de vue où l'on se place. « *C'est l'art de la perspective secrète* », explique-t-il. Pour les Jeux Olympiques de Paris 2024, il a fabriqué plusieurs œuvres dont « Le Feu Sacré ». Il raconte sa démarche : « *Je suis parti pour réaliser cette œuvre sur la base de cette flamme olympique. Une flamme qui consume la maladie et qui me permet d'aller plus loin. L'art a toujours été un exutoire pour moi. Quand tu es longtemps hospitalisé, tu as seulement ton imagination pour t'évader. L'art et le sport m'ont sauvé la vie. La culture au sein des hôpitaux est vitale et non superflue.* » Bruno ne se laisse pas limiter par les matériaux utilisés. Il a même récemment utilisé du café. Tout l'été, il a eu la chance de se voir exposer au Club France à Paris, qui accueillait pendant les Jeux Olympiques entre 35 et 45 000 visiteurs par jour. « *Un objectif qui me tient à cœur est d'essayer de rendre mes œuvres accessibles à tous. Je suis en train de créer des petits formats à tirage multiple pour vendre mes œuvres à un tarif accessible au plus grand nombre* », conclut-il. —



→ Pour en savoir plus
<https://morpho-artiste.com/>



Les représentantes et représentants de l'association Lituanienne et de Vaincre la Mucoviscidose.

VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE APPORTE SON SOUTIEN À LA LETTONIE ET À L'UKRAINE

Dans le cadre d'un jumelage avec ces deux pays, Vaincre la Mucoviscidose s'efforce de renforcer les compétences de ces deux structures européennes, un geste qui souligne l'importance de la solidarité internationale dans la lutte contre la mucoviscidose.

Dans ce cadre, la délégation lettone est ainsi venue rendre visite à son homologue français lors des dernières Virades de l'espoir, en septembre. Cette rencontre, symbole d'engagement et de solidarité, a permis aux membres de la délégation d'observer les meilleures pratiques en matière d'animation et de formation des bénévoles. « *Notre mobilisation doit changer de nature et sans doute prendre une dimension européenne pour continuer à fédérer. Nous sommes déterminés à créer des synergies qui profiteront à tous les acteurs impliqués dans la lutte contre la mucoviscidose* » conclut Thierry Nouvel. —

ANTIBIOTHÉRAPIE VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE MOBILISÉE DANS LA LUTTE CONTRE L'ANTIBIORÉSISTANCE

En septembre dernier, l'association a été invitée à participer à un groupe de travail, coordonné par le laboratoire Pfizer, sur l'antibiothérapie.

Le 12 septembre dernier, le groupe de travail a fait des propositions concrètes pour lutter contre l'antibiorésistance. Face à cet enjeu, l'arsenal thérapeutique actuel semble trop limité et le nombre de nouveaux antibiotiques en cours de développement insuffisant. En effet, il est nécessaire d'ajouter aux antibiotiques matures, déjà commercialisés, de nouveaux antibiotiques innovants. Les propositions du groupe de travail se sont réparties selon trois axes complémentaires :

- Favoriser les pratiques de prévention, du contrôle des infections et de bon usage des antibiotiques ;
- Encourager et soutenir la recherche (compréhension des mécanismes impliqués dans la résistance aux antibiotiques, développement de nouvelles thérapeutiques, etc.) ;
- Repenser les modèles de financement de l'antibiothérapie. Il faut encourager le développement et la production de produits de santé de lutte contre l'antibiorésistance (vaccins, antibiotiques, tests diagnostiques, etc.) en créant des conditions économiques favorables.

À la suite de cette réunion, un document a été établi pour être transmis aux pouvoirs publics. —

RETOUR SUR...

Zaho de Sagazan



La chanteuse Zaho de Sagazan a rendu visite à des patients et des patientes dans un hôpital de Marseille, le 15 novembre dernier.

Une visite chaleureuse accueillie avec enthousiasme. Les semaines précédentes, tout le monde s'était passé le mot : « *Zaho sera là !* ». Et effectivement, elle est arrivée à l'heure, timide et souriante. Les patients et les patientes de l'hôpital la Timone, à Marseille, se sont pressés autour de la chanteuse.

Une prestation chaleureuse et touchante

Zaho, visiblement touchée par l'accueil, a pris le temps de discuter avec les patients avant de se prêter à un petit concert privé. Dans le hall, transformé pour l'occasion en un espace intimiste, la chanteuse a interprété plusieurs de ses titres phares, mais également des chansons spécialement choisies pour reconforter et encourager ces jeunes combattants. « *Elle a une énergie incroyable* », confie une infirmière présente. Pour les patients, cette parenthèse enchantée était une bouffée d'air frais, un instant où la maladie s'efface pour laisser place à la musique, à la joie et aux rires. « *C'était comme si on était ailleurs, loin de l'hôpital* », a déclaré une patiente, hospitalisée. Touchée par le combat de son cousin, qu'elle appelle affectueusement « *Man's* », parents d'enfants atteints de mucoviscidose, la chanteuse, pleinement consciente de la gravité de la maladie, a souhaité devenir marraine pour Vaincre la Mucoviscidose.

La solidarité et l'espoir en chanson

Au-delà de ses chansons, Zaho a aussi échangé avec les familles et le personnel soignant. Elle a écouté leurs témoignages, partagé des moments de complicité avec les enfants et exprimé son admiration pour leur courage face à la maladie. Lauréate de quatre Victoires de la Musique, la chanteuse incarne une figure de réussite et de persévérance, des qualités qui résonnent profondément auprès de ceux qui luttent contre la mucoviscidose au quotidien. Zaho a également visité le CRCM pédiatrique de la Timone. Mais la chanteuse ne s'est pas arrêtée là. Elle a invité une cinquantaine de patients et leurs familles à assister à son concert au Dôme de Marseille le soir même. Ce geste simple a apporté une vague de bonheur. Cette visite restera gravée dans les mémoires. Pour les patients, elle symbolise bien plus qu'un moment agréable : elle représente la solidarité et l'espoir. —



ASSOCIATION

Maîtriser les prix des médicaments



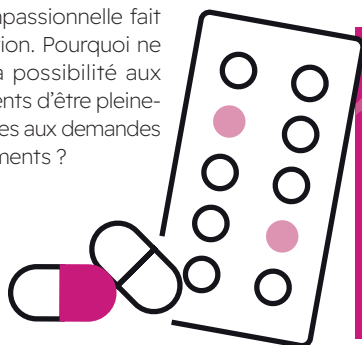
Quatorze associations, dont Vaincre la Mucoviscidose, alertent sur les difficultés d'accès aux produits de santé pour les patients, proposent des solutions concrètes aux décideurs publics et incitent à la mobilisation.

Une mobilisation pour garantir le droit à la santé pour tous

L'objectif de ce collectif composé d'associations de santé, de soignants, de patients et d'organisations impliquées dans la recherche et le développement de médicaments est de défendre un système de santé basé sur les besoins des patients et l'accès pérenne aux produits de santé. Forts de leur expertise sur les enjeux pharmaceutiques et nourris par le vécu des personnes malades, les auteurs et autrices de ce texte exposent un constat critique accompagné de propositions. Ils s'intéressent ainsi à tous les aspects des politiques du médicament : de la recherche fondamentale à la perte de contrôle démocratique sur l'utilisation des ressources publiques, en passant par la révision de la législation pharmaceutique européenne ou l'accès à l'innovation thérapeutique. Cette contribution se veut une ressource tant pour les responsables politiques et administratifs, que pour les médias, la société civile et les personnes malades.

Un combat payant par le passé

En 2023, la France est devenue le leader mondial de l'accès à la trithérapie de la protéine CFTR dans le traitement de la mucoviscidose. Au-delà de cette « success story » à la française qui a l'intérêt et l'admiration de la communauté internationale, la France, en donnant la possibilité à une association de patients agréée de solliciter la fixation d'un cadre de prescription compassionnelle, a ouvert une voie qu'il serait opportun d'élargir. En effet, les laboratoires ont le monopole des demandes d'autorisation de mise sur le marché et des demandes d'accès précoces ou directes. Le cadre de prescription compassionnelle fait ainsi figure d'exception. Pourquoi ne pas alors donner la possibilité aux associations de patients d'être pleinement parties prenantes aux demandes d'accès aux médicaments ?



Des nouveaux droits pour les patients

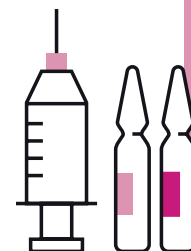
Plus de vingt ans après la loi de 2002 relative au droit des malades et à la qualité du système de santé, ne serait-il pas temps d'accorder une réelle place aux associations de patients pour tout ce qui concerne les procédures d'autorisation et de remboursement des médicaments ? Il s'agirait d'introduire de nouveaux droits : droit à l'initiative des procédures d'accès, droit d'accès aux dossiers des laboratoires, participation aux discussions concernant les procédures de remboursement, etc. En ouvrant ainsi ce chantier, la France pourrait prendre le leadership des droits des patients en matière de médicaments ! Convaincues de l'importance de ne pas laisser le débat et ces enjeux d'intérêt général exclusivement réduits à un dialogue entre l'État et les industriels du médicament, les associations enjoignent la société civile à se mobiliser. Il en va de la garantie du droit à la santé pour tous, passant par un égal accès aux soins. —

Les principales mesures demandées par les associations :

- Une transparence totale sur les prix réels des médicaments et une vigilance absolue contre toute augmentation tarifaire injustifiée ;
- Une transparence complète de l'information des professionnels de santé et des personnes malades sur la situation des pénuries ;
- Une responsabilisation des industriels afin de gérer la sécurisation de leur chaîne de fabrication ;
- L'instauration d'un stock de sécurité de médicaments plancher de quatre mois pour les médicaments à intérêt thérapeutique majeur.



→ Scannez le QR code pour consulter le document.



FOCUS

LES ASSOCIATIONS SIGNATAIRES

Action Santé Mondiale, AFM-Téléthon, AIDES, Association française des hémophiles, initiative Médicaments contre les Maladies Négligées - DNDi, France Assos Santé, Ligue contre le cancer, Médecins du Monde, Open Insulin France, Prescrire, Renaloo, UAEM, UFC-Que Choisir et Vaincre la Mucoviscidose.