



Communiqué de presse – Berne, le 15 janvier 2021

## **Trikafta disponible dès le 1.2.2021 : La Suisse est l'un des premiers pays à offrir un large accès aux personnes atteintes de mucoviscidose**

**Après Orkambi et Symdeco, le nouveau traitement contre la mucoviscidose Trikafta fait désormais lui aussi partie des médicaments admis dans la liste des spécialités (LS). La ténacité de l'organisation de patient-e-s CFCH pour défendre auprès de l'Office fédéral de la santé publique (OFSP) et du fabricant de Trikafta (Vertex) l'égalité d'accès aux principaux traitements de la mucoviscidose a porté ses fruits. Reto Weibel, président de la CFCH, confie : « Nous sommes très satisfait-e-s que la Confédération et le fabricant aient trouvé un terrain d'entente. Le nouveau médicament constitue une avancée considérable permettant à une majorité de personnes atteintes de la mucoviscidose de reprendre une vie normale et active. Toutefois, au moins 20 % des patient-e-s atteint-e-s de la mucoviscidose ne peuvent toujours pas bénéficier d'un traitement équivalent. »**

Bien que l'histoire de l'égalité d'accès aux traitements de la mucoviscidose de dernière génération se finisse bien pour les patient-e-s en Suisse, le chemin jusqu'à son heureux aboutissement fut long et laborieux. Il aura fallu quatre années de querelle entre l'OFSP et Vertex sur le remboursement d'Orkambi et de Symdeco, jusqu'à ce que soit enfin trouvé, ce printemps, un accord sur le prix que les caisses-maladie ou l'assurance-invalidité (AI) doivent rembourser. Jusqu'à présent, l'accès à ces médicaments n'était possible que dans le cadre d'une procédure de dérogation selon l'art. 71 de l'OAMal prévoyant que les caisses-maladie ou services cantonaux de l'AI peuvent décider au cas par cas. Les médicaments de la nouvelle génération contre la mucoviscidose luttent non seulement contre les symptômes de cette maladie congénitale du métabolisme, mais ils s'attaquent aussi aux causes et permettent ainsi de mieux vivre avec la maladie.

### **Une solution consensuelle, comme demandé par la CFCH**

Pour éviter que les négociations entre l'OFSP et Vertex n'échouent pour le Trikafta, la CFCH a demandé début 2020 aux partenaires de négociation de chercher une solution d'ensemble pour tous les médicaments en cours d'admission. L'idée de cette proposition était que soit ainsi trouvée une solution générale pour améliorer les chances de compromis lors des négociations tarifaires et pour faciliter la fixation d'un prix. Reto Weibel, président de la CFCH, précise : « Nous sommes heureux que les partenaires de négociation aient suivi notre proposition et aient ainsi ouvert la voie vers un meilleur traitement de toutes les personnes atteintes de la mucoviscidose. Il est désormais possible en Suisse de traiter les patient-e-s avec des médicaments innovants et d'intervenir considérablement sur l'évolution de cette grave maladie congénitale. Pour les 20 % de personnes atteintes de mucoviscidose qui ne peuvent pas être traitées avec ces médicaments, la recherche doit absolument avancer. Toutes les personnes atteintes de cette maladie devraient pouvoir bénéficier d'un traitement efficace. La CFCH finance et participe activement à des projets de recherche avec d'autres organisations européennes de mucoviscidose. »

### **Interlocuteur pour les questions des médias**

Reto Weibel, président

Téléphone 079 334 65 08, [reto.weibel@cfch.ch](mailto:reto.weibel@cfch.ch)

## Mucoviscidose : symptômes et traitement

**Imprévisible** : la mucoviscidose est la maladie métabolique génétique la plus fréquente en Europe. En Suisse, elle est diagnostiquée chaque année chez quelque 35 nouveau-nés. En 2016, 900 personnes souffraient de la maladie dans notre pays. Quelque 320 000 Suisses sont porteurs du gène responsable de la mucoviscidose, la plupart n'en sont pas conscient-e-s. L'espérance de vie moyenne d'un enfant naissant aujourd'hui en Europe avec la maladie est de 52 ans. La mucoviscidose a pour conséquence que l'échange de sel et d'eau dans les cellules du corps ne fonctionne pas correctement. De ce fait, l'organisme fabrique des sécrétions et des liquides qui sont soit trop concentrés, soit trop visqueux. Les poumons et le tube digestif sont les organes les plus touchés par ce phénomène, qui entraîne la formation dans les poumons d'un mucus visqueux provoquant toux, colonisation bactérienne et réactions inflammatoires. Les poumons subissent ainsi des dommages permanents et le volume respiratoire ne cesse de diminuer. La digestion est elle aussi altérée et l'organisme n'est plus capable d'ingérer certains aliments. Ces problèmes digestifs entraînent maux de ventre, diarrhées et une prise de poids réduite.

**Incurable** : la maladie reste à ce jour incurable. Un traitement intensif et quotidien doit accompagner dès sa naissance toute personne souffrant de mucoviscidose. Ce traitement se traduit par l'inhalation, plusieurs fois par jour, de médicaments et antibiotiques. La physiothérapie respiratoire et le sport contribuent aussi à expectorer le mucus. L'espoir de résultats plus probants réside dans de nouvelles formes de traitement, notamment la thérapie spécifique à la mutation qui s'attaque aux causes de la maladie. L'ultime mesure thérapeutique envisageable pour les personnes atteintes de mucoviscidose reste aujourd'hui la transplantation pulmonaire. Chaque année, entre 10 et 15 personnes atteintes de mucoviscidose, y compris des enfants et des adolescent-e-s, reçoivent un nouveau poumon. Comme en Suisse, peu de personnes portent sur elles leur carte de donneur, les patient-e-s souffrant de mucoviscidose sont nombreux/euses à attendre en vain un nouveau poumon.

**Invisible** : les longues heures de traitement nécessaires chaque jour influencent fortement la vie des personnes atteintes de mucoviscidose. Le fait que la maladie soit invisible de l'extérieur rend la situation encore plus difficile et il n'est pas rare que les patient-e-s se heurtent à l'incompréhension ou à des malentendus dans leur environnement personnel.

**Transmise involontairement** : la mucoviscidose est due à une erreur dans le matériel génétique transmis par les parents aux enfants. Les parents d'enfants atteints de mucoviscidose ne sont pas malades, mais uniquement porteurs d'un gène qui a muté et dans la plupart des cas, ils n'en sont pas conscients. Lorsqu'un enfant hérite du gène modifié de ses deux parents, les symptômes de la mucoviscidose apparaissent. La probabilité qu'un tel cas se produise est de 25 %.

### Le modèle d'hérédité

Des parents apparemment en bonne santé porteurs d'un gène défectueux de la mucoviscidose. On observe trois cas de figure possibles sur le plan héréditaire:

