



Communiqué de presse – Berne, mardi 26 avril 2022

Intervention couronnée de succès de MVS : le fabricant et l'Etat se sont accordés sur l'autorisation du Trikafta pour les enfants à partir de 6 ans

A partir du 1^{er} mai 2022, pratiquement tou-te-s les enfants souffrant de mucoviscidose âgé-e-s de 6 ans et plus bénéficieront du Trikafta en Suisse. Cela est possible grâce à un accord de remboursement novateur entre l'Office fédéral de la santé publique (OFSP) et l'entreprise pharmaceutique Vertex, fabricant de ce médicament révolutionnaire contre cette maladie congénitale du métabolisme. La limitation introduite lors de l'autorisation du Trikafta il y a plus d'un an pour des raisons de coûts mais médicalement controversée a été levée. Ainsi, plus rien ne s'oppose à un remboursement du Trikafta par l'assurance-invalidité (AI), le seul critère valable étant qu'une mutation F508del se présente en combinaison avec une autre mutation.

Au début de cette année, Swissmedic a élargi l'autorisation du Trikafta, accordée en décembre 2020 aux enfants à partir de 12 ans, aux enfants de 6 ans et plus. Depuis lors, la question se posait de savoir quand le médicament contre la mucoviscidose serait inscrit sur la liste des spécialités (LS) afin de pouvoir être remboursé par l'AI. Mucoviscidose Suisse (MVS), l'organisation de patient-e-s indépendante politiquement et financièrement qui représente les intérêts des quelque 1000 personnes atteintes de mucoviscidose, s'est adressée à l'OFSP et à Vertex en janvier. Dans une lettre, MVS a exhorté les deux partenaires de négociations à donner la priorité aux besoins des enfants et leurs familles et à trouver rapidement une solution afin de rendre accessible le traitement contre la mucoviscidose à toutes les personnes concernées sans attendre ni exclure personne, et à renoncer à la limitation introduite lors de l'autorisation il y a plus d'un an pour les enfants âgé-e-s entre 6 et 11 ans.

« Eviter que Trikafta ne puisse être utilisé qu'après lésion pulmonaire »

Reto Weibel, président de MVS, explique : « Nous nous réjouissons et sommes reconnaissant-e-s envers l'OFSP et Vertex, car nos demandes ont été prises au sérieux et ils ont travaillé ensemble de manière constructive dans l'intérêt de nos patient-e-s, les enfants. Comment une ou un médecin aurait-il pu communiquer à une famille qu'un médicament à l'efficacité prouvée ne peut être utilisé que si les poumons de son enfant sont endommagés, parce que la limitation actuellement en vigueur fait de l'atteinte pulmonaire une condition préalable au traitement ? Pour MVS, il ne serait pas éthique de devoir attendre que les poumons des enfants de moins de 12 ans soient atteints de manière permanente avant que Trikafta ne soit remboursé. On aurait ainsi exigé des enfants de vivre avec des lésions évitables et, en plus, on aurait accepté des coûts sociaux et médicaux élevés. Cela contredit la haute qualité de notre système sanitaire et social. »

Les années d'engagement de MVS en faveur de Trikafta portent ses fruits

En 2019, lors de la première procédure d'autorisation, qui fut longue et fastidieuse, MVS s'était déjà engagée en faveur des intérêts des personnes concernées auprès de l'OFSP et de Vertex ainsi qu'au niveau politique, en soutenant une large autorisation de Trikafta le plus rapidement possible. MVS a ainsi contribué à l'admission du médicament dans la liste des spécialités (SL) pour les enfants à partir de 12 ans au 1^{er} février 2021 et à son remboursement par les caisses-maladie et par l'AI



(https://mucoviscidosesuisse.ch/media/cabinet/2021/06/Trikafta_mucoviscidose_CFCH_communique_2021-01-15.pdf). Pour donner du poids à sa demande d'une autorisation élargie aux enfants à partir de 6 ans, MVS s'est à nouveau activée sur le plan politique et médiatique ces derniers mois.

Sur ce point, Reto Weibel, président de MVS, ajoute : « Le fait que ces dernières années, nous nous sommes développé-e-s et positionné-e-s par nos propres moyens et de manière ciblée en tant qu'organisation indépendante et crédible porte ses fruits. Nous avons pour objectif d'être reconnu-e-s comme une force constructive et crédible par les différents acteurs du secteur de la santé de l'industrie, des fournisseurs de prestations et des organismes payeurs. Nous visons, dans la mesure de nos possibilités, à renforcer la position de nos patient-e-s dans le domaine de la santé. En tant que patient-e-s, nous sommes trop souvent en marge au lieu d'être au centre des développements liés à l'économie de la santé et des décisions de politique de santé. Et ce, même si tous les acteurs du secteur de la santé clament que les patient-e-s sont la priorité ».

Le nouveau médicament Trikafta améliore considérablement la vie des personnes atteintes de mucoviscidose

Le nouveau médicament Trikafta répare (partiellement) le canal chlorure rétréci des personnes atteintes de mucoviscidose, s'attaquant ainsi au dysfonctionnement de base. Mais le défaut génétique n'est pas réparé. Le médicament ne guérit donc pas la mucoviscidose et doit être pris pendant toute la vie. Des études démontrent que des patient-e-s nécessitent moins d'hospitalisations et d'antibiotiques grâce au médicament. En outre, leur fonction pulmonaire s'améliore jusqu'à 14 % en moyenne. En bref : grâce au Trikafta, beaucoup de patient-e-s atteint-e-s de mucoviscidose constatent une amélioration considérable de leur état de santé et de leur qualité de vie.

On estime que les enfants atteint-e-s de mucoviscidose qui prennent le médicament dès 6 ans présentent, en plus d'une nette amélioration de la fonction pulmonaire, une quasi-absence de symptômes. A cela s'ajoutent les effets positifs sur le développement d'autres fonctions corporelles, qui présentent souvent des complications (poids corporel, troubles intestinaux, diabète et polypes nasaux). Cela diminue simultanément le besoin d'autres traitements (comme la physiothérapie, des inhalations, etc.) et donc les coûts qui en découlent.

Plus d'informations sur www.mucoviscidosesuisse.ch.

Contacts pour les médias :

Reto Weibel, président de MVS
079 334 65 08, reto.weibel@cystischefibroseschweiz.ch

A propos de Mucoviscidose Suisse : MVS est une organisation de patient-e-s indépendante politiquement et financièrement. Depuis 1966, elle poursuit sa mission de soutien et de conseil auprès de ses quelque 1500 membres et de leurs proches. Au cœur de ses objectifs se trouve l'aide à l'auto-assistance pour les 1000 personnes atteintes de la maladie héréditaire, dans leurs différentes phases de vie et situations.



Mucoviscidose, une maladie héréditaire : symptômes et traitement

Qu'est-ce que la mucoviscidose : la mucoviscidose est la maladie métabolique génétique la plus fréquente en Europe. En Suisse, elle est diagnostiquée chaque année chez quelque 35 nouveau-né-e-s. Fin 2021, 1028 personnes étaient atteintes de la maladie dans notre pays. Quelque 320 000 personnes en Suisse sont porteurs/euses du gène responsable de la mucoviscidose, la plupart sans le savoir. L'espérance de vie moyenne d'un-e 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.

Incurable : la maladie reste à ce jour incurable. Un traitement intensif et quotidien doit accompagner dès sa naissance toute personne atteinte de mucoviscidose. Ce traitement se traduit par l'inhalation, plusieurs fois par jour, de médicaments et d'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.

Le nouveau médicament Trikafta

Trikafta (connu sous le nom de Kaftrio dans d'autres pays européens) répare (partiellement) le canal chlorure CFTR, s'attaquant ainsi au dysfonctionnement de base. Mais le défaut génétique n'est pas réparé. Le médicament ne guérit donc pas la mucoviscidose et doit être pris pendant toute la vie. Des études démontrent que des patient-e-s nécessitent moins d'hospitalisations et d'antibiotiques grâce au médicament. En outre, leur fonction pulmonaire s'améliore jusqu'à 14 % en moyenne. En bref : grâce au Trikafta, beaucoup de patient-e-s atteint-e-s de mucoviscidose constatent une amélioration considérable de leur état de santé et de leur qualité de vie.

Transmise involontairement : la mucoviscidose est due à une erreur dans le matériel génétique transmise par les parents aux enfants. Les parents d'enfants atteint-e-s de mucoviscidose ne sont pas malades, mais uniquement porteurs d'un gène qui a muté et dans la plupart des cas, sans le savoir. Lorsqu'un-e 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 %.

Vous trouverez davantage d'informations sur la vie avec la mucoviscidose sur www.mucoviscidosesuisse.ch.