



Communiqué de presse – Berne, le 21 avril 2020

## **Joie et soulagement chez les patient-e-s atteint-e-s de mucoviscidose : ils/elles obtiennent enfin un accès équitable aux médicaments essentiels**

**Joie et soulagement chez les patient-e-s atteint-e-s de mucoviscidose en Suisse : au terme d'après négociations qui auront duré plus de trois ans, l'OFSP et la société Vertex ont enfin trouvé un terrain d'entente sur les prix des médicaments essentiels contre la mucoviscidose. Grâce à la solution globale proposée en février par la CFCH, le problème de la prise en charge des médicaments Orkambi (autorisé à partir de 2 ans), Symdeco (autorisé à partir de 12 ans) et Kalydeco sera réglé à partir de mai. L'accès équitable de la totalité des patient-e-s à ces médicaments sera ainsi assuré. La CFCH exige que Trikafta soit également remboursé juste après son autorisation par Swissmedic.**

L'OFSP et la société Vertex ont mis plus de trois ans à s'entendre sur le prix des médicaments Orkambi, Symdeco et Kalydeco. Au 1<sup>er</sup> mai, les médicaments seront enfin inscrits sur la liste des spécialités (LS) et remboursés de manière homogène pour toutes les patient-e-s par l'assurance de base et l'assurance-invalidité. Jusqu'à présent, la prise en charge n'était possible qu'au cas par cas ou uniquement avec l'accord de la caisse-maladie des patient-e-s atteint-e-s de mucoviscidose (dérogation selon l'art. 71 OAMal). La Confédération et le fabricant ont en effet longtemps été incapables de s'entendre sur un prix après l'autorisation de mise sur le marché par Swissmedic. Les médecins-conseils des caisses-maladie parviennent à des évaluations souvent très différentes des cas, ce qui explique que les patients ont souvent eu l'impression de participer à un tirage au sort.

### **Pour une autorisation rapide de Trikafta, notamment en raison du COVID-19**

Alors qu'un accès équitable à Orkambi, Symdeco et Kalydeco est enfin possible, les patient-e-s doivent encore patienter pour Trikafta. Trikafta est un médicament de dernière génération fabriqué par Vertex. Il a été autorisé en automne dernier aux Etats-Unis lors d'une procédure accélérée et est considéré comme une véritable percée dans le traitement de la mucoviscidose, maladie congénitale du métabolisme. En Suisse, Trikafta fait l'objet d'une demande d'autorisation par Swissmedic depuis le début de l'année. La durée de la procédure n'est pas claire, en particulier en raison de l'actuelle crise du coronavirus. La CFCH demande instamment que la fixation du prix de Trikafta s'inspire du succès de la solution globale mise en place pour les autres médicaments contre la mucoviscidose et que les parties et organismes impliqués adoptent la même approche pragmatique qu'au cours de ces derniers mois. On ne peut décemment pas demander aux patient-e-s d'attendre encore longtemps. Pour cette raison, la CFCH exige que Vertex distribue immédiatement le médicament Trikafta aux patients en Suisse qui ne peuvent pas encore être traités avec l'un des nouveaux médicaments approuvés. Cela améliorerait considérablement la situation de nombreux patients atteints de mucoviscidose en cas d'une éventuelle infection à Covid-19. Ce serait une démarche éthique de Vertex qui serait très appréciée par les patients atteints.

### **La ténacité de la CFCH face aux partenaires de négociation s'avère payante**

Reto Weibel, président de la CFCH, se réjouit au nom des patient-e-s et se dit soulagé que l'OFSP et Vertex aient enfin trouvé un compromis. « Notre ténacité face aux deux partenaires de négociation s'est avérée payante. Notre indépendance nous permet d'agir de toutes parts de manière crédible et constructive et de faire pression si nécessaire. Nous espérons à présent que l'autorisation de Trikafta interviendra rapidement. Les besoins sont plus que jamais criants en raison de la pandémie actuelle. Les patient-e-s atteint-e-s de mucoviscidose font partie d'un groupe ayant un risque accru de contracter le COVID-19. Swissmedic doit par conséquent accélérer les choses, car la situation exige une grande réactivité. De notre côté, nous nous engageons de toutes nos forces à faire respecter les intérêts des patient-e-s. »

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

Reto Weibel, président de la CFCH,  
Téléphone : 079 334 65 08, reto.weibel@cfch.ch

**A propos de la CFCH :** La Société Suisse pour la Mucoviscidose (CFCH, [www.cfch.ch/fr](http://www.cfch.ch/fr)) 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 des 1000 personnes atteintes de la maladie héréditaire en Suisse, dans leurs différentes phases de vie et situations.

## 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:

