



La Ministre

Paris, le **18 NOV. 2024**

Nos Réf. : Cab. SAS/GD/D-24-018146  
V/Réf. : Courrier du 28/10/24

Madame la Députée,

Par courrier en date du 28 octobre dernier, vous avez souhaité appeler l'attention de Monsieur le Président de la République à la suite de l'avis défavorable de la Haute Autorité de santé (HAS) publié le 10 octobre dernier dans le cadre d'une demande d'autorisation d'accès précoce (AAP) pour la spécialité QALSODY (Tofersen), traitement indiqué pour les personnes atteintes de sclérose latérale amyotrophique liée à une mutation dans le gène SOD1.

Monsieur le Président de la République a bien pris connaissance de votre demande et m'a chargée de vous répondre.

S'agissant des conditions d'accès de QALSODY (Tofersen), ce médicament bénéficie depuis décembre 2022 d'une autorisation d'accès compassionnel (AAC), dispositif dérogatoire qui permet un accès pour un patient donné, en situation d'impasse thérapeutique et ne pouvant attendre la mise en place d'un accès précoce dans un contexte d'études cliniques en cours et en amont d'une autorisation de mise sur le marché. Selon l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM), cet accès compassionnel a permis de traiter à date 55 patients.

Depuis, QALSODY (Tofersen) a obtenu une autorisation de mise sur le marché (AMM) européenne centralisée le 22 février 2024. Celle-ci a été octroyée sous circonstances exceptionnelles, considérant la balance bénéfice/risque comme positive mais prenant acte de l'impossibilité pour le laboratoire de fournir les données nécessaires étant donné la rareté de la maladie. Pour cette raison, le laboratoire a pour obligation post-AMM de fournir des données d'efficacité et de sécurité de long terme au travers de la soumission des résultats de l'étude d'extension d'ici le 30 septembre 2025.

Concernant l'examen de la demande d'autorisation d'accès précoce par la HAS, la Commission de la Transparence, commission spécialisée de la HAS en charge de l'évaluation médico-scientifique des médicaments, a prononcé à l'unanimité un avis défavorable considérant que les résultats de l'étude comparative versus placebo portés au dossier de demande ne démontraient pas une efficacité statistiquement significative sur le critère de jugement principal, à savoir la variation du score total d'échelle d'évaluation fonctionnelle de la SLA révisée ALSFRS-R après 28 semaines de traitement. La commission a par ailleurs noté qu'une dégradation de ce score a été observée chez l'ensemble des patients de l'étude même si elle était moindre dans le groupe traité par QALSODY (1,2 points, non significatif). Les résultats sur le critère principal n'étant pas significatifs, les résultats sur les critères secondaires dont la variation de la concentration plasmatique de neurofilaments, n'ont pas été pris en compte au regard de la doctrine de la HAS. La Haute autorité de santé a ainsi donné un refus d'autorisation d'accès précoce pour QALSODY dans l'attente des données complémentaires post-AMM.

Ayant pris connaissance avec attention de la demande de l'Association pour la Recherche sur la Sclérose Latérale Amyotrophique (ARSLA) ainsi que de votre courrier, et considérant le caractère grave et rare de cette maladie pour laquelle il n'existe pas à date de traitement approprié, les autorités sanitaires tiennent à ce qu'une solution puisse être apportée aux personnes actuellement pris en charge, bénéficiant ou non à date de ce médicament.

.../..

**Madame Sophie PANONACLE**  
Députée de la Gironde  
Assemblée nationale  
126, Rue de l'Université  
75007 PARIS

Après échange avec la HAS et l'ANSM, le ministère de la santé et de l'accès aux soins maintiendra donc l'accès à ce médicament au travers d'une autorisation d'accès compassionnel (AAC) pour les patients actuellement traités et selon les conditions de l'AMM ("Sclérose latérale amyotrophique avec mutation du gène SOD1, après avis d'une réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP) nationale de la filière FILSLAN"). Au vu de l'AMM octroyée dans cette indication et des rapports de synthèse portant sur 28 patients traités dans le cadre de l'AAC depuis 2022, les autorités sanitaires garantiront également la poursuite des initiations de traitement dans le cadre des AAC dans l'attente de données complémentaires qui seront fournis par le laboratoire d'ici le 30 septembre 2025.

Soyez assurée que je partage les enjeux de l'accès précoce aux thérapies innovantes pour répondre aux besoins en santé des patients notamment dans des situations d'impasse thérapeutique.

Je vous prie d'agréer, Madame la Députée, l'expression de ma considération distinguée.

*Anita*

Geneviève DARRIEUSSECQ

**Copies :**

- Christophe NAEGELEN, Député des Vosges
- Sandrine JOSSO, Députée de la Loire-Atlantique
- Anne-Cécile VIOLLAND, Députée de la Haute-Savoie
- Maud PÉTIT, Députée du Val-de-Marne
- Béatrice BELLAMY, Députée de la Vendée
- Constance Le GRIP, Députée des Hauts-de-Seine
- Philippe FAIT, Député du Pas-de-Calais
- Sandrine LE FEUR, Députée du Finistère
- Valérie BAZIN-MALGRAS, Députée de l'Aube
- Bertrand BOUYX, Député de la Charente-Maritime
- Mickael COSSON, Député des Côtes-d'Armor
- Bertrand SORRE, Député de la Manche
- Stella DUPONT, Députée de Maine-et-Loire
- Paul MOLHAC, Député du Morbihan
- Jean-François ROUSSET, Député de l'Aveyron
- Marc CHAVENT, Député de l'Ain
- Aurore BERGE, Députée des Yvelines
- Paul-André COLOMBANI, Député de la Corse-du-Sud
- **Didier LE GAC, Député du Finistère**
- David TAUPIAC, Député du Gers