



Le 19 octobre 2026

Association Française de l'Ataxie de Friedreich
33 rue de l'Hôpital
56890 SAINT-AVÉ

Madame Virginie BEAUMEUNIER, présidente
Comité économique des produits de santé

Madame Marina VASILIOU, présidente-directrice-générale
BIOGEN France

Madame Samira LEHAINE, présidente du Conseil de l'UNCAM
Union nationale des caisses d'assurance maladie

Madame Stéphanie RIST
Ministre de la Santé des Familles, de l'Autonomie et des Personnes handicapées

Copie au Directeur Général de la Santé, au Directeur de la Sécurité Sociale, Mission médicaments orphelins, direction d'Eurordis.

Objet : conditions de prix et de remboursement pour garantir l'accès au seul médicament ralentisseur d'une maladie évolutive rare et grave

Mesdames,

L'ataxie de Friedreich est une **maladie** rare, **grave**, multi-systèmes, **progressivement invalidante** privant les malades de leur autonomie au bout de quelques années. Au-delà de la prise en charge de certains symptômes, il n'existe **pas de traitement curatif** de la maladie. Cependant, il existe en France depuis 2024 **un médicament ralentisseur accessible en accès précoce**. Ce ralentisseur, l'omaveloxolone proposée sous le nom commercial de Skyclarys, fait actuellement l'objet de négociation de prix après avis de la Commission de la Transparence de la Haute Autorité de Santé en juillet 2026.

Au nom des malades, de leurs familles et de leurs aidants et soignants, nous, Association Française de l'Ataxie de Friedreich, demandons au Comité Économique des Produits de Santé et au laboratoire pharmaceutique Biogen, ainsi qu'à l'Union Nationale des Caisses d'Assurance Maladie et au Ministère de la Santé, de **garantir que les malades puissent y avoir accès** jusqu'à l'arrivée de potentiels nouveaux traitements, sans que le prix ou le remboursement l'en empêchent.

Il y a en effet un risque sur la négociation de prix et sur les conditions de remboursement, car la commission de la transparence a jugé d'une absence de progrès thérapeutique apporté par l'omaveloxolone (ASMR V), et un service médical rendu « faible ». **Sans entente de prix ou sans prise en charge à 100% pour un médicament innovant dans une maladie rare, les patients n'y auront pas accès**, ou y auront accès de manière inégalitaire, un risque associé étant la **fin de l'accès précoce**.

Ce traitement n'est certes pas suffisant, mais c'est pour l'instant **le seul qui puisse être prescrit** en France pour freiner la progression de la maladie de manière cliniquement significative. D'autres pistes de traitement sont en cours d'étude, dont certaines en essais cliniques aux Etats-Unis et en Australie, mais quand seront-elles disponibles **pour les malades dont la santé se détériore jour après jour** ? Un **essai pédiatrique (enfants de 2 à 16 ans) a débuté** sur l'omaveloxolone, notamment dans des hôpitaux français.

A l'heure actuelle en France, **un tiers des malades atteints par l'ataxie de Friedreich**, soit près de 500 personnes, **bénéficie de cet accès précoce**. Nous sommes très inquiets que ces personnes, s'ils elles n'y avaient plus accès, soient **condamnées à une progression « accélérée » de la maladie** – et se trouvent en quelques semaines privées de la capacité de communiquer avec leurs proches ou leurs soignants, ou voient leur emploi ou études supérieures menacés du fait d'accroissement des symptômes moteurs ou de la fatigue...

Nous demandons que le prix du médicament soit discuté dans cette perspective d'absence de solution alternative, en prenant en compte le devenir du tiers des malades français de l'ataxie de Friedreich prenant le Skyclarys en accès précoce.

Nous demandons au laboratoire Biogen de faire un réel effort pour que les malades puissent avoir accès au médicament.

Enfin nous demandons à l'UNCAM et au Ministère de prendre en compte la gravité de la maladie, ses coûts directs et indirects au fur et à mesure de sa progression, **pour considérer un taux de remboursement de 100%, du fait de la sévérité de la maladie et de besoin curatif non couvert actuellement** (par dérogation, inscription sur la liste des Médicaments Irremplaçable et Coûteux,...).

En souhaitant vivement que l'effort collectif puisse concrétiser pour nos malades et leurs proches, **une avancée réelle pour vaincre cette maladie**, nous vous remercions de l'attention que vous porterez à l'enjeu pour les malades actuels et futurs, et à la perspective globale sur la résolution de la maladie.

Nous nous tenons **disponibles pour tout complément aux arguments principaux exposés ci-dessous**. Avec nos salutations respectueuses.



Stéphane Rouillon, Président AFAF

– Annexe / Quelques éléments clefs

L'Association Française de l'Ataxie de Friedreich est une association à but non lucratif, dont l'objectif est de contribuer à trouver des traitements pour cette maladie, et par ailleurs informer, aider au quotidien les malades et leurs proches, et les représenter auprès des organismes de santé. Elle repose sur les dons de particuliers et d'entreprises mécènes, et est indépendante de l'industrie de santé (aucun financement de laboratoire) selon [notre charte avec les des industries de santé](#).

L'omaveloxolone est actuellement disponible dans différents pays européens dont l'Italie, Espagne, Grèce, Luxembourg, et République Tchèque, ainsi qu'au Canada et aux Etats-Unis, comme traitement désigné pour l'ataxie de Friedreich.

L'ataxie de Friedreich est une maladie génétique rare, dite "neurodégénérative" du fait d'une atteinte neurologique évolutive. Cependant, elle concerne toutes les cellules par manque de production d'une protéine indispensable au bon fonctionnement cellulaire, et touche plusieurs organes ou systèmes. L'atteinte progressive du système nerveux se traduit par des troubles évoluant graduellement jusqu'à l'incapacité : perte de la marche, atteintes de l'élocution et de la déglutition. Le cœur, pouvant être gravement touché, reste la principale cause de mortalité avant 40 ans. S'ajoutent de nombreux impacts dont la gravité varie suivant les malades - perte de l'audition, de la vision, diabète, scoliose, autres troubles squelettiques.... La plupart du temps déclarée dans l'enfance ou l'adolescence, la maladie évolue lentement, mais sans répit : elle entraîne pour les malades une perte croissante d'autonomie et une organisation de la vie du malade et de ses proches autour de la gestion de la maladie. En France, près de 1 500 personnes vivent avec l'ataxie de Friedreich.

La situation est sombre car il n'existe aujourd'hui pas de traitement curatif, et un seul traitement ralentisseur, l'omaveloxolone. Celui-ci a fait l'objet d'études cliniques depuis 2015 : étude MOXIe - partie1 (janvier 2015 - juin 2017) de "dosage", puis étude MOXIe de comparaison contre placebo (octobre 2017 - octobre 2019) sur plusieurs centres cliniques, complétées par MOXIe-extension qui a continué à suivre les patients prenant le traitement d'octobre 2018 à janvier 2025. Ces études ont permis l'aval des autorités de santé aux Etats Unis. Une autorisation européenne de mise sur le marché a été accordée en janvier 2024. En France un accès précoce est en place depuis novembre 2023, décidé par la Haute Autorité de Santé. **Utilisant des comparaisons avec les données des bases d'histoire naturelle de la maladie, ces études ont permis d'établir un gain de 1,55 point sur l'échelle mFARS, puis une différence finale de 2,4 points.**

Les maladies neurologiques sont en effet pour l'instant évaluées sur des échelles de dégradation, suivant différents axes cliniques, le score rendant compte de la sévérité de l'atteinte. L'échelle mFars comporte par exemple 4 domaines : bulbaire

(déglutition, élocution...), coordination des membres supérieurs, coordination des membres inférieurs et stabilité verticale.

Quelques points sur cette échelle sont cliniquement significatifs. Un point peut représenter la capacité de pouvoir parler de manière encore audible, ou pouvoir passer de son fauteuil aux toilettes seul sans aide humaine externe. Quelques points peuvent jouer sur l'autonomie, l'employabilité, la capacité de faire des études, le moindre besoin d'aidants pour les gestes du quotidien, et sur la dignité.

L'efficacité d'un médicament qui ralentit l'évolution de la maladie peut être jugée limitée, car il ne va pas démontrer un effet sur le nombre de décès, ou permettre de guérir, mais il **prolonge la vie en « meilleure santé »** des malades et peut être considéré comme une forme de prévention.

Nous trouvons dommageable pour les patients que lors de l'évaluation du Skylarys par la Commission de la Transparence, la discussion statistique ait pris le pas sur le bénéfice clinique tel que décrit par les médecins et constaté par les patients depuis 2 ans en France. L'évaluation a par exemple questionné le résultat global sur l'échelle, qui était le critère d'évaluation principal des essais cliniques, par une amélioration moindre sur un des domaines de l'échelle - le domaine bulbaire. Sur ce domaine, ce n'est pas un point, mais peut-être $\frac{1}{2}$ voire $\frac{1}{4}$ de point qui peuvent faire la différence, puisque nombre de patients rapportent un gain dans l'élocution.

C'est une des améliorations qui nous a également été rapportées lors d'une [enquête en vie réelle](#) menée par notre association, mise à disposition de la commission de la transparence : même s'il est difficile pour un patient d'auto évaluer si sa maladie progresse moins que sans prise de médicament, certains malades ou leurs proches ont cependant constaté des améliorations, sur la stabilité, sur l'élocution.

L'omaveloxolone n'est pas la molécule « miracle » résolvant tous les problèmes ; il n'est pas sans effets indésirables majoritairement transitoires, mais **c'est pour l'instant le seul traitement validé par l'EMA et la HAS pour l'Ataxie de Friedreich.** Il n'y a **pas d'alternative actuellement en France.** Cependant, **il en existera dans quelques années** car la recherche médicale est dense pour cette pathologie, soutenue par les associations. En France, l'AFAF explore des accélérateurs à la recherche ; nous encourageons les **projets testant les combinaisons de molécules**, et nous serions prêts à soutenir des essais cliniques portant sur des médicaments existants en combinaisons de nouvelles molécules, **contribuant à la réduction du coût global de traitement.**

De ce point de vue, un tel médicament est très important dans la **perspective collective d'émergence d'autres traitements**, résultante de l'effort partagé, porté par la recherche publique et les financements associatifs : l'efficacité de ceux-ci, et la

capacité de les évaluer sur des échelles testant notamment la marche, sera aussi renforcée si les malades sont préservés par un ralentisseur.

Un essai pédiatrique de l'omaveloxolone, BRAVE, a démarré en 2025. S'il conforte l'intérêt de prendre le Skyclarys dès l'enfance, et l'intérêt d'un maintien du traitement pour renforcer le frein sur l'évolution, est-ce que les enfants devront arrêter de prendre ce traitement car non accessible à partir de 18 ans?

Actuellement le Centre de Référence Maladies Rares neurogénétique est très mobilisé pour l'analyse des données de l'Accès Précoce français. Un article est en cours sur les 12-18 mois, et le projet OMAV RETRO, qui démarre, permettra via une collecte de données complémentaires une analyse approfondie de l'Accès Précoce avec un recul de 3 ans. Les premiers résultats pourraient être disponibles fin 2027.

En attendant des solutions thérapeutiques complémentaires voire meilleures, il nous semble nécessaire que les malades atteints de l'Ataxie de Friedreich puissent avoir accès au Skyclarys.