

LETTRE DE SOUTIEN A L'AFAF (Association Française contre l'Ataxie de Friedreich)

Paris, le 20/10/2026

Objet : Accès à l'omaveloxolone dans l'Ataxie de Friedreich

Les Centres de Référence Maladies Rares de Neurogénétique et des Maladies Rares du Système nerveux (coordonné par le Pr. Alexandra DURR), les Filières de santé maladies rares FILNEMUS (coordonnée par le Pr Shahram ATTARIAN) et BRAIN-TEAM (coordonnée par le Pr Christophe VERNY), souhaitent exprimer leur soutien à la démarche de l'Association Française de l'Ataxie de Friedreich visant à permettre la continuité d'accès à l'omaveloxolone pour les patients atteints d'ataxie de Friedreich.

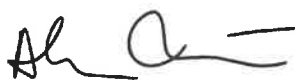
L'ataxie de Friedreich est une maladie rare, progressive, invalidante et multisystémique, pour laquelle les options thérapeutiques spécifiques restent aujourd'hui absentes. L'omaveloxolone constitue le premier traitement ayant obtenu une autorisation de mise sur le marché dans cette maladie avec pour objectif de ralentir son évolution.

Depuis novembre 2023, le dispositif français d'accès précoce a permis à 450 patients de bénéficier de ce traitement. Cette démarche a représenté une avancée importante dans une maladie caractérisée par un besoin médical majeur et une absence d'alternative thérapeutique spécifique.

Toutefois, compte tenu du niveau de service médical rendu qui lui a été attribué, son éventuelle prise en charge dans le cadre du droit commun relèverait du régime applicable aux médicaments à SMR faible, pour lesquels l'exonération du ticket modérateur au titre de l'ALD a été supprimée depuis le 1er octobre 2026. L'application d'un remboursement partiel apparaît difficilement compatible avec un accès effectif à un traitement de ce coût, dans une maladie rare, grave, progressive et sans alternative thérapeutique. Un reste à charge substantiel exposerait de fait à une impossibilité d'accès pour la grande majorité des patients et à des inégalités majeures de prise en charge.

Une interruption ou une restriction sévère de l'accès serait particulièrement préoccupante, alors que les données en cours de publication à 1 an de traitement en vie réelle sont congruentes avec les résultats de l'essai pivot Moxie2, et des éléments susceptibles d'éclairer l'évaluation du traitement sont attendus à court ou moyen terme. Des données complémentaires issues de l'utilisation de l'omaveloxolone en vie réelle en France sont actuellement recueillies et analysées. Elles permettront de mieux documenter son efficacité, sa tolérance et ses conditions d'utilisation. D'autres données sont également attendues, notamment celles issues de l'étude pédiatrique randomisée contre placebo BRAVE.

Dans ce contexte, il nous paraît essentiel que l'ensemble des acteurs, laboratoire et pouvoirs publics, contribuent à rechercher une solution permettant de préserver l'accès égalitaire au traitement. Nous souhaitons également que les nouvelles données scientifiques puissent, lorsqu'elles seront disponibles, être examinées par les autorités compétentes et, si elles le justifient, contribuer à une réévaluation du médicament par la Commission de la Transparence.



Professeur S. ATTARIAN
Coordonnateur de la Filière FILNEMUS



Liens d'intérêt : Il existe des collaborations scientifiques ainsi que des liens d'intérêt entre certains membres du Centre de Référence et le laboratoire BIOGEN. Ces liens sont distincts de la présente prise de position, qui repose sur des considérations d'accès aux soins, d'équité entre patients et de prise en compte des données scientifiques disponibles.