

PLAIDOYER

*Pour en finir avec une
mort annoncée !*

**LA MALADIE DE CHARCOT,
GRANDE CAUSE NATIONALE :**

4 axes, 12 propositions

Chaque jour, en France, quatre personnes décèdent de la SLA, et autant voient leur vie brisée à l'annonce du diagnostic.

Peu médiatisée et moins visible que d'autres pathologies, la SLA est néanmoins la plus fréquente des maladies rares. Plus connue sous le nom de maladie de Charcot, la sclérose latérale amyotrophique (SLA) est une maladie liée à une dégénérescence des neurones moteurs. C'est une maladie neurologique progressive et incurable.

La personne atteinte est rapidement en situation de polyhandicap avant d'arriver à une paralysie totale, ses muscles ne répondant plus. Il lui devient impossible de se nourrir, de respirer, de parler. L'enfermement est total, ce qui provoque une intense souffrance psychique. Son corps est une prison, seuls son cerveau et ses capacités intellectuelles restent intacts.

Tout le monde peut être touché par la SLA, hommes, femmes, jeunes, âgés. Il n'y a aucune prédisposition particulière.

En moyenne, à l'annonce du diagnostic, une personne malade ne survivra pas au-delà de trois à cinq ans.

À ce jour, il n'existe aucun traitement curatif pour guérir de la SLA. Les options thérapeutiques restent limitées et circonscrites à un traitement qui permet de retarder de quelques mois le décès, et à des médicaments dits de confort.

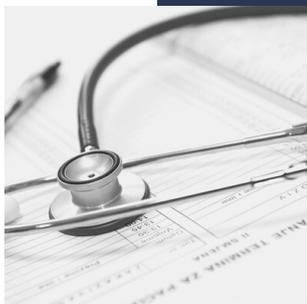
Axe no1 : Protéger le droit à la santé



Action n°1 : Développer les recherches sur l'étiologie de la maladie

Action n°2 : Soutenir financièrement le programme Pulse

Axe no2 : Favoriser le soin



Action n°3 : Pérenniser l'organisation de l'offre de soins des maladies rares et renforcer le financement des centres SLA et de la filière

Action n°4 : Renforcer la formation initiale et continue des professionnels de santé, des intervenants de soins et de tous les acteurs paramédicaux

Action n°5 : Assurer la coordination et la continuité des soins hôpital-ville pour les personnes atteintes de SLA

Action n°6 : augmenter de manière significative les offres de répit

Axe n°3 : Défendre les droits fondamentaux



Action n°7 : Donner aux personnes atteintes de SLA le libre choix de la sédation profonde, selon l'évaluation de ses propres souffrances et l'acceptation de ses limites quant à l'effraction de son corps

Action n°8 : Instaurer des droits universels de compensation au handicap, sans distinction d'âge

Action n°9 : Revaloriser le congé proche aidant, étendre sa durée et élargir les conditions d'attribution

Axe n°4 : Permettre à l'excellence française en matière de recherche de rayonner



Action n°10 : Doubler le financement de la recherche par les pouvoirs publics pour développer de nouvelles thérapies

Action n°11 : Développer les structures habilitées aux essais thérapeutiques de phase 1 pour la SLA

Action n°12 : Permettre un accès plus simple et large à l'usage compassionnel de médicaments et un accès simplifié des patients au traitement. Ouvrir des programmes d'accès précoce et d'autorisation conditionnelles de mise sur le marché soumises à une validation en condition de vie réelle.

La SLA : maladie sociale et enjeu de santé publique

Chaque jour, en France, quatre personnes décèdent de la SLA, et autant voient leur vie brisée à l'annonce du diagnostic. Peu médiatisée et moins visibles que d'autres pathologies, la SLA est néanmoins la plus fréquente des maladies rares. Entraînant un handicap sévère et une dépendance totale, le coût de sa prise en charge médicale reste extrêmement élevé. Son impact social et économique est considérable et largement sous-estimé.

-L'impact social de la SLA :

Les aptitudes des personnes atteintes de SLA aux activités physiques, sociales et professionnelles sont de plus en plus limitées et conduisent à un état d'enfermement, aggravé par l'impossibilité de communiquer. La SLA détériore la qualité de vie des personnes, lesquelles perdent leur emploi et se désocialisent. Afin de rester à domicile, les patients finissent par dépendre totalement de leur famille, les aidants proches, qui se retrouvent eux-mêmes entraînés dans une spirale sociale compliquée.

La SLA isole non seulement la personne malade mais également tout l'entourage proche.

-L'impact économique de la SLA :

Avant la prise en charge de la maladie elle-même, il faut considérer les coûts médicaux liés au retard du diagnostic (examens inutiles, interventions inadaptées, etc.). Également les coûts directs liés à la prise en charge des soins de la maladie diagnostiquée et de son évolution incluant médicaments, soins par des infirmiers et autres professionnels de santé. Un patient SLA aura besoin, tout au long de la maladie, d'assistance par des aides humaines (24 heures sur 24 dans les cas avancés), et il lui faudra faire appel à de nombreux matériels techniques.

En moyenne, plus de 10 matériels différents sont nécessaires, du plus simple, un bouton d'alerte pour appeler au secours, à des matériels technologiques onéreux, une commande oculaire, seule possibilité pour lui de communiquer avec son entourage lorsqu'il aura perdu tous les gestes et la parole, du matériel de transfert et un fauteuil roulant électrique avec des technologies embarquées. Toutes ces aides techniques ne sont pas des aides de confort, mais INDISPENSABLES pour la survie de la personne malade, notamment la commande oculaire qui représente son seul moyen de communication avec l'entourage.

En parallèle, il subira de nombreuses hospitalisations et des soins plus ou moins invasifs (mise en place de suppléances vitales respiratoires et nutritionnelles). Dans ce combat contre la maladie, la personne atteinte n'est pas seule à nécessiter un suivi et du soutien : les aidants familiaux représentent des coûts indirects en termes de perte de productivité par des arrêts de travail ponctuels ou définitifs, des épuisements physiques et psychologiques avec une réelle incidence sur leur état de santé.

En France, la SLA coûterait plus de 1,6 milliard d'euros par an en coûts directs et indirects.

Compte tenu de ces problématiques à portée économique, sanitaire, sociale et sociétale, il est important d'établir une stratégie qui a pour objectifs de renforcer la prise en charge holistique des personnes atteintes de la SLA, de sensibiliser le grand public, de former et d'informer des professionnels de santé et des aidants professionnels ou non, d'assurer de meilleurs soins et leurs suivis, d'améliorer la qualité de vie des personnes malades et, surtout, d'investir dans la recherche sur cette pathologie. Il s'agit d'une véritable course contre la montre.

Le portage d'une telle stratégie, en plus des acteurs directement concernés – comme les associations de patients qui sont la voix des malades –, doit être à dimension interministérielle : les ministères de la Recherche, de la Santé, de l'Économie. Sans oublier celui des Outre-mer, où, dans cette partie de la France, les patients ne bénéficient d'aucun parcours de soins et n'ont accès à aucune possibilité pour suivre des essais thérapeutiques.

« Après un examen de routine chez mon docteur, la dégringolade a commencé. D'une simple douleur à la jambe droite, on m'annonce une mort imminente due à une maladie dont je n'avais jamais entendu parler, la SLA. Je pense que, ce jour-là, je n'ai pas du tout compris ce qu'il m'arrivait. Hier, papa solo en charge d'un ado de 14 ans, je me retrouve aujourd'hui à moitié dépendant de mon fils, Baptiste, déjà projeté, malgré lui, malgré nous, dans une vie d'adulte. Ma vie s'est brisée le vendredi 23 avril 2021. Que deviendra Baptiste quand la SLA va m'engloutir définitivement ? Plus le choix, se battre contre l'inexorable, et espérer bénéficier d'un essai ou de tester un médicament, qui sait, peut-être le bon ? Je n'ai plus rien à perdre ! »

Mathieu, 42 ans, Poitiers.



VOUS ENGAGEZ-VOUS
À NOUS SOUTENIR
ET FAIRE DE LA SLA
UNE GRANDE CAUSE
NATIONALE ?

En 1958, le système de santé a connu un tournant qui a permis de faire revenir l'excellence médicale du soin et de la recherche à l'hôpital.

Aujourd'hui, dans tous les grands discours politiques, il est annoncé un changement de paradigme pour s'adapter aux évolutions de la science et de la société et aux nouvelles pathologies dues, notamment, au vieillissement de la population.

Les grands oubliés de ces nouvelles orientations politiques sont les personnes atteintes de SLA. Bien que la maladie ait été découverte il y a cent cinquante ans, il n'existe toujours pas de traitements curatifs et ses causes demeurent inconnues (causes environnementales, génétiques, etc.). De véritables questions de santé publique se profilent.

Action n°1 : Développer les recherches sur l'étiologie de la maladie

Il y a une priorité absolue à comprendre les causes de la SLA, une maladie, en réalité, très hétérogène. Il faut de toute urgence définir des sous-populations et renforcer la recherche de traitements pour chaque catégorie.

Action n°2 : Soutenir financièrement le programme Pulse

Ce programme a vu le jour grâce à l'implication des centres SLA, du CHU de Lille et le financement de l'ARSLA à hauteur de plus de 1,4 million d'euros. À ce jour, il faudrait encore plus de 500 000 € pour le finaliser avant son exploitation.

C'est un programme de recherche appliquée unique par son ampleur car il est multiparamétrique, c'est-à-dire qu'il associe des données cliniques, biologiques, neurophysiologiques, neuropsychologiques, d'imagerie et de génétique. Ses objectifs sont de définir les facteurs prédictifs de la progression de la maladie, de définir les endophénotypes en relation avec l'étiopathogénie, la physiopathologie et le pronostic, et de classer en sous-types les formes de SLA.

Pulse, un accélérateur de solutions contre la SLA, représente l'excellence scientifique française.

Action n°3 : Pérenniser l'organisation de l'offre de soins des maladies rares et renforcer le financement des centres SLA et de la filière

Il est essentiel de permettre à cette organisation des soins (filiales et centres maladies rares) d'assurer leurs missions au sein des hôpitaux (financement fléché, personnels multiprofessionnels formés à la prise en charge des patients SLA en nombre suffisant). La filière Filslan, comme les autres filiales de santé maladies rares, garantit une prise en charge globale et personnalisée sur tout le territoire national.

Ne plus bénéficier de suivi dans les centres SLA pour les personnes malades serait une double peine en les éloignant de l'expertise diagnostique, des soins hospitaliers spécialisés, une menace pour une prise en charge adaptée et l'anéantissement du dernier espoir de traitement représenté par la participation à des essais thérapeutiques menés dans les centres.

Le diagnostic de la SLA repose essentiellement sur l'examen clinique neurologique et l'électro-neuro-myogramme. Il reste difficile – en début de maladie ou en l'absence d'un accès précoce à une expertise par un neurologue, ou encore devant certaines présentations cliniques – qu'un médecin traitant peut avoir du mal à identifier.

La méconnaissance de la maladie par les soignants et par le grand public lui-même est un facteur aggravant de l'errance de diagnostic, fortement préjudiciable dans une affection évolutive, dans laquelle le temps est, par conséquent, compté. En moyenne, l'errance varie de quatorze mois dans les formes bulbaires à vingt-et-un mois dans celles débutant aux membres inférieurs.

Par ailleurs, il existe une tension palpable en termes d'accès aux soins de ville. Pour chacun, il est compliqué de trouver un médecin traitant ou d'obtenir un rendez-vous dans des délais raisonnables. Cette difficulté est d'autant plus accrue quand une personne atteinte de SLA doit chercher un praticien apte à prendre en compte les spécificités dues à la maladie et prêt à se déplacer au domicile. La désertification médicale couplée aux manques de formations des professionnels de santé sont des obstacles comparables au châtimeur de Sisyphe dans les Enfers.

Action n°4 : Renforcer la formation initiale et continue des professionnels de santé, des intervenants de soins et de tous les acteurs paramédicaux

Depuis plusieurs années, la SLA ne fait plus partie des programmes d'enseignements universitaires, ni des programmes de formations professionnelles académiques des soignants.

Il faut donc réintégrer dans les programmes de formations initiales dès le 1er ou 2d cycle les notions de bases de l'existence même de cette maladie et ses manifestations princeps. Il est nécessaire de développer des programmes de formations continues destinés aux soignants médicaux et non médicaux permettant ainsi de connaître les fondements de la prise en charge et de la prévention des complications.

Si le nombre de 7 000 cas en France peut paraître faible, malgré des chiffres épidémiologiques comparables à ceux de la sclérose en plaques, c'est en raison d'une évolution foudroyante des décès dans les trois à cinq ans qui suivent les premières manifestations cliniques, phénomène unique parmi les maladies rares de l'adulte. Il en résulte des spécificités : contexte émotionnel majeur pour les malades, leur entourage et les soignants, exigences éthiques tant dans l'annonce que dans l'accompagnement du malade et de son entourage, adaptation des soins en concordance avec la rapidité évolutive des situations.

En quelques mois, les patients SLA basculent dans un état de dépendance qui nécessite la mise en place de suppléances vitales (ventilation, gastrostomie d'alimentation) et un accompagnement palliatif de fin de vie. Une coordination des multiples acteurs et un parcours de soins personnalisé sont nécessaires sur un laps de temps très court. Or, aujourd'hui, cela représente une véritable faille dans l'organisation du système de santé.

Action n°5 : Assurer la coordination et la continuité des soins hôpital-ville pour les personnes atteintes de SLA

Il est donc nécessaire de créer le statut d'un professionnel coordinateur et de formaliser les caractéristiques métiers, les compétences et formations pour ces personnes ressources. Son rattachement et son financement doivent être clairement définis. Enfin, il faut faciliter le déploiement de ses actions sur le terrain en légitimant son intervention auprès des professionnels de santé et des malades.

Tout au long de la maladie, une personne souffrant de la SLA perd graduellement son autonomie. Pour les gestes du quotidien, elle devra s'appuyer sur une tierce personne qui prendra le relais de ses propres mouvements. La quasi-totalité (95 %) des personnes atteintes de la SLA déclarent vouloir rester au domicile. Afin que cela soit réalisable, malgré les aides humaines octroyées dans le cadre des dossiers sociaux (PCH ou APA selon), toute la sphère familiale proche est impliquée, les membres qui la composent se transformant, malgré eux, en aidants.

Le rôle de ceux que l'on nomme « proche aidant » est crucial. Sans eux, l'assurance maladie aurait à sa charge plusieurs millions de dépenses supplémentaires.

Mais être aidant n'est pas anodin, cela peut avoir des impacts sur la vie familiale, personnelle, professionnelle, mais aussi sur sa propre santé.

Le droit au répit, issu de la loi d'adaptation de la société au vieillissement de janvier 2016, permet aux proches aidants des personnes atteintes de la SLA de prendre un temps de repos tout en s'assurant de la bonne prise en charge de l'aidé.

Or, aujourd'hui, il n'y a que très peu d'établissements de santé privés ou publics qui proposent un accueil de patients SLA.

Action n°6 : augmenter de manière significative les offres de répit

Certes, cela nécessite un plateau technique complet mais il faut permettre aux familles et aux patients une offre de répit programmé et une offre de répit d'urgence.

L'offre de répit programmé soulage les familles et leur permet un temps de repos avant le retour au domicile.

L'offre de répit en urgence pallie les difficultés soudaines auxquelles peut être confronté un aidant et éviter ainsi une hospitalisation du patient dans des services non adaptés faute de place.

Il est urgent de ne pas laisser s'épuiser les familles, car cela représente aussi un intérêt économique important pour la société.

La SLA est une maladie incurable et létale. La question de la fin de vie est donc au cœur des débats dans la communauté des personnes qui en sont atteintes.

Le plan national de développement des soins palliatifs et de l'accompagnement de la fin de vie 2021-2024 prévoit des avancées importantes pour garantir à tous l'accès aux soins palliatifs et à l'accompagnement de la fin de vie.

La loi Claeys-Leonetti donne ce droit d'accès en mettant à disposition des directives anticipées afin de privilégier la volonté du patient.

Cependant, il reste un vide interprétatif majeur dans le cadre de la SLA quant à la signification de l'expression « pronostic vital engagé » pour « l'accès au droit » de sédation profonde.

Le pronostic vital est dit « engagé » lorsque la personne se trouve entre la vie et la mort, autrement dit lorsque le médecin ne parvient pas à estimer précisément si le patient pourra survivre ou non.

Les personnes atteintes de SLA, dès lors qu'elles sont prises en charge en milieu spécialisé et qu'elles bénéficient de suppléances vitales respiratoire et/ou nutritionnelle, ne sont dans cette situation « légale » qu'après une longue phase terminale de dépendance que nombre d'entre elles ressentent comme psychologiquement insupportable. Cette situation, selon les dispositions de la loi Claeys-Leonetti, leur interdit l'accès à la sédation profonde.

Action n°7 : Donner aux personnes atteintes de SLA le libre choix de la sédation profonde, selon l'évaluation de ses propres souffrances et l'acceptation de ses limites quant à l'effraction de son corps

Les patients SLA ont, dès l'annonce du diagnostic, un pronostic vital engagé, qui peut s'entendre dans la même définition que celle évoquée dans la loi Claeys-Leonetti.

Sans l'accès à la sédation profonde, la personne atteinte meurt par étouffement. Il faut donc que des dispositions spécifiques à la SLA soient définies afin de permettre un accompagnement décent de fin de vie.

Si une personne développe la SLA avant ses 60 ans, elle pourra alors bénéficier du statut de personne en situation de handicap et bénéficier des avantages de la prestation pour la compensation du handicap (PCH).

Cette prestation réévaluée récemment permet, même si cela n'est pas encore totalement adapté aux personnes concernées, d'envisager par exemple l'acquisition d'aides techniques qui ne sont pas de l'ordre du confort mais bien d'une nécessité vitale : une commande oculaire quand on ne peut plus s'exprimer permet d'alerter en cas de détresse, un fauteuil électrique quand on ne peut plus se mouvoir autorise quelques degrés de liberté de déplacement.

Elle permet aussi le 24 heures sur 24, c'est-à-dire l'assistance humaine constante lorsque le handicap devient extrêmement lourd et qu'une présence permanente auprès de l'aidé est nécessaire.

Or, en France, après 60 ans, il est trop tard pour devenir handicapé. Passée cette barrière fatidique, la loi n'offre plus les mêmes droits (sauf exception). La personne devient « personne âgée » et dépend du régime de l'allocation personnalisée d'autonomie (APA). Ses besoins ne sont plus évalués et compensés de la même manière. Les droits en aides techniques deviennent quasi inexistants, ceux humains sous-évalués.

Il s'agit d'une discrimination intolérable et d'une entrave à l'article 1 de la Déclaration des droits de l'homme et du citoyen promulguant l'égalité en droit de chacun, sans distinction.

Action n°8 : Instaurer des droits universels de compensation au handicap, sans distinction d'âge

Notre objectif commun doit être de créer une société juste, dans laquelle chacun, victime d'une maladie, d'un handicap, est protégé sans discrimination selon ses besoins. De plus, il faudrait prendre en compte la spécificité de la maladie de Charcot dans le traitement administratif des dossiers en MDPH : le fait que l'évolution soit très rapide, les familles n'ont pas la force de déposer de nouveaux dossiers pour adapter la prise en charge à chaque étape du besoin de la personne malade.

Nous savons aujourd'hui que les aidants sont une source non négligeable d'économie pour la Sécurité sociale. Ils assurent, en effet, la prise en charge de l'aidé au domicile et évitent un placement en institution extrêmement onéreux pour des personnes en grande dépendance. La maladie paupérise les foyers. Non seulement les personnes malades ne peuvent plus travailler, mais les aidants se voient également contraints de mettre entre parenthèses leur vie professionnelle, de façon partielle ou totale.

Action n°9 : Revaloriser le congé proche aidant, étendre sa durée et élargir les conditions d'attribution

AXE N°4 : PERMETTRE À L'EXCELLENCE FRANÇAISE EN MATIÈRE DE RECHERCHE DE RAYONNER



« Malheureusement, je trouve qu'il est à déplorer le manque de moyens alloués par l'État à la recherche fondamentale, contrairement à d'autres pays tels que les États-Unis ou le Japon, où le soutien de l'État permet de se concentrer davantage sur le projet scientifique que sur la recherche de subventions. Ainsi, en France, cette situation est fortement dommageable car ce manque de soutien financier freine la recherche publique et les avancées scientifiques, notamment dans le cas de la recherche biomédicale. Pour ma part, la recherche scientifique est nécessaire au maintien et à l'amélioration de la santé de la population. Même si les filières scientifiques ont pu faire l'objet d'un certain manque de considération, la recherche demeure une filière professionnelle permettant d'exercer des métiers porteurs de sens. »
Lina, jeune chercheuse, 28 ans, Nîmes.

Dans le domaine de la recherche fondamentale et appliquée, nous constatons, dans le monde, une croissance exponentielle du nombre de publications durant ces vingt dernières années. En France, malgré un maillage important d'équipes de recherche rattachées aux établissements publics à caractère scientifique et technologique (EPST) ou aux universités, très peu sont centrées sur l'étude des causes de la SLA ou dans l'étude de la dégénérescence des neurones moteurs, ces termes ne sont même pas identifiés dans les thématiques et bases de données de l'Inserm.

Au cours des dix dernières années, on ne compte que sept projets nationaux financés par l'Agence nationale de la recherche (ANR).

De même, en recherche thérapeutique, où seules quelques sociétés ont dans leur axe de développement le thème de la SLA. Il existe bien un réseau de recherche clinique (ACT4ALS), labellisé F-Crin, créé pour valoriser dans des essais thérapeutiques les files actives suivies dans les centres experts, mais la grande majorité des molécules candidates étant issues de start-ups américaines, celles-ci ne sont proposées à l'étude en France qu'en seconde ligne.

Depuis plusieurs années, l'ARSLA a su fédérer le peu d'équipes nationales centrées sur la recherche sur la SLA. L'association est le premier financeur privé de la recherche sur la SLA en France.

Action n°10 : Doubler le financement de la recherche par les pouvoirs publics pour développer de nouvelles thérapies

Il y a une priorité absolue à comprendre les mécanismes en cause dans la SLA.

C'est une maladie très hétérogène par ses manifestations, sa durée évolutive, la topographie de son étendue. Il faut pouvoir définir des sous-populations, c'est-à-dire définir des biomarqueurs susceptibles de les identifier afin de mieux appréhender les mécanismes générant ces variables et homogénéiser les cohortes incluses dans les études thérapeutiques.

À titre d'exemple, la reconnaissance des causes génétiques à l'origine de 15 à 20 % des SLA, marquées par l'identification d'une mutation causale spécifique, a permis un démembrement fondamental avec une fraction de SLA, de causes connues et identifiées, qui conduit actuellement au développement de thérapies géniques ciblées pour ces formes. Dans le cadre de la recherche, la SLA sert de « maladie modèle » car du fait de son évolution rapide, les résultats des essais sont significatifs. Donc toutes les recherches qui sont initiées dans la SLA ont des retombées pour des maladies neurologiques ayant une prévalence plus forte.

Le renforcement des moyens humains et financiers pour optimiser la recherche fondamentale est une urgence absolue afin de mettre un terme aux souffrances inacceptables des personnes malades et de leurs proches.

AXE N°4 : PERMETTRE À L'EXCELLENCE FRANÇAISE EN MATIÈRE DE RECHERCHE DE RAYONNER

La recherche thérapeutique passe par l'étude de toxicité et d'efficacité de molécules candidates en quatre phases.

Phase 1 : étude de toxicité et d'ajustement de la dose ;

phase 2 : étude de toxicité et efficacité sur une faible cohorte ;

phase 3 : étude efficacité sur une large cohorte ;

phase 4 : étude de tolérance en vie réelle.

Le déroulement de la phase précoce d'un essai thérapeutique est encadré dans des structures habilitées, type centre d'investigation clinique (CIC) ou centre de recherche clinique (CRC).

L'accès à ces structures peut être compétitif entre les maladies concernées. La SLA, maladie rare, n'a que rarement accès à ces structures, imposant donc aux start-ups nationales de faire réaliser cette première étape dans un pays de l'Union européenne, sans parler des lenteurs administratives pour lancer un essai qui sont de vrais freins pour les industriels.

Action n°11 : Développer les structures habilitées aux essais thérapeutiques de phase 1 pour la SLA

L'expérience montre que dans le domaine du cancer, la mise en place en Centres labellisés de phase précoce (CLIP) dans les essais de nouveaux médicaments a contribué, de façon considérable, à une augmentation du nombre d'essais cliniques ces cinq dernières années. Ce partenariat avec l'industrie du médicament a permis de renforcer l'attractivité de la France dans les essais cliniques.

Les essais cliniques en phase 3 représentent des coûts très importants et limitent donc le nombre de traitements prometteurs qui peuvent arriver à cette phase de développement.

De plus, le temps de la recherche académique n'est pas le temps des patients qui, subissant cette maladie incurable, n'ont qu'une demande, totalement légitime, de disposer rapidement de nouveaux traitements.

Une des réponses est le développement de plateformes d'essais thérapeutique afin d'évaluer plusieurs molécules en parallèle en mettant en commun des groupes traités par un placebo.

Cette solution pourrait à terme réduire de moitié le temps d'attente avant l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché d'un traitement, et d'un tiers les coûts engendrés par une étude classique.

Action n°12 : Permettre un accès plus simple et large à l'usage compassionnel de médicaments et un accès simplifié des patients au traitement. Ouvrir des programmes d'accès précoce et d'autorisation conditionnelle de mise sur le marché soumise à une validation en condition de vie réelle.

À PROPOS DE L'ARSLA :

L'ARSLA, association pour la recherche sur la sclérose latérale amyotrophique (maladie de Charcot) a pour missions de financer la recherche et aider les personnes malades et leurs proches.

Reconnue d'utilité publique, elle est le 1er financeur privé de la recherche sur la SLA en France. Elle dépend à 92% de la générosité publique.