

Le 13 juin 2023,  
À Paris,

**Actualisation à la lettre ouverte du 2 juin 2023**  
**Plus une minute à perdre pour les personnes atteintes de SLA en France !**

Monsieur le Président de la République, Emmanuel Macron, monsieur le ministre de la Santé et de la Prévention, François Braun,

Le 2 juin, nous vous adressions, Monsieur le Président de la République, une lettre ouverte, restée pour l'instant sans réponse, à la suite du communiqué de presse du laboratoire Amylyx Pharmaceuticals. Sachez que la situation a évolué puisque depuis, des experts médicaux expriment leur soutien et co-signent notre demande autour du Professeur Couratier, animateur National de la Filière de Santé FILSLAN, pour un accès au traitement du laboratoire Amylyx Pharmaceuticals, l'AMX0035. C'est la raison pour laquelle nous sollicitons votre ministre de la Santé et de la Prévention.

Monsieur le ministre de la Santé et de la Prévention, nous souhaiterions vous rappeler tout d'abord que la sclérose latérale amyotrophique est létale en moins de 3 ans et qu'il n'existe à ce jour aucun traitement neuroprotecteur efficace. Cependant les résultats de la phase 2 de l'étude Centaur montrent pour la première fois un ralentissement sur la dégradation motrice mais aussi sur la survie des personnes malades. Ces résultats ont eu un effet direct sur l'autorisation d'utilisation temporaire délivrée pour ce traitement aux USA par la Food and Drug Administration (FDA). De plus, notons qu'en France une situation proche a permis d'octroyer pour le Radicava une autorisation temporaire d'utilisation (ATU) pour la SLA fin 2017, grâce à l'intervention d'Olivier Véran, alors député, auprès de la ministre de la Santé, Agnès Buzyn, et sans que cela nécessite une quelconque concertation avec la filière FILSLAN et sans demande initiale du laboratoire promoteur. **Aussi pourquoi ne pas user de ce même procédé pour l'AMX0035 pour une autorisation d'accès précoce en France ?** En effet, la France peut s'enorgueillir d'une telle procédure dont l'objet est de simplifier et d'accélérer l'accès à l'innovation pour des médicaments sans alternative, utilisés dans des pathologies rares, graves ou invalidantes et ainsi d'améliorer, in fine, la prise en charge et la sécurité des personnes malades qui se trouvent dans une impasse thérapeutique.

Monsieur le ministre de la Santé et de la Prévention, mesurez bien aussi les enjeux dramatiques qui se profilent si, dans les prochains jours, la réponse de l'EMA à une demande conditionnelle européenne pour l'AMX0035 se révèle négative, tant pour les patients (nous vous invitons à lire notre lettre du 2 juin), que pour les personnes incluses dans l'essai en cours. Ces dernières pourraient en effet l'interrompre, car quel intérêt de poursuivre l'ingestion d'un traitement alors que dans le même temps une autorité de santé met en doute son efficacité en refusant un accès conditionnel ? En outre, les répercussions de cette décision sur les laboratoires et les biotechs impliquées en France et en Europe pourraient être délétères, car pourquoi continuer la recherche appliquée dans la SLA si l'EMA ne reconnaît pas des résultats prometteurs d'une étude de phase 2 en contradiction avec son homologue américain, la Food and Drug Administration (FDA) ?

Pour ces raisons, Monsieur le Président de la République, Monsieur le ministre de la Santé et de la Prévention, **la communauté de personnes malades, représentée par l'ARSLA, et celle des professionnels de santé, qui considèrent les premiers résultats comme prometteurs, vous demandent sans plus attendre la mise en place d'une procédure d'accès précoce pour l'AMX0035**, tant que les résultats de l'étude phase 3 Phoenix ne sont pas connus (pas avant 12 à 20 mois). Le doute doit profiter aux personnes atteintes de SLA qui n'ont pas le temps d'attendre.

Cette décision forte vaudra également pour le reste de la communauté Européenne comme un signal positif vis-à-vis de l'EMA.

Bien respectueusement,

Valérie Goutines-Caramel,  
Présidente de l'ARSLA.

Pr Claude Desnuelle,  
Vice-président de l'ARSLA.

Pr Philippe Couratier,  
Animateur National de la Filière de Santé FilSLAN



*L'ARSLA, association loi 1908 reconnue d'utilité publique, représentante des usagers, porte la parole de la communauté des personnes touchées par la SLA. Acteur et 1<sup>er</sup> financeur de la recherche sur la SLA, à hauteur de plus de 10 millions d'euros depuis sa création, l'association s'est également dotée d'une mission d'aide aux personnes malades et leurs proches.*  
[arsla.org](http://arsla.org)

---

2 juin 2023 : Lettre ouverte au Président de la République, Emmanuel Macron.

### **Plus une minute à perdre pour les personnes atteintes de SLA en France !**

Monsieur le Président de la République,

Quelle ironie du sort ! Alors que le 21 juin est la journée mondiale de la SLA (ou maladie de Charcot), que nous consacrons tout ce mois à défier la maladie au travers de la seconde édition de notre campagne « Éclats de juin ! », que depuis le 31 mai, le documentaire *Invisible été*, d'Olivier Goy, que vous avez d'ailleurs rencontré, est en salles, il nous faut annoncer à nos malades que l'Agence européenne du médicament (EMA) ne serait pas favorable à la demande d'accès conditionnel au traitement AMX0035, du laboratoire Amylyx Pharmaceuticals. Or depuis vingt-cinq ans, c'est la première molécule à représenter autant d'espoir pour les personnes concernées et leurs proches.

Or, depuis un an, les autorités de santé américaines et canadiennes ont donné leur aval à l'accès conditionnel de ce traitement, qui combine deux molécules déjà approuvées dans d'autres indications que la SLA. Leur autorisation s'appuie sur les résultats d'une étude de phase 2, réalisée par de grands centres universitaires mondiaux, lesquels ont révélé un ralentissement significatif de la progression de la maladie, une augmentation de la survie de six mois et demi pour les malades traités, soit une baisse du risque de décès de... 43 % ! Il fallait néanmoins que le laboratoire continue l'étude de phase 3 en parallèle, ne pouvant plus le faire localement, il a choisi de la poursuivre en Europe et notamment en France.

Pour tenter de bénéficier de ce traitement prometteur, et sous réserve de remplir des critères très sélectifs d'inclusion, nos concitoyens devenaient donc des cobayes avec le risque de recevoir pendant quarante-huit semaines un placebo inactif ! Seule une centaine de patients a pu y participer. D'avoir laissé cette unique option est inacceptable ! En outre, si moins de 10 % des patients atteints de SLA ont accès à des essais cliniques dans notre pays, quelle perspective pour les 90 % restants ? Aucune. Aussi certains d'entre eux usent de moyens détournés, comme l'achat de molécules sur le Web sous réserve de disposer des moyens financiers nécessaires et avec les risques sanitaires que cela suppose ; d'autres se rendent en Suisse pour bénéficier de thérapies innovantes, comme le Masitinib, un médicament développé par un laboratoire français, mais non accepté sur notre territoire, puisqu'il est également en attente d'une autorisation conditionnelle de l'EMA.

*« Je veux pouvoir bénéficier d'un traitement qui permet de stabiliser l'évolution de la maladie. Je ne veux pas entendre ou lire que mon espérance de vie est de trois à cinq ans après le diagnostic. Je veux plus que cela. Je veux profiter de ma famille, voir grandir mes petits-enfants. Je veux avoir un accès aux médicaments efficaces, comme en Amérique du Nord ou, depuis peu, en Suisse. Nous, patients souffrant de SLA, ne pouvons pas attendre des mois pour des autorisations. Notre temps est compté. »*

*« J'ai vu partir la maman d'un ami de cette foutue maladie, aujourd'hui, c'est un ami, âgé de 38 ans, marié et père d'une petite fille de 3 ans, qui se bat contre la SLA. Il existe un traitement contre cette chose qui le ronge, pourquoi ne pas essayer ? Il n'attend que ça afin de voir grandir son enfant. Quels effets secondaires peuvent être pires que la mort ? »*

*« Atteint de la SLA de forme bulbaire depuis 2019, à l'âge de 51 ans, je m'aperçois que nos politiques n'ont aucun courage. Que ce soit dans l'approche de la fin de vie ou dans l'autorisation pour nous permettre de prendre de nouveaux traitements. Je suis capable d'accepter, en toute conscience, de prendre de nouveaux médicaments, qu'est-ce que je risque de plus, je suis condamné. À quand un vrai débat qui permettrait de prendre en compte l'avis des malades et des aidants ? » Ces témoignages, que nous recevons au quotidien à l'ARSLA, se ressemblent tous, ils sont autant de drames personnels.*

Depuis plusieurs mois, nous ne cessons d'alerter sur cette situation profondément injuste : tribune fin 2022, pour signifier que les Français atteints de la SLA refusaient d'être des cobayes ; janvier 2023, si nous sommes reçus par les conseillers de votre ministre de la Santé, nous n'avons eu aucun retour quant à nos demandes sur la mise en place d'un accès précoce. Sans compter nos sollicitations auprès de l'Agence nationale de sécurité du médicament (ANSM) restées, là aussi, lettre morte.

Nous n'accepterions pas cette décision de l'EMA si elle venait à se confirmer, qui le pourrait d'ailleurs ? Quand on sait que, chaque jour, dans notre pays, ce sont cinq nouveaux diagnostics qui sont posés et cinq personnes qui succombent de cette maladie. Que, en quelques mois, les fonctions motrices et la parole disparaissent, les capacités respiratoires et à se nourrir se restreignent. Qu'une fois le diagnostic établi, l'espérance de vie n'excède pas cinq ans. Comment comprendre qu'un traitement ne soit pas accepté en Europe par une agence spécialisée, alors qu'il est validé scientifiquement outre-Atlantique par la Food and Drug Administration ?

En tant que chef de l'État, vous avez la possibilité et la responsabilité à l'égard de vos concitoyens d'agir. Des recours existent en France, qu'attendons-nous pour les activer ? Les pouvoirs publics français n'ont-ils pas instauré un dispositif destiné à simplifier et à accélérer l'accès à l'innovation pour des médicaments dans des pathologies rares et incurables : la procédure d'accès précoce ? Nous devrions nous en enorgueillir, car cela représente une chance pour les personnes concernées. Les conditions requises pour le déployer, selon l'ANSM, sont ici totalement réunies : rapport bénéfice/risque favorable, traitement d'une maladie grave, rare et invalidante, pas d'autres traitements disponibles, mise en œuvre ne pouvant être différée en raison de l'évolution particulièrement rapide, médicament présumé innovant.

Aussi, Monsieur le Président de la République, déclenchez cette procédure d'accès précoce à l'AMX0035 en France, intervenez également au niveau européen afin que l'EMA fasse preuve d'humanité et de flexibilité pour accepter/approuver/consentir à un accès conditionnel. Emparez-vous de cette question de santé publique, car chaque minute qui passe est précieuse pour toutes les personnes atteintes de SLA en France.

Monsieur le Président de la République, nous espérons, au nom de toute la communauté des personnes atteintes de la SLA, que cette lettre ne demeurera pas sans réponse.

Bien respectueusement,

Valérie Goutines-Caramel, présidente de l'ARSLA

*L'ARSLA, association loi 1908 reconnue d'utilité publique, représentante des usagers, porte la parole de la communauté des personnes touchées par la SLA. Acteur et 1<sup>er</sup> financeur de la recherche sur la SLA, à hauteur de plus de 10 millions d'euros depuis sa création, l'association s'est également dotée d'une mission d'aide aux personnes malades et leurs proches.*

*arsla.org*