

Communiqué ARSLA du 10 mars 2026

SLA : avant la décision de la Haute Autorité de Santé sur le Qalsody, l'ARSLA donne la parole aux familles

Alors que la Haute Autorité de Santé doit prochainement rendre sa décision concernant l'accès au traitement **Qalsody** pour les personnes atteintes de sclérose latérale amyotrophique (SLA) liée à la mutation génétique **SOD1**, l'ARSLA lance une campagne de témoignages intitulée : « **Avant que tout ne se décide** »

Portée par le mot d'ordre **#LaissezNousLeTemps**, cette campagne donne la parole à celles et ceux que cette décision concerne directement.

Pendant une semaine, l'association diffusera les témoignages de quatre personnes dont la vie est marquée par cette forme héréditaire de la maladie :

- **Pauline**, 22 ans, diagnostiquée à 20 ans
- **Christophe**, père de deux enfants de 16 et 6 ans et lui-même atteint de la mutation SOD1
- **Mathilde**, épouse d'un homme issu d'une famille touchée par la maladie
- **Valentine**, dont la mère et la tante sont porteuses du gène

Quatre histoires différentes, mais une même réalité : ce que signifie **gagner du temps face à une maladie dont l'évolution peut être fulgurante**.

Une maladie rare, une mutation héréditaire

La SLA liée à la mutation **SOD1** est une forme génétique de la maladie qui peut toucher plusieurs membres d'une même famille et se transmettre de génération en génération.

En France, cette forme concerne **environ quinze nouveaux patients par an**.

Autorisé par l'Agence européenne du médicament en 2024 et déjà accessible dans plusieurs pays, dont l'Allemagne, l'Espagne et les États-Unis, le traitement **Qalsody** n'est pour l'instant disponible en France que dans le cadre d'un **accès compassionnel**. Son avenir dépend désormais de la décision prochaine de la Haute Autorité de Santé.

Ce traitement ne guérit pas la maladie, mais il peut **en ralentir l'évolution et la stabiliser chez plusieurs patients**.

Des données complémentaires examinées par la HAS

Dans le cadre de la procédure de réévaluation engagée après un premier avis négatif rendu en 2024, des données complémentaires ont été transmises à la Haute Autorité de Santé par le laboratoire Biogen, la filiale de santé FILSLAN et l'ARSLA.

Ces analyses mettent notamment en évidence :

- une **stabilisation chez une majorité de patients traités**
- une **diminution des neurofilaments**, marqueurs reconnus de l'évolution de la maladie
- une **amélioration de la qualité de vie** rapportée par les patients et leurs proches
- une **acceptabilité forte du traitement**, malgré la contrainte des injections intrathécales

Dans une maladie ultra-rare comme la SLA liée à la mutation SOD1, chaque décision revêt une importance extrême.

Un enjeu pour les maladies rares et l'innovation

Au-delà de la décision attendue concernant le Qalsody, l'ARSLA appelle à une réflexion plus large sur l'évaluation des traitements dans les maladies rares et ultra-rares.

Ces pathologies reposent par nature sur des cohortes limitées, ce qui nécessite d'adapter les méthodes d'évaluation et d'intégrer davantage les données issues de la pratique clinique et de la vie réelle.

L'association appelle ainsi à la création, au sein de la Haute Autorité de Santé, d'une **instance dédiée à l'évaluation des traitements dans les maladies rares**, capable de prendre en compte leurs spécificités scientifiques et médicales.

Une telle évolution serait également un signal important pour **l'innovation biomédicale en France**, alors que la recherche sur la SLA progresse avec l'émergence de thérapies ciblant des mécanismes génétiques précis.

À travers cette campagne, l'ARSLA souhaite rappeler une chose simple : dans la SLA, **le temps n'est pas une abstraction**. Chaque mois gagné est précieux. Et donner du temps à une personne malade, c'est simplement permettre à une famille de continuer à vivre.

#LaissezNousLeTemps

Contacts presse : Bettina RAMELET / b.ramelet@arsla.org / 07 87 40 08 27