

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Bruxelles, le 9 mai 2025

Échec des négociations. Pas d'accès au médicament Kaftrio pour les personnes atteintes de mucoviscidose avec une mutation rare.

C'est un échec. Notre ministre de la Santé publique, Frank Vandenbroucke, et l'entreprise Vertex ne sont pas parvenus à un accord concernant le remboursement du médicament Kaftrio pour un dernier groupe de personnes atteintes de mucoviscidose, celles présentant une mutation rare. Environ 70 personnes sont laissées pour compte.

La déception est immense. D'abord chez les patients atteints de mucoviscidose qui attendent depuis si longtemps une réponse positive, mais aussi chez leurs familles et proches.

Caroline, maman de Julie (13 ans) : « Pourquoi Julie est-elle discriminée ? Pourquoi d'autres personnes atteintes de mucoviscidose peuvent-elles bénéficier de ce traitement vital et pas elle ? C'est injuste. »

Pourtant, les perspectives étaient prometteuses. Les résultats issus de la recherche scientifique française étaient solides, un dossier avait été constitué, et une procédure spécifique de remboursement avait été lancée dans notre pays. Mais tout a échoué dans la dernière phase : Vertex et notre gouvernement n'ont pas trouvé d'accord. Les raisons de cet échec nous sont inconnues, car les discussions sur le prix et les conditions de remboursement sont confidentielles.

L'état de santé des personnes exclues continue de se détériorer irrémédiablement. La mucoviscidose est une maladie dégénérative. Les conséquences physiques et mentales pour ce groupe sont énormes et irréversibles.

Le fabricant devra maintenant constituer un nouveau dossier et entamer une nouvelle procédure de remboursement. Une telle procédure prend facilement un an, avec une issue incertaine.

Stefan Joris, directeur de l'Association Muco : « C'est une occasion manquée aux conséquences graves pour environ 70 personnes atteintes de mucoviscidose. Les négociateurs sont-ils bien conscients de leur responsabilité et de l'impact de leur décision ? »

L'Association Muco poursuivra son combat pour garantir l'accès au meilleur traitement possible pour les personnes atteintes de mucoviscidose. Le médicament Kaftrio est trop important : il améliore considérablement la qualité de vie et l'espérance de vie des patients.

Contexte

Kaftrio est un médicament destiné aux personnes atteintes de mucoviscidose. Cette maladie, aussi appelée muco ou fibrose kystique, reste à ce jour incurable. En Belgique, 1.379 personnes luttent contre cette maladie dont les symptômes ont un impact majeur sur la vie quotidienne. La majorité des patients souffrent d'une fonction pulmonaire fortement réduite en raison d'infections et d'inflammations chroniques. Ils rencontrent également d'importants problèmes digestifs.

Kaftrio améliore la fonction pulmonaire, réduit le nombre de poussées, diminue le recours aux antibiotiques et améliore la qualité de vie des patients.

Depuis le 1er septembre 2022, Kaftrio est remboursé pour les personnes âgées de 12 ans et plus présentant la mutation la plus fréquente. Depuis le 1er février 2023, cela s'applique également aux enfants à partir de 6 ans. Et depuis le 1er février 2025, aux enfants dès 2 ans. Toujours pour les personnes porteuses de la mutation la plus courante.

Grâce aux avancées scientifiques, nous savons aujourd'hui que Kaftrio peut aussi être bénéfique pour des personnes porteuses de mutations plus rares. Pourtant, ces personnes n'y ont toujours pas accès aujourd'hui. En conséquence, environ 70 Belges atteints de muco restent privés de traitement. En France, pays voisin, ils bénéficieraient d'un remboursement. C'est pourquoi l'Association Muco a demandé au ministre Vandembroucke de faire preuve de créativité et de suivre l'exemple français afin de trouver une solution pour ce groupe « oublié ». L'initiative a bien été lancée, mais son résultat est décevant. À ce jour, les personnes présentant des mutations rares n'ont toujours pas accès à Kaftrio.

Quelques chiffres sur la mucoviscidose

- Il y a 1.379 personnes atteintes de mucoviscidose en Belgique.
 - 1 Belge sur 20 est porteur sain du gène responsable de la maladie et peut transmettre la maladie à ses enfants.
 - Tous les 10 jours, un enfant atteint de muco naît en Belgique.
 - Plus de 1.000 mutations de la maladie sont connues.
 - Aujourd'hui, environ 1.010 personnes ont accès à Kaftrio.
-