

Cystinose : Négociation autour du RP103/Procysbi®

mardi 14 mars 2017, par [François](#)

Après plusieurs années d'études et l'obtention d'une AMM (Autorisation de mise sur le marché) pour le Procysbi dans le traitement de la Cystinose, les Laboratoires Horizon Pharma ont fait part de leur volonté de mettre un terme à l'essai clinique RP103/Procysbi au 31 mars 2017.

Actuellement, le laboratoire est en négociation avec la commission d'évaluation des prix des autorités de santé pour que le Procysbi puisse être remboursé par la sécurité sociale. Si nous pouvons être confiant sur un accord trouvé à terme, il n'en ai pas moins que cette négociation tarifaire peut être plus ou moins longue au vue des demandes et intérêts de chacun.

Mise à jour information au 14 mars 2017

Le laboratoire Horizon Pharma vient de **confirmer la poursuite du traitement par Procysbi pour tous les patients européens actuellement inclus dans les essais cliniques RP103-04 et RP103-07**. Plus précisément, le laboratoire travaille actuellement avec chaque centre d'essai clinique pour définir les meilleures conditions administratives et logistiques pour permettre à chaque patient de continuer à recevoir leur traitement après le 31 mars, date de fin des essais. Ces dispositions sont appelées à être transitoires jusqu'à la décision définitive des autorités de santé quant à l'évaluation du Procysbi et à son inscription sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités.

Vous pouvez prendre connaissance de la [communication \(en anglais\) du laboratoire](#) en cliquant sur le lien.

Mise à jour information au 23 février 2017

Un début de bonne nouvelle dans la négociation autour du traitement RP103 (Procysbi). Les 28 patients français bénéficiant actuellement du traitement dans le cadre de l'essai clinique continueront à en bénéficier après le 31 mars (Horizon Pharma leur fournira le Procysbi - voir détail ci-dessous). Aucune précision n'a été donné pour la durée de cette démarche qui pourra évoluer en fonction des négociations tarifaires en cours.

La mobilisation se poursuit pour que les négociations en cours puissent faire que ce traitement soit disponible et pris en charge pour tous ...

Nous vous partageons ci-dessous le courrier des médecins responsables de l'essai en France qui ont apporté les premières indications à cette information :

Bonsoir,

Nous sommes, ce soir, ravis de pouvoir vous faire parvenir cet email bien plus positifs que les 2 ou 3 précédents.

En effet, nous avons eu ce jour une information importante d'Horizon Pharma. Après l'ensemble des négociations qu'il a pu y avoir et les diverses réactions de chacun (associations, patients et professionnels), Horizon nous a informé qu'après le 31 mars et la fin confirmée des études RP103 04 et 07, ils prendront le relais et **fourniront PROCYSBI aux 28 patients des études au travers de leurs pharmacies habituelles (en rétrocession comme pour le cystagon® avant les études)**. Nous ne savons pas pour combien de temps mais la démarche est très positive et nous sommes soulagés de notre côté.

Pendant ce temps, les négociations continuent toujours entre la commission d'évaluation des prix et le laboratoire. Nous ne savons pour l'instant pas quand elles aboutiront et il est important que les associations restent alertées.

Le système de relais de traitement pour les patients des études se met en place et devrait être effectif pour la semaine du 24 mars, d'ici là les patients des études recevront leur traitement RP103. Nous en dirons plus lors des visites de mars.

Bravo à tous pour cette formidable réaction qui n'est pas restée inaperçue donc !

Très bonne fin de semaine à tous et à très bientôt

Georges Deschênes, Denis Morin, Patrick Niaudet, Pierre Cochat, Aurélia Bertholet-Thomas et les équipes des centres d'investigation clinique.

Ségolène GAILLARD

Alerte information du 6 février 2017

La question a été posée au laboratoire pour que les 28 patients français actuellement traités dans le cadre de l'essai, puissent continuer à bénéficier du Procysbi après le 31 mars si la négociation est toujours en cours. Point qui est actuellement exclu, ou non précisé, par Horizon Pharma. Une décision qui serait difficile pour les patients qui considèrent leur avenir pris en otage dans cette négociation de prix.

L'Association VML va être vigilante pour agir au mieux des intérêts des patients et suit ce dossier en contact avec des patients, familles. Des contacts vont être pris avec les différents acteurs du dossier pour de plus amples informations et porter la voix des patients.

Nous vous partageons ci-dessous le courrier des médecins responsables de l'essai en France qui ont apporté les premières indications à cette information :

"Peu avant Noël, nous avons appris des Laboratoires Horizon Pharma (anciennement Raptor) leur décision de stopper les essais cliniques au 31 mars 2017 et donc la délivrance de RP103 aux 28 patients Français et autres patients Européens actuellement suivis dans les études RP103 04 et 103 07.

Avec Georges Deschênes, Patrick Niaudet, Pierre Cochat, Denis Morin et Aurélia Bertholet Thomas, nous avons pu avoir un entretien téléphonique pour obtenir des explications sur cette décision de clôture d'étude.

Plusieurs informations en sont ressorties :

- Cette décision fait suite au rachat de Raptor par Horizon Pharma et selon Horizon Pharma Fr, la décision d'arrêt ne sera pas remise en question côté US : une clause générale du protocole le permet.
- Horizon Pharma France a conscience de l'urgence à faire avancer le dossier. Nous serons tenus informés de son avancement. Le Procysbi passe actuellement en commission d'évaluation des prix des autorités de santé. La dernière information transmise ce lundi 30 janvier est la suivante : Raptor/Horizon attend un premier retour d'ici début février sur la négociation du prix. Il est probable que le laboratoire et la commission d'évaluation des prix auront plusieurs échanges avant de trouver un accord. Nous espérons que ces démarches iront au plus vite dans votre intérêt.
- Nous avons également appris que certains patients français (hors étude) ont déjà pu obtenir le Procysbi® par des démarches enclenchées auprès des pharmacies conseils des caisses régionales. Nous sommes en train de faire les démarches auprès du médecin conseil de la sécurité sociale en charge de ce type de dossier.

Afin de trouver une solution pour les patients suivis dans les études et ne pas arriver à la reprise de Cystagon®, plusieurs options sont en cours par les équipes Françaises :

1) Rencontrer le médecin conseil de la sécurité sociale en charge de ce dossier afin de monter en commun un dossier de demande prioritaire de prise en charge du Procysbi pour l'ensemble des patients de l'étude.

Le courrier a déjà été validé par l'ensemble des médecins. L'objectif est d'obtenir un accord national de prise en charge qui dépend normalement des caisses régionales.

2) En parallèle, nous avons demandé à Horizon Fr de faire remonter le souhait de prolonger l'étude (peu vraisemblable selon eux) ou à défaut proposer un compassionnel à tous les patients actuellement suivis en essai clinique. Horizon Fr pense que cela a peu de chance d'aboutir.

Nous souhaitons prévenir les associations travaillant sur la Cystinose (Cystinose France, AIRG-France et VML) afin de :

- bien sûr relayer l'information à tous les patients. Tous ceux inclus dans les essais recevront l'information par leur médecins et/ou nous-mêmes dès que nous aurons suffisamment d'information à transmettre notamment le retour des de l'évaluation du prix auprès des autorités de santé.
- agir ou appuyer les démarches des équipes médicales Françaises.
- vous assurer de notre entier soutien, nous allons tout mettre en oeuvre pour défendre vos intérêts. Les études cliniques n'auraient pas pu aboutir sans l'implication totale des patients.

Nous sommes navrés par cette décision, nous mettons en place l'ensemble des dispositifs afin de vous défendre au mieux. Notre objectif prioritaire est d'éviter une période de transition avec une reprise du Cystagon. Si tel était le cas malheureusement, soyez rassurés sur le fait que ce serait très probablement transitoire.

Nous restons à disposition pour plus d'information et trouver d'autres solutions éventuelles avec vous. Nous vous tiendrons bien-sûr informés de l'avancement des différentes démarches.

Nous restons joignables (Tel sec néphrologie Lyon : 04 27 85 61 28 (A Bertholet-Thomas) ; Tel CIC Lyon (S Gaillard) : 04 72 35 75 51)

A bientôt, nous l'espérons, avec de meilleures nouvelles.

Georges Deschênes, Denis Morin, Patrick Niaudet, Pierre Cochat, Aurélia Bertholet-Thomas et les équipes des centres d'investigation clinique." »