

Cellule stratégique du Vice-premier ministre
et ministre des Affaires sociales et de la Santé
publique, chargé de la Lutte contre la pauvreté
Rue de la Loi 23
1000 Bruxelles

La Louvière, le 21 février 2025

Monsieur le Ministre,

C'est avec une profonde tristesse que les membres de notre association concernés par l'Ataxie de Friedreich ont appris le non remboursement en Belgique du médicament Skyclaris™ (omveloxolone) produit par Biogen.

Ce médicament offre plusieurs avantages dans le traitement de l'ataxie de Friedreich, une maladie génétique rare et évolutive.

- Amélioration des symptômes neurologiques : Skyclaris a démontré une amélioration significative des scores sur l'échelle mFARS (modified Friedreich Ataxia Rating Scale), qui évalue des aspects tels que la déglutition, la coordination des membres et la stabilité posturale. Les patients traités ont présenté moins de déficits physiques par rapport au placebo.
- Protection contre le stress oxydatif : le médicament active la voie Nrf2, un mécanisme cellulaire clé pour réduire le stress oxydatif et améliorer la production énergétique, ce qui est particulièrement pertinent dans l'ataxie de Friedreich.
- Ralentissement de la progression de la maladie : bien que la maladie continue d'évoluer, les données suggèrent que Skyclaris ralentit cette progression par rapport aux patients non traités.
- Premier traitement approuvé pour cette maladie : Skyclaris est le premier traitement spécifiquement indiqué pour l'ataxie de Friedreich dans l'Union européenne, répondant à un besoin médical jusqu'ici non satisfait.

Le médicament a été approuvé en Europe et est déjà remboursé à notre connaissance dans 3 pays de l'UE, il a été auparavant approuvé aux USA. Ceci donnait donc de grands espoirs chez nos patients, surtout chez les jeunes qui espéraient au minimum un ralentissement du développement de la maladie.

Association Belge contre les Maladies neuro-Musculaires ASBL
rue Achille Chavée 52/02 | 7100 LA LOUVIERE | 064/ 450 524 | 0499/ 742 327

info@abmm.be | www.telethon.be

N° d'entreprise : ABMM asbl : 0435.150.116 | ABMM - Aide à la Recherche asbl : 0472.456.910

Soutenir les malades : **BE42 7512 0432 2254** | Soutenir la recherche : **BE70 7512 0451 3325**

Don en ligne : www.jesoutiens.be

Nous vous demandons de bien vouloir revoir la position de la Belgique et d'autoriser son remboursement surtout chez les patients les plus jeunes. Une surveillance via nos Centres de références neuromusculaires pourrait être mise en place suite à une approbation pour une première période suffisamment longue pour évaluer la pertinence des effets en tenant compte de l'échelle spécifique mFARS. Nous n'attendons pas de ce médicament une guérison mais bien, dans un premier temps, un ralentissement de l'évolution de la maladie dans la perspective du développement d'un autre médicament.

La recherche dans le domaine des maladies neuromusculaire avance rapidement et pas mal de traitements sont sur le point d'aboutir. Nous vous demandons d'adopter une stratégie afin de garantir l'accès de nos concitoyens à ces nouvelles thérapies le plus rapidement possible dès leur approbation en Europe.

Nous restons à votre disposition pour tout renseignement complémentaire et vous remercions de votre intérêt pour notre demande.

Veillez recevoir, Monsieur le Ministre, mes salutations distinguées.



D'ANGELO Vincent
Coordinateur du Groupe Ataxie



Jean-Marie HUET
Président ABMM asbl