

## **Question orale de Kattrin Jadin à Frank Vandenbroucke (VPM Affaires sociales et Santé publique) sur "La reconnaissance du traitement à l'immunoglobuline pour le syndrome de l'homme raide"**

**Kattrin Jadin (MR):** Monsieur le ministre, j'ai récemment fait la connaissance d'une personne atteinte du syndrome de l'homme raide et son histoire me laisse perplexe. Au cours des années, le patient a dû faire de nombreux examens et a essayé plusieurs traitements, sans succès.

Depuis peu, il suit un traitement à l'immunoglobuline et son corps semble bien le tolérer. Il réussit à nouveau à maîtriser ses muscles et retrouve une certaine indépendance. Cependant, la Belgique, contrairement à l'Allemagne et à d'autres pays - j'ai fait mes recherches - ne reconnaît pas ce médicament pour le traitement du syndrome de l'homme raide et donc la mutuelle n'intervient pas dans les frais. Annuellement, les coûts pour ce traitement s'élèveraient à environ 40 000 euros, ce qui est énorme. Ce monsieur et son épouse, ainsi que la famille, sont vraiment confrontés à des problèmes existentiels.

Étant donné que ce traitement est déjà accepté par la mutuelle pour d'autres maladies ou domaines de la médecine en Belgique, comme l'oncologie, ne serait-il pas envisageable de le reconnaître également pour le syndrome de l'homme raide? Dans la négative, pourquoi n'est-ce pas possible? Si vous n'avez pas de réponse ou si la réponse devait être trop succincte, avez-vous des réflexions qui pourraient m'aider à secourir cette personne dont le destin, je l'avoue, m'affecte beaucoup?

**Frank Vandenbroucke, ministre:** Chère députée, je ne me prononcerai ni sur le cas médical ni sur le dossier judiciaire individuel en cours à l'Arbeitsgericht (tribunal du travail) d'Eupen mais je vais me prononcer sur les aspects relatifs au remboursement.

Je constate seulement certains faits. Le syndrome de l'homme raide ne fait pas partie des indications de mise sur le marché des immunoglobulines. La Commission de remboursement des médicaments de l'INAMI n'a jamais reçu de demande de remboursement pour motif d'absence de risques/bénéfices reconnus.

Une étude de phase 1, le premier pas vers l'autorisation de mise sur le marché a été réalisée avec effet positif dans les années nonante. C'est une étude publiée dans le journal réputé *The New England Journal of Medicine* en 2001. Depuis lors, rien de concret. Il faut attendre deux décennies, jusqu'en 2018, pour le lancement d'une étude de phase 3. La Mayo Clinic, un hôpital renommé aux États-Unis, déclare officiellement qu'il veut étudier s'il existe un effet symptomatique dans ce syndrome. Cette étude n'a pas démarré depuis lors pour des raisons non révélées.

L'aspect de la preuve (*evidence*) ou absence de preuve est un des critères de base que le Collège des médecins directeurs de l'INAMI prend en compte pour accorder une intervention financière de l'INAMI dans des cas particuliers ou non. Il s'agit donc de vérifier si le stade expérimental est dépassé, ce qui n'est pas le cas ici comme je viens de vous l'expliquer.

En général, le KCE recommande de rembourser *of label* des immunoglobulines pour des maladies pour lesquelles la preuve (*evidence*) est nette. La raison en est que la Belgique a connu des problèmes aigus d'approvisionnement d'immunoglobuline. Par conséquent, il est

impératif de bien prendre soin du choix de remboursement des immunoglobulines dans les indications de mise sur le marché et en particulier pour les situations hors notice.

Le Conseil Supérieur de la santé n'a jamais repris, ces vingt dernières années, l'indication Stiff Person sur la liste des maladies pour lesquelles les immunoglobulines sont à prendre en considération. En 2019, le Centre fédéral d'expertise (KCE) cite cette indication mais ne la recommande pas.

J'imagine que ma réponse doit vous paraître quelque peu décevante mais je dois vraiment me baser sur l'évidence scientifique et clinique.

**Katrin Jadin (MR):** Je ne vous en veux pas, monsieur le ministre; je vois que vous vous êtes informé et que vous avez été bien documenté par votre administration. Je vous remercie pour le travail effectué à ce niveau-là.

On n'est pas face à une maladie rare pour laquelle on ne connaît pas de traitement; certains traitements semblent avoir de l'effet mais aucune aide n'est proposée. En tant que simple législateur, je ne comprends pas les choses comme vous venez de me les expliquer. Je reste donc perplexe car *in fine* aucune aide ne sera octroyée, si j'ai bien compris, et c'est bien dommage.