

Position d'Alzheimer Europe sur l'accès aux traitements anti- amyloïdes en Europe

Adoptée par le Conseil d'Administration d'AE le 4 mai 2026



**FRANCE
ALZHEIMER**
& MALADIES APPARENTÉES

Position d'AE sur l'accès aux traitements anti-amyloïdes en Europe

Adoptée par le Conseil d'Administration d'AE le 4 mai 2026

2

Préambule

La maladie d'Alzheimer et les maladies apparentées touchent aujourd'hui plus de 12 millions de personnes en Europe, un chiffre qui pourrait s'élever à 20 millions d'ici à 2050. Principale cause de troubles neurocognitifs majeurs, la maladie d'Alzheimer représente à elle seule 60 à 80% des cas.

Avant 2025, seul un faible nombre de traitements symptomatiques était autorisé pour la maladie d'Alzheimer en Europe : les inhibiteurs de l'acétylcholinestérase (donépézil, rivastigmine et galantamine) et la mémantine, un antagoniste des récepteurs NMDA qui fut autorisé par l'Agence européenne des médicaments (EMA) en 2002. Aucun de ces médicaments ne modifie les causes biologiques sous-jacentes de la maladie d'Alzheimer.

Les autorisations de mise sur le marché en Europe du lecanemab en avril 2025 et du donanemab en septembre 2025 ont par conséquent marqué un tournant pour la communauté Alzheimer en Europe, mettant fin à une période de plus de 20 ans sans le moindre nouveau traitement approuvé. Alzheimer Europe s'est réjoui de l'autorisation du lecanemab et du donanemab, en tant que premiers traitements modificateurs de la maladie d'Alzheimer. Nous avons pris acte que ces traitements comportent des risques bien réels en matière de sécurité, que leurs bénéfices cliniques sont modestes et limités aux stades précoces de la maladie, et que les systèmes de santé doivent disposer de ressources suffisantes pour les administrer en toute sécurité. L'organisation a néanmoins également déclaré que les personnes aux premiers stades de la maladie d'Alzheimer doivent avoir la possibilité de discuter de ces traitements avec leur médecin et de faire avec leur famille un choix éclairé, en fonction de leur situation et de leurs préférences personnelles.

Alzheimer Europe constate donc avec une inquiétude croissante l'absence de remboursement par les systèmes de santé nationaux et les assureurs en Europe, ce qui restreint l'accès au traitement à ceux qui ont les moyens de le prendre en charge personnellement ou de se déplacer à l'étranger pour en bénéficier. Au moment de la rédaction de ce document, les agences d'Évaluation des Technologies de la Santé (ETS) au Danemark, en Finlande, en France¹, en Allemagne, aux Pays-Bas, en Suède et au Royaume-Uni ont rendu leurs évaluations initiales et émis des recommandations négatives quant à la prise en charge du lecanemab. Au Luxembourg, un programme d'accès encadré a été mis en place en janvier 2026, les coûts étant couverts par les budgets hospitaliers dans l'attente d'une demande formelle de tarification et de remboursement. Les évaluations se poursuivent dans d'autres pays, mais la grande majorité des patients en Europe n'a, à l'heure actuelle, pas accès à ces thérapies autorisées via des dispositifs de financement public.

L'expérience des États-Unis et du Japon, où le lecanemab et le donanemab sont disponibles et remboursés depuis 2023 et 2024, vient utilement nuancer certaines des problématiques qui ont pu influencer les délibérations des organismes européens d'ETS. Des effets secondaires, tels que des anomalies d'imagerie liées à l'amyloïde (ARIA), se sont produits à des taux correspondant aux données des essais cliniques, soulignant l'importance d'une sélection rigoureuse des patients, d'une prise de décision partagée et d'une surveillance stricte de la sécurité. En vie réelle, le recours à ces traitements a également été moins important que ne le suggéraient les premières projections. A ce jour, les systèmes de santé aux États-Unis et au Japon n'ont pas été submergés par les demandes de prise en charge. Le traitement a plutôt été limité à un groupe restreint de patients clairement identifiés, susceptibles de bénéficier de thérapies anti-amyloïdes. Les patients traités, qui se trouvent à un stade précoce de la maladie confirmé par biomarqueur et sans contre-indications, représentent un faible pourcentage de la population totale atteinte de la maladie d'Alzheimer ou d'une maladie apparentée.

¹ La Haute Autorité de Santé en France - HAS

Position d'AE sur l'accès aux traitements anti-amyloïdes en Europe

Adoptée par le Conseil d'Administration d'AE le 4 mai 2026

3

Alzheimer Europe reconnaît la valeur des différents organismes nationaux d'ETS, et a conscience des arbitrages difficiles qu'on leur demande de rendre en tenant compte tout autant de l'intérêt des patients que de celui des systèmes de santé. Toutefois, l'organisation craint que la situation actuelle ne soulève des questions fondamentales d'équité, avec un accès au traitement dicté par les moyens financiers, la géographie et le statut socio-économique. Alzheimer Europe constate également que sans remboursement du traitement au sein des systèmes de santé nationaux, il sera difficile d'obtenir des données en conditions réelles sur les résultats à long terme, la sélection des patients et l'administration des traitements, autant d'éléments nécessaires pour affiner la pratique clinique et préparer les thérapies de demain. En outre, l'organisation s'inquiète du fait que les critères d'évaluation des organismes d'ETS ne reflètent pas totalement l'apport de ces médicaments pour les patients, les aidants, les cliniciens et les systèmes de santé, et accordent trop peu de considération, de temps et d'importance aux besoins et attentes des personnes directement concernées, atteintes de la maladie d'Alzheimer et de leurs aidants.

Alzheimer Europe a conscience que les thérapies anti-amyloïdes, bien que constituant une avancée significative, ne représentent qu'une facette des besoins restant à satisfaire pour les personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer ou d'une maladie apparentée et pour leurs aidants. Partout en Europe, les personnes touchées par la maladie continuent à rencontrer des difficultés d'accès aux soins, à un accompagnement adapté, aux conseils, aux interventions non médicamenteuses et aux traitements dont ils ont besoin. L'investissement dans de nouvelles thérapies ne doit pas se faire au détriment du financement de ces services et dispositifs adaptés, ni des professionnels de la santé ou du secteur médico-social qui y travaillent. Face à l'augmentation du nombre de personnes touchées par la maladie d'Alzheimer ou une maladie apparentée en Europe, des investissements supplémentaires sanctuarisés et intersectoriels sont requis de toute urgence.

La déclaration suivante expose cinq sujets de préoccupation pour Alzheimer Europe et l'ensemble de la communauté Alzheimer.

1. L'importance du vécu dans l'évaluation des nouveaux traitements

Les organismes d'ETS s'appuient sur des modèles médico-économiques pour mettre en balance les bénéfices cliniques des traitements et leurs coûts, afin de déterminer s'ils ont un intérêt pour leur système de santé. Dans de nombreux pays européens, ces organismes ont appliqué les cadres de référence habituels pour évaluer les thérapies anti-amyloïdes et dans la plupart des cas, en ont conclu que les bénéfices du traitement ne justifiaient pas son coût. Alzheimer Europe comprend la logique de ce dispositif, le respecte et reconnaît le coût élevé du traitement et de la surveillance clinique. L'organisation s'inquiète toutefois du fait que les cadres de référence actuellement appliqués ne mesurent pas entièrement les bénéfices que ces traitements apportent aux personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer et à leurs proches aidants.

Jusqu'à très récemment, il n'existait aucun traitement modificateur de la maladie pour les millions de personnes touchées par la maladie d'Alzheimer en Europe. A la suite d'une évaluation scientifique et d'un réexamen rigoureux, l'EMA a conclu que les bénéfices cliniques du lecanemab et du donanemab, pour la population cible, l'emportaient sur les risques. Alzheimer Europe n'ignore pas que l'EMA et les organismes nationaux d'ETS exercent des missions distinctes. Néanmoins, l'organisation estime que l'évaluation du rapport bénéfices-risques établie par l'EMA pour la population cible devrait servir de référence aux évaluations nationales, qui pourraient alors se concentrer sur les questions de valeur clinique, d'accès au traitement et de soutenabilité financière.

Pour les personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer et leurs aidants, vivre quelques mois supplémentaires à un stade moins avancé de la maladie peut représenter un bénéfice personnel non négligeable, quand bien même l'ampleur de l'effet mesuré par les échelles d'évaluation clinique semble faible. Ce bénéfice concret dépend de la situation personnelle et du vécu de chacun, autant de paramètres qu'il est difficile

Position d'AE sur l'accès aux traitements anti-amyloïdes en Europe

Adoptée par le Conseil d'Administration d'AE le 4 mai 2026

4

de saisir à l'aide des seules échelles cliniques mesurant la cognition et les capacités fonctionnelles. Les modèles de rapport coût-efficacité bâtis à partir de données d'essais à court terme et de résultats de santé centrés sur un patient unique peuvent également ne pas refléter totalement les dimensions sociétales du traitement. Partout en Europe, la majorité des soins prodigués aux personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer est assurée par des membres de la famille et des proches aidants, souvent au prix d'un impact personnel important sur leur propre santé, leur maintien dans l'emploi et leur bien-être, pour une valeur économique totale estimée à plus de 170 milliards d'euros par an dans l'Union Européenne. Les évaluations qui ne tiennent pas véritablement compte de ces coûts risquent donc de sous-estimer le véritable impact d'un ralentissement de la progression de la maladie pour les familles et les proches aidants.

Pour que l'évaluation de cet impact ait un sens, il est essentiel d'impliquer concrètement et efficacement les personnes directement confrontées à la réalité de la maladie d'Alzheimer, leurs aidants, et les organisations qui les représentent. Alzheimer Europe craint que leurs besoins et attentes n'aient été insuffisamment pris en compte, et qu'on ne leur ait pas accordé l'importance nécessaire dans les évaluations nationales des thérapies anti-amyloïdes. L'organisation est fermement attachée au principe selon lequel les personnes les plus touchées par une décision thérapeutique, à savoir les patients et leurs familles, doivent jouer un rôle déterminant dans la manière dont la valeur du traitement est définie et mesurée dès les premières phases de l'évaluation, et que leur contribution soit explicitement indiquée dans la décision finale.

Les modèles médico-économiques habituels peinent à mesurer totalement l'apport réel des traitements modificateurs de la maladie pour les personnes touchées par la maladie d'Alzheimer. La perception d'un apport concret dépend de la situation individuelle et du vécu de chacun, des éléments que les seules échelles d'évaluation clinique ne suffisent pas à quantifier et qui, pour être compris, nécessitent l'implication directe des personnes touchées par la maladie d'Alzheimer.

Le coût sociétal de la maladie, y compris l'impact important et souvent invisible sur les proches aidants, devrait également être pleinement pris en compte dans les évaluations des traitements contre la maladie d'Alzheimer. L'EMA a déjà établi que les bénéfices du lecanemab et du donanemab l'emportent sur les risques pour la population cible, ce qui devrait servir de base aux évaluations nationales qui se concentrent sur les questions de valeur clinique, d'accès au traitement et de soutenabilité financière.

Alzheimer Europe appelle les organismes d'ETS à s'assurer que leurs méthodologies reflètent l'entière valeur de ces traitements, en accordant une importance réelle et documentée aux besoins et attentes des personnes vivant avec la maladie d'Alzheimer et leurs aidants. Les personnes directement touchées par la maladie, ainsi que les associations de patients qui les représentent, devraient être impliquées dans toutes les évaluations dès la phase initiale, et leur contribution devrait figurer explicitement dans la décision finale.

2. Toute personne devrait avoir le droit à un diagnostic précis établi dans les meilleurs délais

Plusieurs évaluations nationales ont invoqué les lacunes des infrastructures de diagnostic actuelles pour motiver, entre autres, leur recommandation de refuser la prise en charge. En France, pour justifier son refus d'autorisation d'accès précoce, la Haute Autorité de Santé (HAS) a souligné les contraintes opérationnelles liées aux procédures de confirmation de l'éligibilité, notamment les tests génétiques et le diagnostic basé sur les biomarqueurs. Alzheimer Europe a parfaitement conscience que les systèmes doivent être prêts à administrer ces traitements en toute sécurité, un point qui était au cœur de notre prise de position sur les thérapies anti-amyloïdes en 2024. Toutefois, il est préoccupant de justifier un refus d'accès au diagnostic par des carences en matière d'équipements, car l'obtention d'un diagnostic précis et rapide de la maladie d'Alzheimer devrait être un droit fondamental, indépendamment de tout traitement.

Position d'AE sur l'accès aux traitements anti-amyloïdes en Europe

Adoptée par le Conseil d'Administration d'AE le 4 mai 2026

5

Un diagnostic précis et posé dans les meilleurs délais revêt une importance en soi, indépendamment de la disponibilité ou du remboursement d'un traitement. La position historique d'Alzheimer Europe est que chaque personne atteinte de la maladie d'Alzheimer ou d'une maladie apparentée a le droit de connaître son diagnostic et d'être informée de son état de santé. Un diagnostic précis et rapide permet aux personnes de planifier leur avenir, de prendre des décisions éclairées tant qu'elles conservent la capacité de le faire, d'accéder à des soins et à un accompagnement adapté, et de participer à la recherche. Pour les familles et les aidants, le diagnostic peut apporter de la clarté et l'opportunité de se préparer à l'avenir. En résumé, l'obtention d'un diagnostic précis dans les meilleurs délais constitue un prérequis indispensable pour vivre le mieux possible avec la maladie d'Alzheimer. Le coût du diagnostic ne devrait pas être considéré comme faisant partie du coût du traitement, et l'insuffisance des infrastructures de diagnostic ne saurait justifier un refus d'accès au traitement.

L'investissement dans les capacités de diagnostic conditionne également la capacité de l'Europe à déployer la prochaine génération de traitements.

Alzheimer Europe appelle les systèmes de santé à travers l'Europe à développer et à investir dans des parcours de santé permettant un diagnostic précis et rapide de la maladie d'Alzheimer et des maladies apparentées. Le coût du diagnostic ne devrait pas être traité comme une composante du coût du traitement dans les évaluations des organismes d'ETS.

3. En matière de traitements, les patients et leurs familles doivent avoir la possibilité de faire des choix éclairés et être accompagnés dans leur prise de décision

Alzheimer Europe soutient le modèle de prise de décision partagée et accompagnée, dans lequel l'individu est au centre des décisions concernant ses propres soins, soutenu par son ou ses médecins, sa famille et ses aidants. Ce modèle est particulièrement pertinent pour le lecanemab et le donanemab, dans la mesure où la capacité de décision est généralement préservée aux stades de déficit cognitif léger et au stade léger de la maladie d'Alzheimer, stades pour lesquels les thérapies anti-amyloïdes sont indiquées.

Une prise de décision véritablement éclairée dépend non seulement de la capacité à décider, mais aussi de la qualité et de l'accessibilité des informations sur lesquelles la décision se fonde. Les personnes vivant avec la maladie d'Alzheimer et leurs familles ont droit à des informations claires, précises et accessibles sur les bénéfices attendus du traitement, les risques potentiels impliqués, les contraintes liées au traitement et les incertitudes persistantes. Cela s'applique également au débat public plus large sur les thérapies anti-amyloïdes, qui devrait être clair et équilibré, en évitant les éléments de langage qui renforcent la stigmatisation dominante, laquelle conduit trop souvent à ignorer les besoins des personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer ou d'une maladie apparentée. Alzheimer Europe observe que ce qui constitue un bénéfice concret n'est pas déterminé uniquement par des mesures cliniques, mais est également déterminé par la situation individuelle et le vécu de la personne concernée, soulignant ainsi l'importance d'une prise de décision partagée et accompagnée pour des soins centrés sur le patient.

En pratique, cependant, la possibilité de prendre cette décision dépend de l'accessibilité du traitement. Lorsque les traitements ne sont pas remboursés par les systèmes de santé publics, des personnes ayant reçu le même diagnostic et la même éligibilité clinique peuvent vivre des expériences très différentes selon leur lieu de résidence et leurs moyens financiers. Dans plusieurs pays européens, les thérapies anti-amyloïdes ne sont accessibles qu'à ceux qui peuvent les prendre en charge personnellement ou qui ont la possibilité de voyager pour y accéder. Alzheimer Europe déplore que les décisions nationales de ne pas rembourser les thérapies anti-amyloïdes privent de nombreux patients de la possibilité de décider, avec leurs médecins et leurs familles, si les bénéfices du traitement justifient les risques encourus.

Position d'AE sur l'accès aux traitements anti-amyloïdes en Europe

Adoptée par le Conseil d'Administration d'AE le 4 mai 2026

6

Les personnes vivant avec la maladie d'Alzheimer au stade de déficit cognitif léger ainsi qu'au stade clinique léger conservent généralement leur pleine capacité de décision. La prise de décision partagée et éclairée, pour laquelle l'individu, avec son médecin et sa famille, mesure les bénéfices, les risques et les incertitudes du traitement en fonction de sa propre situation, doit être au cœur de tout parcours de soins. Dans les faits, cependant, cette opportunité ne peut être saisie que si le traitement est accessible.

Alzheimer Europe appelle les organismes d'ETS nationaux et les gouvernements à s'assurer que, lorsqu'un traitement a été autorisé après avoir été considéré comme sûr et efficace, les personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer aient l'opportunité d'en discuter avec leur médecin et d'évaluer si ce traitement leur convient, en tenant compte de leur propre situation, de leurs valeurs et de leurs préférences. Dans l'attente des arbitrages définitifs sur les remboursements, des dispositifs pourraient être déployés pour garantir l'accès au traitement, tels que des programmes d'usage compassionnel, des initiatives pilotes et des études en vie réelle à échelle réduite.

4. L'absence de prise en charge par les systèmes de santé nationaux risque d'aggraver les inégalités

Une autorisation de mise sur le marché délivrée par la Commission Européenne confère le droit de commercialiser un médicament dans tous les États membres de l'UE. Ce n'est cependant que la première étape sur la voie de l'accès au traitement pour les patients. Le remboursement, qui est décidé au niveau national par chaque système de santé, constitue un facteur déterminant de l'accès. Lorsque le remboursement n'est pas accordé, un médicament autorisé et présenté comme sûr et efficace, reste en principe disponible, mais son accès devient conditionné à la capacité d'assumer soi-même le coût du traitement et/ou de voyager vers un endroit où le traitement est disponible.

C'est une réalité pour de nombreux patients éligibles en Europe, où l'accès par l'intermédiaire des systèmes de santé publics reste l'exception plutôt que la règle. En Allemagne, les patients ont pu avoir accès au lecanemab via le système d'assurance maladie légal pendant la période qui a suivi l'autorisation de l'UE, mais l'évaluation négative du rapport bénéfices-risques effectuée récemment par le Gemeinsamer Bundesausschuss (organe décisionnel du système de santé) devrait entraîner des restrictions dans le remboursement et l'accès au traitement dans un avenir proche. En France et en Suède, les évaluations des organismes d'ETS se sont conclues par un avis négatif, limitant l'accès aux seuls patients en capacité d'assumer financièrement le traitement. En Finlande, le premier patient traité par lecanemab dans les pays nordiques l'a été dans une clinique privée d'Helsinki. Au Royaume-Uni, le lecanemab et le donanemab ont tous deux été approuvés par la MHRA (équivalent britannique de l'ANSM), mais ne sont actuellement pas remboursés par le National Health Service (le système de santé public). Selon Alzheimer's Research UK, le traitement privé par lecanemab a été annoncé à un prix compris entre 60 000 et 80 000 livres sterling par an.

Lorsque le remboursement public n'est pas disponible et que la prise en charge personnelle reste la seule option, les conséquences sur l'équité sont importantes, car l'offre de soins privée favorise les personnes ayant des revenus plus élevés, celles qui vivent à proximité des grands centres spécialisés et celles qui sont les mieux informées sur le système de soins. Cette situation touche de manière disproportionnée les personnes issues de minorités ethniques, les personnes vivant en zones rurales et les personnes les plus vulnérables économiquement.

Le prix a joué un rôle direct dans plusieurs recommandations de refus de prise en charge, les organismes d'ETS ayant conclu que le lecanemab et le donanemab ne présentaient pas un rapport coût-efficacité favorable au tarif initialement proposé. Alzheimer Europe encourage donc les laboratoires à s'engager de manière constructive avec les systèmes de santé européens sur la tarification, en tenant compte des réalités médico-économiques des soins de santé financés par des fonds publics. L'organisation espère que le

Position d'AE sur l'accès aux traitements anti-amyloïdes en Europe

Adoptée par le Conseil d'Administration d'AE le 4 mai 2026

7

développement de formes sous-cutanées et de nouvelles technologies d'imagerie facilitera l'accès au traitement pour les patients, tout en réduisant les coûts pour les systèmes de santé nationaux. Cependant, tant que les problèmes de tarification et de remboursement ne seront pas résolus, les conséquences sur l'équité décrites ci-dessus persisteront.

La nature même des traitements aggrave l'impact de ces recommandations défavorables en matière d'équité. Le lecanemab et le donanemab sont indiqués pour les personnes aux stades symptomatiques précoces de la maladie d'Alzheimer, en particulier le stade de déficit cognitif léger et le stade clinique léger. Les essais cliniques indiquent que les personnes souffrant d'un déficit cognitif léger pourraient tirer un plus grand bénéfice d'un traitement par thérapies anti-amyloïdes que celles se trouvant au stade clinique léger de la maladie d'Alzheimer. De plus, une fois ce stade dépassé, les patients ne sont plus éligibles au traitement. Cela signifie qu'une personne qui répond aux critères cliniques aujourd'hui mais qui ne peut pas accéder au traitement en raison de l'absence de remboursement, du manque d'infrastructures de diagnostic ou de moyens financiers insuffisants, pourrait ne plus être éligible au moment où une décision de remboursement sera réexaminée.

Plus largement, cependant, Alzheimer Europe n'ignore pas que les inégalités face à la maladie d'Alzheimer et aux maladies apparentées vont bien au-delà de l'accès aux nouveaux traitements. À travers l'Europe, d'importantes disparités existent déjà en matière d'accès à un diagnostic rapide, à du soutien psychosocial, en matière de médecins spécialistes disponibles ou encore d'accessibilité à des services d'accompagnement et de soutien adaptés. Ces disparités varient entre et au sein des pays européens, ainsi qu'entre les groupes socio-économiques et ethniques. Introduire de nouveaux traitements sans s'attaquer aux inégalités structurelles sous-jacentes dans le domaine de la santé et du secteur médico-social risque d'aggraver, plutôt que de réduire, ces disparités. Les gouvernements et les systèmes de santé doivent adopter une vision globale, en s'assurant que l'investissement dans de nouveaux traitements ne compromette ni ne remplace l'investissement dans les services adaptés et l'accompagnement dont dépendent les personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer ou d'une maladie apparentée et leurs proches aidants.

Dans de nombreux pays européens, le lecanemab et le donanemab ne sont actuellement accessibles qu'à ceux qui ont les moyens de payer eux-mêmes le traitement ou de voyager pour y avoir accès. Cette situation soulève de graves préoccupations en matière d'équité, touchant de manière disproportionnée les personnes issues de milieux socio-économiques défavorisés, de zones rurales et de minorités ethniques. Les décisions de refus de prise en charge ont des conséquences particulièrement lourdes pour la maladie d'Alzheimer compte tenu de la fenêtre thérapeutique étroite et limitée dans le temps. L'accès aux nouveaux traitements n'est cependant qu'une facette des inégalités auxquelles sont confrontées les personnes vivant avec la maladie d'Alzheimer ou une maladie apparentée à travers l'Europe.

Alzheimer Europe appelle les gouvernements nationaux, les systèmes de santé et les laboratoires à collaborer pour garantir que l'accès aux traitements autorisés ne soit pas déterminé par les moyens financiers, le lieu de résidence ou la situation socio-économique. Nous encourageons les laboratoires à s'engager de manière constructive avec les systèmes de santé européens sur la tarification, et les gouvernements sont invités à explorer les programmes d'usage compassionnel et les dispositifs d'accès précoce pour s'assurer que les patients éligibles ne perdent pas leur fenêtre thérapeutique pendant que les décisions de remboursement sont finalisées. Les gouvernements doivent s'attaquer aux inégalités face à la maladie qui affectent l'accès au diagnostic, à l'accompagnement et aux soins, et l'investissement dans de nouveaux traitements doit venir en complément, et non au détriment, de l'investissement dans l'ensemble du parcours de soins liés à la maladie d'Alzheimer et aux maladies apparentées, qui demeure un besoin urgent.

5. Les dispositifs d'accès encadré et les programmes pilotes pourraient faciliter l'accès au traitement tout en produisant des données en vie réelle pour les évaluations futures

Dans le cadre de nombreux dispositifs européens d'évaluation des technologies de la santé, soit un traitement répond aux critères requis pour une prise en charge complète, soit il n'y répond pas. Pour les traitements innovants ciblant des pathologies à fort besoin médical non satisfait, mais dont les données à long terme sont incertaines et la population de patients éligibles restreinte, cette approche binaire peut poser problème. En effet, l'absence de prise en charge signifie que les cliniciens n'auront guère la possibilité d'acquérir une expérience pratique, d'élaborer des recommandations et de recueillir des données en traitant des patients en vie réelle.

Plusieurs pays européens ont mis en place des dispositifs pour remédier à cette situation. En oncologie, des mécanismes d'accès encadré, des fonds pour les médicaments anticancéreux et des programmes de prise en charge sous condition de recueil de données ont permis un remboursement conditionnel selon des critères cliniques définis, avec une collecte de données obligatoire et une réévaluation programmée. Ces programmes d'accès encadré (parfois appelés programmes d'accès contrôlé) permettent le remboursement et l'utilisation provisoires de nouveaux traitements ou de traitements coûteux avant que des preuves totales et à long terme de leur rapport coût-efficacité ne soient pleinement établies. Par exemple, en Angleterre, le nouveau Cancer Drugs Fund a été créé en 2016, avec un budget annuel de 340 millions de livres sterling. À ce jour, plus de 60 accords d'accès encadré ont été conclus entre le NHS England et des laboratoires pharmaceutiques, permettant aux patients d'accéder à des traitements prometteurs contre le cancer pendant que des données en vie réelle sont recueillies en vue d'une décision de remboursement définitif. Une approche connexe et complémentaire consiste à utiliser des programmes pilotes à petite échelle, dans lesquels un groupe de patients éligibles soigneusement défini reçoit un traitement dans un cadre clinique surveillé.

Il est important de noter que les données publiées suggèrent que la population éligible aux thérapies anti-amyloïdes et en recherche active de ces traitements est considérablement inférieure à ce que les projections initiales ne laissent supposer. Une étude menée aux Pays-Bas sur la population d'un centre expert de la mémoire a révélé que seuls 8 % des patients étaient initialement éligibles au lecanemab, ce groupe se réduisant à 6 % après l'application d'exclusions cliniques strictes. L'expérience en vie réelle dans les pays où ces traitements sont remboursés confirme largement cette tendance. Au Japon, par exemple, environ 6 000 patients ont été traités par lecanemab au cours de la première année suivant l'approbation par l'autorité de réglementation nationale, ce qui représente une faible proportion des cinq millions de personnes âgées de 65 ans et plus qu'on estime vivre avec la maladie d'Alzheimer ou une maladie apparentée dans ce pays. Dans l'ensemble, ces chiffres suggèrent que la demande réelle de thérapies anti-amyloïdes pourrait être considérablement inférieure aux projections. Un certain nombre de nos organisations membres ont appelé à la création de fonds pour les médicaments contre la maladie d'Alzheimer ou une maladie apparentée qui pourraient servir de solution de transition, permettant de faire passer les traitements actuels et futurs du stade de l'essai clinique à des programmes pilotes de pratique clinique à échelle réduite, générant ainsi des données en vie réelle tout en garantissant l'accès des patients à ces thérapies.

Dans le même ordre d'idées, les thérapies anti-amyloïdes constituent un premier pas, comparable aux premiers traitements pour des pathologies comme le cancer ou la sclérose en plaques, dont les bénéfices initiaux étaient limités mais se sont considérablement améliorés à mesure que la recherche progressait et que l'expérience clinique s'accumulait. Les investissements consacrés à l'accès aux traitements, alors même que les données probantes étaient encore en développement, ont permis de développer les infrastructures et l'expertise cliniques qui ont conduit, au fil du temps, à de meilleurs traitements pour le cancer et la sclérose en plaques.

Position d'AE sur l'accès aux traitements anti-amyloïdes en Europe

Adoptée par le Conseil d'Administration d'AE le 4 mai 2026

9

Les personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer méritent la même considération que celle accordée aux patients vivant avec d'autres pathologies graves. Elles ne doivent pas être ignorées ni reléguées au second plan face aux nouveaux médicaments, et elles sont en droit de décider par elles-mêmes, en accord avec leur famille et leur médecin, si un traitement leur convient.

Comme tout patient atteint d'une maladie aux conséquences lourdes sur la vie quotidienne, les personnes vivant avec la maladie d'Alzheimer méritent une considération particulière, notamment une véritable opportunité d'évaluer les options de traitement autorisées avec leurs médecins et leurs familles. Cependant, le caractère binaire de nombreux cadres d'évaluation des technologies de la santé pose des difficultés pour les traitements innovants ciblant des pathologies complexes, à fort besoin médical non satisfait, disposant de peu de traitements médicaux existants et dont les données probantes sont en constante évolution. En l'absence d'une décision de remboursement définitif, les dispositifs d'accès encadré et les projets pilotes en soins courants à échelle réduite, déjà mis en place pour des maladies comme le cancer, offrent une solution intermédiaire. Ils aident les patients éligibles à accéder au traitement, tout en développant des données en vie réelle et des parcours de soins dont les systèmes de santé auront besoin pour les futures thérapies modifiantes de la maladie.

Alzheimer Europe appelle les gouvernements nationaux et les organismes d'évaluation à mettre en place des voies d'accès encadré, notamment des fonds dédiés aux médicaments contre la maladie d'Alzheimer, des dispositifs d'usage compassionnel et des programmes pilotes. Ceux-ci doivent être assortis de garanties adaptées, telles que des critères d'éligibilité stricts, un consentement ferme et éclairé, un suivi indépendant et une réévaluation périodique. Une approche paneuropéenne pour encadrer l'accès au traitement, permettant de mutualiser les coûts, les apprentissages et les données probantes entre les systèmes de santé, devrait également être envisagée.

Perspectives d'avenir

L'autorisation du lecanemab et du donanemab par la Commission Européenne marque le début d'une nouvelle ère dans le traitement de la maladie d'Alzheimer, s'agissant des premiers traitements modificateurs de la maladie pour une pathologie qui touche des millions de personnes à travers l'Europe. Alzheimer Europe reconnaît qu'il s'agit là d'un premier pas modeste, que les bénéfices sont limités à un groupe défini de patients éligibles, et que les infrastructures nécessaires pour administrer ces traitements en toute sécurité n'existent pas encore à grande échelle en Europe. Néanmoins, l'organisation regrette profondément que la grande majorité des patients éligibles en Europe ne puisse pas accéder à ces nouveaux traitements, en raison des avis défavorables rendus par les organismes d'évaluation nationaux.

Alzheimer Europe remarque que l'absence actuelle de prise en charge pourrait avoir des conséquences allant au-delà de l'impact immédiat sur les patients. Les infrastructures cliniques, les parcours diagnostiques et les réseaux de chercheurs expérimentés se développent et se consolident grâce à l'expérience des traitements en vie réelle, et l'Europe aura besoin de ces fondations pour être préparée aux futures avancées, notamment les approches combinées ciblant de multiples mécanismes pathologiques et les interventions associant des thérapies modifiantes à un accompagnement psychosocial lié au mode de vie. Faute de ces éléments, l'Europe risque de devenir moins attractive pour la recherche clinique et l'innovation thérapeutique qui pourraient bénéficier aux futurs patients.

Alzheimer Europe a également conscience que les infrastructures de diagnostic, les capacités de suivi spécialisé et les politiques de santé publique varient considérablement en fonction des pays européens. Une approche paneuropéenne pour encadrer l'accès aux thérapies anti-amyloïdes pourrait aider les pays à mutualiser leurs ressources, à partager les données en vie réelle et à apprendre collectivement, renforçant

Position d'AE sur l'accès aux traitements anti-amyloïdes en Europe

Adoptée par le Conseil d'Administration d'AE le 4 mai 2026

10

ainsi la position de l'Europe en tant qu'acteur de premier plan pour la recherche sur la maladie d'Alzheimer. Au niveau national, des initiatives pilotes à échelle réduite constitueraient une première étape concrète vers un accès équitable au traitement, permettant d'acquérir une expérience clinique et de recueillir des données en vie réelle avant que les systèmes de santé ne s'engagent dans un déploiement à grande échelle.

Alzheimer Europe espère que les préoccupations et recommandations énoncées dans ce document contribueront à éclairer les discussions sur les thérapies anti-amyloïdes, y compris les évaluations actuelles et futures. Alzheimer Europe reste déterminée à soutenir le mouvement européen de lutte contre la maladie d'Alzheimer dans ses travaux sur l'accès aux traitements, notamment les thérapies anti-amyloïdes, et à sensibiliser le grand public aux préoccupations plus larges exposées dans ce document au niveau de l'Union Européenne.

Alzheimer Europe appelle donc les décideurs politiques européens et nationaux, les organismes d'évaluation, les systèmes de santé, les laboratoires et la communauté des chercheurs à travailler ensemble pour traiter les cinq sujets de préoccupation énoncés dans cette déclaration. Plus précisément, l'organisation demande que :

- ⇒ *Les organismes d'évaluation fixent des conditions pour une implication significative des pouvoirs publics dans toutes les évaluations des traitements de la maladie d'Alzheimer, en veillant à ce que les attentes des personnes touchées par la maladie et des associations qui les représentent soient intégrées dès les premières phases ;*
- ⇒ *Les organismes d'évaluation utilisent des méthodologies pour ces traitements innovants qui s'appuient sur la détermination du rapport bénéfices-risques de l'Agence européenne des médicaments, et accordent la plus grande considération aux besoins et attentes des personnes vivant avec la maladie d'Alzheimer ;*
- ⇒ *Les organismes d'évaluation et les gouvernements nationaux mettent en place des dispositifs d'accès encadré, tels que des fonds dédiés aux médicaments contre la maladie d'Alzheimer, des programmes d'usage compassionnel et des mécanismes similaires permettant aux patients éligibles de prendre une décision éclairée avec leur médecin, tout en renforçant l'expérience clinique et en recueillant des données en vie réelle ;*
- ⇒ *Les institutions européennes, les gouvernements nationaux et les laboratoires explorent une collaboration paneuropéenne sur des programmes d'accès pilotes pour les thérapies anti-amyloïdes, permettant la mutualisation des coûts, des apprentissages et du recueil de données probantes entre les systèmes de santé et renforçant la position de l'Europe en tant que leader dans la recherche sur la maladie d'Alzheimer et les maladies apparentées ;*
- ⇒ *Les laboratoires s'engagent de manière constructive avec les systèmes de santé européens sur la tarification, en tenant compte des réalités médico-économiques des systèmes de santé financés par des fonds publics ;*
- ⇒ *Les gouvernements nationaux investissent dès à présent dans des infrastructures de diagnostic et des capacités de suivi spécialisé nécessaires pour identifier les patients éligibles et administrer ces traitements en toute sécurité, aujourd'hui et à l'avenir, en reconnaissant que le droit à un diagnostic précis et rapide est universel, indépendamment de la disponibilité ou du remboursement du traitement ;*
- ⇒ *Les autorités de santé, les cliniciens, les chercheurs et les médias adoptent une communication claire et responsable lorsqu'ils rendent compte de nouveaux traitements, en veillant à ce que les*

Position d'AE sur l'accès aux traitements anti-amyloïdes en Europe

Adoptée par le Conseil d'Administration d'AE le 4 mai 2026

11

personnes vivant avec la maladie d'Alzheimer ou une maladie apparentée et leurs familles soient bien informées et que la maladie ne soit pas davantage stigmatisée dans le discours public.

L'organisation constate que les thérapies anti-amyloïdes sont indiquées uniquement pour un petit groupe de patients aux stades les plus précoces de la maladie, et qu'une majorité de personnes vivant avec la maladie d'Alzheimer en Europe ne seront pas éligibles à ces traitements. Les études cliniques montrent que la progression de la maladie est faiblement ralentie (d'environ 30 pour cent sur une période de 18 mois) mais pas stoppée par le traitement avec la génération actuelle de thérapies anti-amyloïdes, qui comportent un risque important d'anomalies d'imagerie liées à l'amyloïde (ARIA) et d'autres événements indésirables nécessitant une surveillance attentive. De plus, l'Europe a une population vieillissante, avec plus de 20% d'adultes âgés de 65 ans ou plus en 2020, et la prévalence des personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer ou d'une maladie apparentée devrait atteindre plus de 14 millions d'ici 2050 dans la seule Union Européenne. Cela signifie que même si toutes les thérapies actuellement autorisées étaient pleinement accessibles, d'importants besoins médicaux non satisfaits subsisteraient.

Alzheimer Europe réitère donc son appel à un investissement soutenu dans la recherche, y compris pour les thérapies symptomatiques et les traitements destinés aux personnes atteintes de différentes maladies apparentées à la maladie d'Alzheimer et à des stades plus avancés. En se tournant vers l'avenir, l'organisation a bon espoir qu'un spectre plus large de pathologies et de stades d'avancement de la maladie pourra, grâce aux progrès réguliers de la recherche, bénéficier de traitements plus efficaces, plus accessibles et plus abordables.

A mesure que les thérapies s'améliorent et que des traitements modificateurs de la maladie sont développés pour les maladies apparentées à la maladie d'Alzheimer, une plus grande part du coût de ces maladies, actuellement supporté par les patients et les aidants familiaux, pourrait progressivement être transférée vers le système de santé. À l'avenir, Alzheimer Europe espère que les nouveaux traitements, en plus de bénéficier aux patients, réduiront l'impact de la maladie sur la santé, l'emploi et le bien-être des membres de la famille et des proches aidants.

Alzheimer Europe reste attachée à une approche globale de la maladie d'Alzheimer et des maladies apparentées, où les nouveaux traitements innovants sont associés à l'accompagnement psychologique, au soutien et aux soins adéquats pour les personnes touchées et leurs aidants tout au long de l'évolution de la maladie.

Bien que cette prise de position se concentre sur les traitements médicamenteux, il ne faut pas oublier que les coûts des soins informels liés à ces pathologies sont estimés à près de 170 milliards d'euros par an dans l'Union Européenne, et que les professionnels de la santé et du secteur médico-social sont déjà soumis à une forte pression. Il est urgent d'investir massivement dans tous les secteurs, à la fois pour accompagner les personnes touchées aujourd'hui et pour anticiper les besoins d'une population croissante et vieillissante dans les années à venir. L'organisation exhorte donc les gouvernements partout en Europe à investir des fonds supplémentaires dans la recherche ainsi que dans les systèmes de santé et d'action sociale, afin de répondre à l'ampleur de ce défi.

Cette prise de position a été adoptée par le conseil d'administration d'Alzheimer Europe le 4 mai 2026.

Déclaration d'intérêts : Alzheimer Europe a enregistré des revenus audités de 3 142 316 euros en 2025. Le soutien financier accordé en 2025 par les laboratoires développant le lecanemab et le donanemab s'est élevé à 90 000 euros (Lilly), 37 500 euros (Biogen) et 35 000 euros (Lilly), soit 5,17% des revenus de l'organisation en 2025. Le soutien financier des laboratoires pharmaceutiques n'est accepté que dans le respect des directives de financement de l'organisation et, conformément aux critères de l'Agence européenne des médicaments pour les associations de patients, fait l'objet d'une déclaration en toute transparence sur le site Internet d'Alzheimer Europe :

<https://www.alzheimer-europe.org/about-us/governance/finances/alzheimer-europe-sponsors>

Alzheimer Europe a.s.b.l. 5 Heienhaff, L-1736 Senningerberg ·

Tel. +352 29 79 70 · Fax +352 29 79 72

info@alzheimer-europe.org · www.alzheimer-europe.org

R.C.S. LUXEMBOURG F2773 — EU TRANSPARENCY REGISTER NUMBER: 37399753690-65