NEUROFIBROMATOSE BELGIQUE ASSOCIATION



Mars 2026

Koselugo - Gomekli

Notre combat face à la maladie !
Le combat des firmes pharmaceutiques contre l'État !

Vivre avec une maladie rare, c'est souvent devoir monter sur le ring chaque jour. Enfiler ses gants... et se préparer au combat.

Le premier adversaire est bien sûr la maladie elle-même. Mais elle n'est pas seule : il faut aussi affronter la méconnaissance de la pathologie par certains professionnels de santé, les obstacles administratifs, ou encore des décisions difficiles à comprendre, comme le refus de remboursement d'un médicament par l'INAMI — en l'occurrence le Koselugo.

Pendant ce temps, les firmes pharmaceutiques poursuivent elles aussi leur combat : celui de la recherche et du développement de nouveaux traitements.

Dans cette newsletter, nous avons choisi de vous présenter deux traitements prometteurs pour la neurofibromatose (NF). À notre connaissance, ce sont actuellement les seuls traitements ciblés disponibles pour cette pathologie — mais ils ne sont malheureusement pas encore commercialisés en Belgique.





Les traitements ciblés : Koselugo et Gomekli

Mécanisme : inhibiteur sélectif MEK1/2, bloquant la voie RAS/MAPK impliquée dans la croissance tumorale.

Indication : NF1 avec PN symptomatiques inopérables.

Population : initialement enfants j 3 ans, extension adulte approuvée en 2025.

Mécanisme : inhibiteur MEK1/2, similaire à Koselugo.

Indication : NF1 avec PN symptomatiques inopérables.

Population : enfants j 2 ans et adultes (approbation 2025).





Données cliniques : essai KOMET phase 3 montre un taux de réponse objectif (ORR) de 20 % chez l'adulte vs 5 % placebo, avec une durée de réponse prolongée chez 86 % des répondants.

Approvals : Europe et États-Unis, enfants et adultes (depuis 2025).

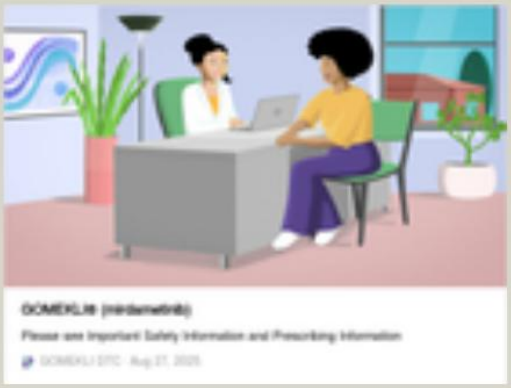
Données cliniques : essai ReNeu phase 2b, ORR ~52 % enfants, ~41 % adultes.

Approvals : Europe (Ezmekly) et FDA 2025 pour enfants et adultes.

Koselugo
(selumetinib)
10 mg & 25 mg capsules
5 mg & 7.5 mg oral granules

GOMEKLI®
(mirdametinib)
1 mg tablets for oral suspension
1 mg and 2 mg capsules

Situation Belgique 2025 : Koselugo n'est pas inscrit sur la liste standard de remboursement INAMI, nécessitant autorisation préalable ou accès dérogatoire. (inami.fgov.be)



Ce site est destiné exclusivement au public américain.

Situation France : accès via autorisation d'accès précoce ou post-AMM, possibilité de prise en charge hospitalière spécialisée. (has-sante.fr)





Comparatif Koselugo vs Gomekli

Critère	Koselugo (sélumétinib)	Gomekli (mirdametinib)
Mécanisme	MEK1/2 inhibiteur	MEK1/2 inhibiteur
Population	Enfants ≥ 3 ans, adultes (2025)	Enfants ≥ 2 ans + adultes
Essai clé	KOMET phase 3 (randomisé vs placebo)	ReNeu phase 2b (non comparatif)
ORR adultes	~20 % vs 5 % placebo	~41 %
ORR enfants	~40 % (données historiques)	~52 %
Approbation adulte	2025	2025
Accès en Belgique	Pas de remboursement standard INAMI	Pas encore évalué publiquement
Accès en France	Autorisation accès précoce / post-AMM	Autorisation accès précoce / post-AMM

Points clés :

Koselugo est le traitement historique, avec un essai randomisé solide. Gomekli offre une option élargie, incluant jeunes enfants et adultes. Aucun essai direct ne permet de déterminer la supériorité d'un médicament sur l'autre.

Effets secondaires courants ⚠️

Rash cutané, diarrhée, nausées, fatigue.
Surveillance hépatique et cardiaque recommandée.
Tolérance individuelle variable, suivi en centre expert recommandé.

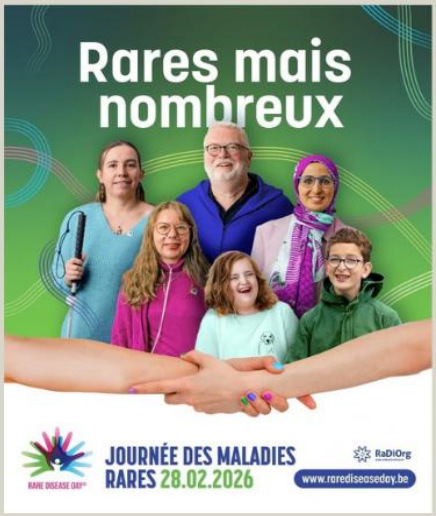
📌 Conclusion :
Les inhibiteurs MEK représentent une avancée majeure pour la NF1 avec PN inopérables.

France : accès possible via autorisations préalables ou hospitalières.
Belgique : Koselugo non remboursé par INAMI en 2025, accès via autorisation spéciale.

Choix du traitement : dépend du profil du patient, de l'âge, des disponibilités et du suivi médical.

📄 Sources
EMA - Koselugo AMM : ema.europa.eu
Recommandations CHMP 2025 : ema.europa.eu
HAS France, accès précoce : has-sante.fr
INAMI Belgique, liste de remboursement : inami.fgov.be
FDA Koselugo adultes : fda.gov
Gomekli FDA / ReNeu : ceuticon.com

Nous y étions !







Le vendredi 06 mars, Carla Favero et Jérôme Van Quaethem étaient présents au CHU Liège Sart Tilman – Verrière (Hall d'entrée) dans le cadre de la journée des maladies rares .
Ils remercient les personnes qui se sont arrêtées au stand et les organisateurs.

Prochainement dans nos newsletter…





💛 *Vous pouvez les soutenir et parrainer leur effort pour aider notre association à financer ses projets : chaque don compte ! Pour faire un don :*
Neurofibromatose Belgique Association
💳 *IBAN : BE56.1030.4344.8388*
Avec pour communication : DON en soutien à xx + votre numéro de registre national

Les nouveaux flyers sont arrivés !!



Neurofibromatose
Belgique
Association

La neurofibromatose est une maladie génétique rare qui affecte le système nerveux. Elle se caractérise par l'apparition de tumeurs bénignes appelées neurofibromes, qui se développent le long des nerfs. Généralement caractérisée par plusieurs taches café au lait, elle peut également provoquer des des troubles visuels et auditifs, des lésions osseuses, une scoliose, divers problèmes neurologiques, des douleurs ou des difficultés d'apprentissage.

Il existe plusieurs formes de neurofibromatose, dont la plus fréquente est la neurofibromatose de type 1 (NF1) - modification du chromosome 17.

La neurofibromatose n'est pas contagieuse, mais peut être héréditaire et son évolution varie fortement d'une personne à l'autre.

L'association a pour but de :
- Sensibiliser le grand public à la maladie, la neurofibromatose, en vue d'inclure plus facilement dans la société les personnes qui en sont atteintes. - Sensibiliser le monde (para)médical à la neurofibromatose afin que ce dernier ait les connaissances de base lorsqu'il se trouve en contact avec une personne atteinte de cette pathologie. Les buts sont au nombre de deux et sont tous les deux gérés par l'Organe d'Administration.



Neurofibromatose Belgique Asbl
Avenue des Magnolias,2
1342 Limelette
Email : info@nfbelgique.be
http://www.nfbelgique.be
N° d'entreprise : 654.993.587

Si vous désirez effectuer un don :
BE56.1030.4344.8388
(Déductible fiscalement jusqu'au 31.12.2031)

Prenez soin de vous!
à très bientôt...

