



16ème législature

Question N° : 10177	De Mme Josiane Corneloup (Les Républicains - Saône-et-Loire)	Question écrite
Ministère interrogé > Santé et prévention		Ministère attributaire > Santé et prévention
Rubrique >maladies	Tête d'analyse >Myélome multiple	Analyse > Myélome multiple.
Question publiée au JO le : 18/07/2023 Réponse publiée au JO le : 26/09/2023 page : 8595 Date de changement d'attribution : 21/07/2023		

Texte de la question

Mme Josiane Corneloup interroge M. le ministre de la santé et de la prévention sur les malades du myélome multiple actuellement en échec thérapeutique. Il y a quelques mois, l'arrivée des traitements CAR-T cells et bispécifiques a révolutionné l'offre de soins des malades réfractaires aux traitements actuels. Or la décision de l'Haute Autorité de santé (HAS) d'attribuer une ASMR 5 (Amélioration du service médical rendu) à des traitements innovants a constitué un retour en arrière préjudiciable, avec pour conséquence l'arrêt du processus de fixation des prix et l'arrêt de l'accès précoce pourtant précédemment autorisé. À titre d'exemple, pour le CAR-T cells Carvykti du laboratoire Janssen, sur les 60 malades prévus seulement 15 vont pouvoir bénéficier dudit traitement, privant ainsi les autres malades de réelles chances de survie. Pour le bispécifique Tecvayli du même laboratoire, ce sont 500 malades qui ne pourront pas recevoir le traitement. La position de la commission de la transparence de la HAS justifie sa décision par l'absence d'une étude comparative de classe 3, mais il s'agit de patients en quatrième ligne de traitement qui n'ont plus le temps d'attendre et pour lesquels l'espoir d'une nouvelle rémission ne peut venir que des innovations les plus récentes. Les familles sont aujourd'hui dans l'incompréhension et vivent cette situation comme une injustice. Elle lui demande donc quelles mesures il entend prendre pour mettre un terme à cette situation.

Texte de la réponse

Les spécialités ABECMA® (idecabtagene vicleucel), CARVYKTI® (ciltacabtagene autoleucel) et TECVAYLI® (teclistamab) ont bénéficié d'autorisations de mise sur le marché (AMM) conditionnelles délivrées par la Commission européenne à un stade précoce de leur développement. Ces trois spécialités ont fait l'objet après l'octroi de leurs AMM, d'autorisations d'accès précoce par la Haute autorité de santé (HAS) sur la base de la reconnaissance d'une présomption d'innovation en l'absence de traitements appropriés, qui ont permis aux patients français, dans des centres spécialisés, de bénéficier de ces traitements de façon anticipée. Lors de l'évaluation de ces spécialités en vue de leur inscription au remboursement, la Commission de la Transparence de la HAS n'a pas été en capacité, faute de données cliniques suffisantes compte tenu du stade précoce de leur développement, de leur reconnaître une amélioration du service médical rendu (ASMR V). Pour mieux répondre aux enjeux d'accès au marché de médicaments à un stade précoce de leur développement, la commission de la transparence de la HAS a fait évoluer sa doctrine en février 2023. La nouvelle approche proposée repose sur un équilibre entre développement clinique accéléré et maîtrise du niveau d'incertitudes au bénéfice des patients. Si, pour démontrer la preuve de l'efficacité d'un médicament, l'essai randomisé en double aveugle reste le standard, donc à privilégier, la HAS introduit la possibilité d'intégrer des données moins consolidées à condition qu'elles permettent la comparaison avec les traitements disponibles. En effet, seule la comparaison permet de se prononcer sur la valeur

ajoutée d'un nouveau traitement. L'objectif est de permettre l'accès au remboursement de produits immatures, tout en maintenant un niveau d'exigence de qualité acceptable. L'utilisation de ces trois médicaments étant limitée au milieu hospitalier, l'octroi d'un niveau d'ASMR V par rapport à des comparateurs non-inscrits sur la liste des spécialités prises en charge en sus des prestations d'hospitalisation ne permet pas leur inscription sur cette même liste. Ces traitements font donc l'objet d'une prise en charge par la solidarité nationale au travers de leur accès précoce puis devraient bénéficier d'un financement au sein des groupes homogènes de séjour au regard de leur évaluation par la commission de la Transparence. La prise en charge dans le droit commun de ces spécialités par l'Assurance maladie au travers de la liste en sus requiert en effet une démonstration de leur plus-value clinique. Elle n'a, en l'état actuel des données déposées par les industriels, pas pu être démontrée. S'agissant d'ABECMA®, une réévaluation ASMR a abouti en juin 2023 à un avis favorable de la HAS au remboursement dans le « traitement des patients adultes atteints d'un myélome multiple en rechute et réfractaire ayant reçu au moins trois traitements antérieurs, incluant un agent immunomodulateur, un inhibiteur de protéasome et un anticorps anti CD38, et dont la maladie a progressé pendant le dernier traitement ». Un progrès dans la stratégie de prise en charge a été noté. Pour ce qui concerne CARVYKTI®, le laboratoire a fait le choix de retirer sa demande de prise en charge dans le cadre du droit commun. Une étude complémentaire de phase 3 devrait néanmoins être présentée. L'autorisation d'accès précoce de la spécialité TECVAYLI® quant à elle, est toujours en cours. Enfin, il faut relever que la spécialité ELRANANTAMAB PFIZER® (elranantamab), dont l'instruction de l'AMM européenne est en cours, est d'ores et déjà accessible aux patients français sur la base d'une autorisation d'accès précoce que la HAS a accordée le 2 février 2023 à la demande du laboratoire. Dans le cadre de France 2030, le volet Biothérapies et Bioproduction de thérapies innovantes des programmes et équipements prioritaires de recherche (PEPR) répond enfin à l'enjeu de développement de ce type de thérapie.