



## 16ème législature

<b>Question N° :</b> <b>10418</b>	<b>De M. Timothée Houssin ( Rassemblement National - Eure )</b>	<b>Question écrite</b>
<b>Ministère interrogé &gt; Santé et prévention</b>		<b>Ministère attributaire &gt; Santé et prévention</b>
<b>Rubrique &gt;maladies</b>	<b>Tête d'analyse</b> >Traitements du myélome multiple	<b>Analyse &gt; Traitements du myélome multiple.</b>
Question publiée au JO le : <b>25/07/2023</b> Réponse publiée au JO le : <b>26/09/2023</b> page : <b>8595</b> Date de changement d'attribution : <b>21/07/2023</b>		

### Texte de la question

M. Timothée Houssin appelle l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention sur les traitements du myélome multiple. Cette maladie est reconnue pour sa gravité et sa difficulté à être soignée, mais ces dernières années de nombreux nouveaux traitements sont apparus et offrent aux patients la possibilité d'obtenir une rémission prolongée et une meilleure qualité de vie. C'est le cas notamment de CAR-T cells et de CARVYKTI, qui sont très prometteurs pour soulager les patients en échec avec les thérapies actuelles. Cependant, alors que la Haute Autorité de santé (HAS) émettait un avis favorable à ces traitements, ces derniers se sont vu attribuer, seulement quelques semaines plus tard, le statut d'ASMR V. Ce statut d'ASMR V indique que l'« amélioration de service médical rendu » est jugé inexistant. Par conséquent, l'accès précoce à ce médicament est interrompu et le processus de fixation des prix remboursables par la sécurité sociale est également arrêté. Ces décisions paraissent incompréhensibles pour les patients et il semble y avoir un écart entre l'avis favorable initial émis par la HAS et la décision ultérieure d'attribuer un statut d'ASMR V. Ces traitements représentaient de grands espoirs pour les patients atteints de myélome multiple. M. le député demande à M. le ministre quelles sont les causes d'un changement d'avis si brutal de la HAS. De plus, au vu de la situation critique à laquelle sont confrontés les malades du myélome, il suggère une réévaluation des critères ASMR attribués aux traitements, qui semblent incohérent par rapport aux résultats obtenus. Enfin, il aimerait connaître la stratégie du Gouvernement sur l'accompagnement des personnes atteintes de cette maladie rare.

### 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.