

16ème législature

| | | |
|--|--|---|
| Question N° : 6149 | De M. Didier Lemaire (Horizons et apparentés - Haut-Rhin) | Question écrite |
| Ministère interrogé > Santé et prévention | | Ministère attributaire > Santé et prévention |
| Rubrique > pharmacie et médicaments | Tête d'analyse > Myélome multiple - traitement et ASMR de la HAS | Analyse > Myélome multiple - traitement et ASMR de la HAS. |
| Question publiée au JO le : 07/03/2023 Réponse publiée au JO le : 27/06/2023 page : 5899 | | |

Texte de la question

M. Didier Lemaire interroge M. le ministre de la santé et de la prévention sur le myélome multiple. Ce cancer de la moelle osseuse atteint 5400 personnes chaque année en France et il n'y a à l'heure actuelle pas de traitement permettant la guérison. En France, les traitements proposés aux malades atteints du myélome ont beaucoup évolué ces dernières années. Aussi, si la vie de la majorité des malades s'est considérablement améliorée, il en reste certains confrontés à une forme agressive de la maladie, en échec thérapeutique, déclarés réfractaires après administration des traitements actuellement autorisés. Leur seul espoir est de pouvoir accéder aux toutes dernières innovations tels que le Car-t Cells ou aux anticorps bispécifiques. Aujourd'hui, la commission de la transparence de la Haute Autorité de santé évalue l'amélioration du service médical rendu (ASMR) en comparant les résultats obtenus par le nouveau traitement avec d'un groupe de malades soignés avec le traitement standard en vigueur (le bras comparateur). Cependant, l'absence de bras comparateur (ce qui est le cas pour les malades dont la maladie continue à progresser, ayant eu au moins trois lignes de traitements, en échec thérapeutique donc ayant épuisé tous les autres traitements) conduit à la CT à déclarer - systématiquement et quels que soient les résultats scientifiques présentés - que le nouveau médicament n'apporte pas d'ASMR. Ce faisant, la HAS empêche le remboursement du médicament par la sécurité sociale et, *in fine*, son utilisation par les centres hospitaliers et donc condamne les malades à un décès dans un délai très court. C'est pourquoi il aimerait savoir si le Gouvernement envisage de permettre à la HAS d'assouplir les conditions d'examen des médicaments liés à cette maladie spécifiquement et, si oui, dans quel délai.

Texte de la réponse

En premier lieu, il faut relever que 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 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, recherchant l'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 requière 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. Ces difficultés ont été identifiées par mes services qui s'emploient à trouver des solutions qui doivent répondre aux différents enjeux de sécurité et d'intérêt thérapeutique pour le patient et de soutenabilité pour la solidarité nationale. S'agissant d'ABECMA®, l'autorisation d'accès précoce a été renouvelée et ce médicament continue de bénéficier d'une prise en charge dans ce cadre, dans l'attente de sa réévaluation prochaine par la Commission de la Transparence sur la base des données complètes attendues dans le cadre de l'AMM conditionnelle. 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. 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 accordé le 2 février 2023 à la demande du laboratoire.