



16ème législature

Question N° : 6793	De M. Jean-Michel Jacques (Renaissance - Morbihan)	Question écrite
Ministère interrogé > Santé et prévention		Ministère attributaire > Santé et prévention
Rubrique > pharmacie et médicaments	Tête d'analyse > Situation des malades atteints du myélome multiple	Analyse > Situation des malades atteints du myélome multiple.
Question publiée au JO le : 28/03/2023 Réponse publiée au JO le : 27/06/2023 page : 5899		

Texte de la question

M. Jean-Michel Jacques attire l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention sur la situation des malades atteints du myélome multiple, qui représente environ 5 000 nouveaux cas chaque année en France. Aussi appelé cancer de la moelle osseuse, le myélome multiple est une hémopathie maligne qui se caractérise par une prolifération excessive de globules blancs anormaux, dits « plasmocytes », dans la moelle osseuse. Cette accumulation de cellules forme ainsi une tumeur intra-osseuse dont les conséquences altèrent profondément la qualité de vie, engendrant notamment une douleur persistante et souvent intense dans les os ainsi qu'un risque accru de fractures osseuses. Dans la plupart des cas, le myélome multiple est une maladie qui tend à devenir chronique avec la succession de plusieurs phases de rémissions et de rechutes. Ces dernières années, les autorisations délivrées par l'Agence européenne du médicament pour la mise sur le marché de nouveaux traitements innovants de la famille des thérapies par cellules CAR-T ont généré un véritable espoir chez les médecins et patients, particulièrement ceux dont la maladie est à un stade avancé et ceux dans une situation d'échec thérapeutique. Aujourd'hui, il semblerait que, en France, ces avancées soient freinées par les décisions rendues par la Commission de la transparence de la Haute Autorité de santé (HAS), estimant d'après sa doctrine d'évaluation du médicament que l'efficacité du produit n'est pas démontrée. Les patients concernés seraient potentiellement donc privés de cette nouvelle forme d'immunothérapie faute de l'absence d'étude d'un groupe témoin de malades soignés avec un autre traitement. Aussi, il lui demande quelles sont les mesures envisagées par le Gouvernement afin de permettre aux patients français de bénéficier de ces traitements novateurs du cancer de la moelle osseuse.

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.