



16ème législature

Question N° : 6794	De Mme Hélène Laporte (Rassemblement National - Lot-et-Garonne)	Question écrite
Ministère interrogé > Santé et prévention		Ministère attributaire > Santé et prévention
Rubrique > pharmacie et médicaments	Tête d'analyse >Traitements contre le myélome multiple	Analyse > Traitements contre le myélome multiple.
Question publiée au JO le : 28/03/2023 Réponse publiée au JO le : 27/06/2023 page : 5899		

Texte de la question

Mme Hélène Laporte attire l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention sur la situation des personnes atteintes de myélome multiple. Cancer de la moelle à l'issue souvent fatale, le myélome multiple affecte environ 30 000 personnes en France, avec 5 400 nouveaux malades chaque année. Ces dernières années ont connu une évolution notable des traitements proposés à ces patients. Ainsi, si la maladie demeure incurable, de nombreux médicaments innovants ont permis de prolonger et d'améliorer considérablement la vie des malades. Malheureusement, des malades du myélome, confrontés à une forme agressive de la maladie et en échec thérapeutique, sont déclarés réfractaires après administration des traitements actuellement autorisés. Pour rester en vie, leur seul espoir est de pouvoir accéder aux toutes dernières innovations : Car-t Cells et anticorps bispécifiques, qui représentent pour eux le seul espoir de rémission, le plus souvent dans des conditions de vie tout à fait acceptables. Pourtant, sur ces derniers traitements, la Haute Autorité de santé a fait le choix d'appliquer une doctrine que l'association française des malades du myélome multiple qualifie de dépassée. En effet, la HAS a estimé que les traitements de ces familles nécessitaient un encadrement spécifique, limitant leur usage pour les patients. Leur classement au plus mauvais niveau d'amélioration du service médical rendu a concrètement pour conséquence d'empêcher le remboursement du médicament par la sécurité sociale et *in fine* son utilisation par les centres hospitaliers. Dans ces conditions, des malades du myélome multiple se retrouvent privés d'un traitement vital. Dans ce contexte qui rend nécessaire une évolution de la réglementation sur cette famille de médicaments, elle souhaite connaître l'orientation de son ministère sur cette question.

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.