

## 16ème législature

<b>Question N° :</b> <b>6795</b>	<b>De M. Bertrand Sorre ( Renaissance - Manche )</b>	<b>Question écrite</b>
<b>Ministère interrogé &gt; Santé et prévention</b>		<b>Ministère attributaire &gt; Santé et prévention</b>
<b>Rubrique &gt; pharmacie et médicaments</b>	<b>Tête d'analyse &gt; Traitements innovants pour la maladie du myélome multiple</b>	<b>Analyse &gt; Traitements innovants pour la maladie du myélome multiple.</b>
Question publiée au JO le : <b>28/03/2023</b> Réponse publiée au JO le : <b>27/06/2023</b> page : <b>5899</b>		

### Texte de la question

M. Bertrand Sorre attire l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention sur l'accès aux médicaments innovants pour les malades atteints du myélome multiple. À ce jour il n'existe pas de traitement permettant la guérison de ce cancer (plus de 5 400 nouveaux cas par an), bien que les traitements proposés aux malades du pays aient beaucoup évolué ces dernières années. L'accès aux dernières innovations, tels que les Car-t Cells ou les anticorps bispécifiques, constituent un grand espoir pour la communauté scientifique et pour les malades déclarés réfractaires aux traitements actuels et pour ceux en rechute ou en stade très avancé de la maladie. L'accès à ces traitements innovants constitue leur seul espoir. En raison des règles d'évaluation des médicaments innovants, la Haute autorité de santé, en charge de ces évaluations, considère que ces nouveaux médicaments n'apportent pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR), ce qui a pour conséquence la fin du remboursement de ces médicaments et par conséquent la fin de leur utilisation en milieu hospitalier. Il souhaite donc connaître les mesures envisagées par le Gouvernement, afin de rendre ces traitements disponibles pour le plus grand nombre de malades du myélome multiple et permettre de prolonger significativement la vie de ces patients.

### 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.