

16ème législature

Question N° : 7397	De M. Gérard Leseul (Socialistes et apparentés (membre de l'intergroupe NUPES) - Seine-Maritime)	Question écrite
Ministère interrogé > Santé et prévention		Ministère attributaire > Santé et prévention
Rubrique > pharmacie et médicaments	Tête d'analyse > Traitement des patients atteints de myélome multiple en échec thérapeutique	Analyse > Traitement des patients atteints de myélome multiple en échec thérapeutique.
Question publiée au JO le : 18/04/2023 Réponse publiée au JO le : 27/06/2023 page : 5899		

Texte de la question

M. Gérard Leseul appelle l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention au sujet des autorisations émises par la HAS sur les médicaments CAR-T Cells utilisés dans le traitement des patients atteints de myélome multiple en échec thérapeutique. Ces médicaments sont extrêmement coûteux, très personnalisés et ne peuvent être administrés que dans des unités habilitées à le faire. Ils représentent cependant le dernier espoir d'un nombre restreint de patients atteints du myélome multiple, pour qui ce traitement est vital. La HAS a autorisé, à titre anticipé, l'administration de ce traitement pour des patients en échecs thérapeutique après trois lignes de traitement. Cependant, ces autorisations sont encore dérogatoires, car ces médicaments de dernière génération n'ont pas reçu l'aval de la HAS. En effet, ils reçoivent systématiquement une ASMR 5. Cela tient au fait qu'il est impossible de mener un comparatif entre des patients recevant le traitement habituel dans le cadre du myélome et des patients traités par CAR-T Cells dans la mesure où ce traitement n'intervient qu'en cas d'échec de tous les autres traitements employés habituellement, sur des patients dont la maladie a continué d'évoluer au cours de la prise en charge. Il est donc impossible de disposer d'un « bras comparateur » dans ces évaluations, d'où l'attribution systématique de cet ASMR-5, qui a pour effets majeurs d'une part de conditionner au renouvellement de l'autorisation par la HAS le traitement des patients et d'autre part d'empêcher l'ouverture d'une prise en charge de ces traitements par la sécurité sociale. Or les patients n'ont la plupart du temps pas les moyens d'avancer les sommes nécessaires. Au vu du très petit nombre de patients concernés (on estime actuellement à 30 000 personnes le nombre de personnes souffrant d'un myélome multiple et à 5 400 le nombre de nouveaux patients chaque année, sachant que tous n'ont pas besoin de recourir aux Car-T Cells) et en prenant en compte l'existence d'études scientifiques et d'essais cliniques, notamment ceux de l'Intergroupe francophone sur le myélome (IFM) prouvant l'utilité de ces médicaments dans le traitement de cette pathologie, il souhaiterait savoir pourquoi la continuité des soins et l'accès à ces traitements ne sont pas garantis aux patients qui en dépendent.

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.