



# ASSEMBLÉE NATIONALE

## 15ème législature

### Traitement maladies rares (myélome)

Question écrite n° 44846

#### Texte de la question

M. Pierre Cabaré attire l'attention de M. le ministre des solidarités et de la santé sur un très grand risque que personne et surtout pas le haut responsable politique qu'il est, ne souhaite courir. Chaque jour, l'importance de développer l'innovation, ainsi qu'une recherche médicale de pointe, est mise en avant. C'est la fierté de la France. Le myélome multiple est un cancer dont on ne guérit pas encore, mais ces 20 dernières années, des progrès thérapeutiques considérables ont été effectués. La France s'est trouvée pleinement impliquée dans cette dynamique porteuse d'espoir pour les malades et leurs familles. Les patients ont la chance d'avoir toute une génération d'hématologues et de chercheurs reconnus internationalement, qui ont consacré toute leur énergie pour proposer aux malades de nouveaux traitements dans les grands centres hospitaliers du territoire. Et c'est ainsi que l'espérance de vie des malades du myélome a été considérablement augmentée. Malgré ces avancées, il y a toujours des malades pour qui les traitements actuels n'opèrent plus et pour qui les perspectives de survie ne peuvent venir que de l'innovation. À cet égard, après avoir été proposé à un nombre restreint de patients dans le cadre d'essais thérapeutiques, un traitement de thérapie cellulaire (*Car-t cells ABECMA*) est désormais disponible pour un plus grand nombre de ces malades, à travers la procédure récente dite « d'accès précoce aux médicaments ». Pour une très grande majorité des malades traités, la progression du myélome est ainsi stoppée. Ils sont de nouveau en rémission et retrouvent une bien meilleure qualité de vie. Le laboratoire qui propose ce traitement a poursuivi les démarches administratives en soumettant ce protocole à la commission de la transparence de la Haute Autorité de santé (HAS). Cette dernière a émis son avis en décembre 2021 : elle estime que ce traitement n'apporte pas d'amélioration au service médical rendu (ASMR). En effet, cette commission ne s'appuie pas sur les résultats pourtant exceptionnels observés dans l'essai clinique, mais sur le fait qu'elle ne peut pas appliquer sa « doctrine d'évaluation du médicament », du fait de l'absence d'un groupe témoin de malades ayant bénéficié d'un autre traitement (bras comparateur). Cet avis, si M. le ministre le suivait, aurait fatalement pour conséquence immédiate l'arrêt de la prise en charge par l'assurance maladie et, par conséquent, l'arrêt de l'administration d'ABECMA aux malades concernés. L'Association française des malades du myélome multiple (AF3M), seule association française représentant les malades et leurs proches, ne peut accepter que la vie de patients soit mise en danger à cause du fait que cette instance chargée de l'évaluation du médicament utilise une méthodologie dont toute la communauté médicale convient qu'elle n'est plus adaptée à la spécificité des médicaments innovants d'aujourd'hui. En effet, comment pourrait-t-on exiger d'avoir un groupe comparateur pour un traitement proposé à des malades dont la seule autre « option » serait le décès ? En tant qu'acteur politique concerné comme tout un chacun par la santé publique, M. le député ne peut qu'être inquiet de cette situation administrative qui, en plus de priver des malades et des familles d'un réel espoir, aboutirait, à terme, à interdire aux malades français (pas seulement du myélome) d'accéder aux avancées médicales les plus innovantes. Le risque que l'on encoure serait que les laboratoires mettent en œuvre dans d'autres pays leurs essais thérapeutiques et que la France perde ainsi l'expertise et l'excellence acquises dans ce domaine. Les responsables de l'AF3M sont toujours dans l'attente d'un rendez-vous avec la HAS, mais a priori, M. le ministre serait sur le point de les recevoir prochainement au ministère, afin d'entendre le point de vue des malades et de leurs familles, dont ils sont les représentants en première ligne. Il souhaite donc savoir s'il a l'intention, malgré l'avis défavorable de la commission de la transparence de la HAS, de valider le protocole de traitement de thérapie cellulaire (*Car-t cells ABECMA*) du cancer du myélome multiple et donc sa prise en

charge par l'assurance maladie.

## Données clés

**Auteur :** [M. Pierre Cabaré](#)

**Circonscription :** Haute-Garonne (1<sup>re</sup> circonscription) - La République en Marche

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 44846

**Rubrique :** Pharmacie et médicaments

**Ministère interrogé :** [Solidarités et santé](#)

**Ministère attributaire :** [Santé et prévention](#)

## Date(s) clé(s)

**Question publiée au JO le :** [15 mars 2022](#), page 1679

**Question retirée le :** 21 juin 2022 (Fin de mandat)