



ASSEMBLÉE NATIONALE

16ème législature

Prise en charge du myélome multiple

Question écrite n° 6151

Texte de la question

Mme Charlotte Goetschy-Bolognese attire l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention sur la délivrance de certains médicaments pour traiter le myélome multiple. Le myélome multiple se manifeste quand il y a une accumulation de nombreux plasmocytes anormaux (cellules myélomateuses) dans la moelle osseuse. Cela empêche les autres cellules sanguines de la moelle de se développer normalement et de faire leur travail habituel. L'accumulation de cellules myélomateuses peut causer de l'anémie et de la fatigue puisqu'il y a moins de globules rouges. C'est une maladie rare, qui touche, chaque année près de 5 400 nouvelles personnes. On estime que 30 000 personnes en sont aujourd'hui affectées en France. L'Agence européenne du médicament a délivré ces dernières années des autorisations de mise sur le marché en Europe d'un certain nombre de nouveaux médicaments, suscitant un nouvel espoir chez les malades et notamment chez ceux en échec thérapeutique. À l'heure actuelle, la délivrance de ces nouveaux médicaments est bloquée par la Haute Autorité de santé (HAS), laissant les patients dans l'incompréhension. Aussi, elle souhaiterait connaître les intentions du Gouvernement quant à la suite à donner au traitement thérapeutique du myélome multiple.

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.

Données clés

Auteur : [Mme Charlotte Goetschy-Bolognese](#)

Circonscription : Haut-Rhin (5^e circonscription) - Renaissance

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 6151

Rubrique : Pharmacie et médicaments

Ministère interrogé : Santé et prévention

Ministère attributaire : Santé et prévention

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [7 mars 2023](#), page 2124

Réponse publiée au JO le : [27 juin 2023](#), page 5899