



ASSEMBLÉE NATIONALE

16ème législature

Accessibilité des traitements innovants contre le myélome multiple

Question écrite n° 6575

Texte de la question

Mme Danielle Brulebois attire l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention sur les traitements du myélome multiple, maladie rare dont souffrent 30 000 personnes environ en France. En effet, la délivrance par l'Agence européenne des médicaments d'autorisations de mise sur le marché en Europe pour plusieurs nouveaux médicaments innovants de la catégorie des CAR-T cells et des bispécifiques (Abecma, Teclistamab, Elranatamab, Talquetamab) a fait naître dans la communauté scientifique et chez les patients un véritable espoir. Ils représentent une avancée majeure dans le traitement du myélome, jamais vue ni même envisagée dans ce cancer de la moelle osseuse. Or la Haute Autorité de santé (HAS), qui est en charge de l'évaluation de ces médicaments innovants, a procédé à l'interdiction d'accès à plusieurs nouveaux anticancéreux. La HAS vient récemment de revoir sa doctrine d'évaluation des nouveaux médicaments. Le seul point nouveau est l'acceptation d'une exception à ce dogme des essais randomisés, lorsque le produit donne des résultats extraordinaires chez des patients en situation d'impasse thérapeutique. C'est le cas pour ces nouveaux médicaments. Elle souhaite donc connaître les mesures envisagées par le Gouvernement afin de rendre désormais disponibles ces traitements dont on sait qu'ils seraient de nature à prolonger très significativement la vie des patients et, par ailleurs, à leur garantir la continuité des soins.

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 Danielle Brulebois](#)

Circonscription : Jura (1^{re} circonscription) - Renaissance

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 6575

Rubrique : Pharmacie et médicaments

Ministère interrogé : Santé et prévention

Ministère attributaire : Santé et prévention

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [21 mars 2023](#), page 2583

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