ASSEMBLÉE NATIONALE

16ème législature

Traitement contre le cancer du myélome.

Question écrite n° 7587

Texte de la question

M. Thierry Benoit appelle l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention sur les traitements existants du cancer du myélome. Le myélome multiple est le cancer de la moelle osseuse. 5 400 nouvelles personnes sont atteintes chaque année en France. À ce jour, il n'existe pas de traitement permettant la guérison. L'Association française des maladies du myélome multiple (af3m) a été créée en 2007. Association de malades et d'aidants, elle est forte aujourd'hui de 2 800 adhérents et de 4 200 donateurs. Elle a comme missions essentielles d'informer et soutenir les malades et leurs proches, de les représenter auprès des autorités, mais aussi de défendre les droits des malades. Les traitements proposés aux malades français atteints du myélome ont beaucoup évolué depuis quelques années. Si on ne peut pas encore parler de guérison, la vie des malades s'est considérablement améliorée et ces derniers peuvent désormais espérer vivre longtemps malgré leur myélome, grâce à l'apparition de nombreux médicaments innovants. Il y a malheureusement des malades du myélome confrontés à une forme agressive de la maladie, en échec thérapeutique, déclarés réfractaires après administration des traitements actuellement autorisés. Pour rester en vie, leur seul espoir est de pouvoir accéder aux toutes dernières innovations. Pour des centaines de malades, l'accès aux Car-t Cells ou aux anticorps bispécifiques constitue le retour de l'espoir, avec la perspective de bénéficier de longs mois de rémission, le plus souvent dans des conditions de vie tout à fait acceptables. Aujourd'hui, en 2023, cet accès à l'innovation et à l'espoir qui en découle, sont remis en cause par la commission de la transparence (CT) de la Haute Autorité de santé (HAS), qui applique, sans discernement, une doctrine dépassée. Sans accès à ces traitements innovants, ces malades sont fatalement voués à décéder dans un délai très court. On a en France des hématologues et des spécialistes du myélome dont la compétence est reconnue dans le monde entier. Leur expertise est hélas ignorée par les membres de la commission de la transparence de la HAS. Or ces médecins ont permis aux malades, au cours de ces dernières années, d'avoir accès aux meilleures thérapeutiques élaborées par les grands laboratoires internationaux, de renouer avec l'espérance et de bénéficier d'une qualité de vie considérablement améliorée. Selon l'af3m, ce que propose la HAS est tout simplement un dramatique retour en arrière, un arrêt en France de l'innovation en matière de médicaments et surtout une perte considérable de chances pour les malades du myélome. Aussi, il lui demande ce que le Gouvernement compte mettre en œuvre pour autoriser et faciliter aux personnes atteintes du cancer du myélome l'accès aux meilleurs traitements innovants existants.

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 maitrise 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 : M. Thierry Benoit
Circonscription : Ille-et-Vilaine (6e circonscription) - Horizons et apparentés
Type de question : Question écrite
Numéro de la question : 7587
Rubrique : Pharmacie et médicaments
Ministère interrogé : Santé et prévention
Ministère attributaire : Santé et prévention

Date(s) clée(s)

Question publiée au JO le : 25 avril 2023, page 3796
Réponse publiée au JO le : 27 juin 2023, page 5899