



# ASSEMBLÉE NATIONALE

16ème législature

## Accès aux traitements contre le myélome multiple

Question écrite n° 7686

### Texte de la question

Mme Cécile Rilhac appelle l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention sur la prise en charge des personnes atteintes de myélome multiple, un cancer qui prend naissance dans les plasmocytes. En France, on estime à 30 000 le nombre de personnes atteintes par cette maladie rare, qui touche chaque année plus de 5 000 nouvelles personnes. Cette maladie altère profondément la qualité de vie, avec de très fréquentes fractures osseuses, principalement vertébrales, extrêmement douloureuses et invalidantes. Le myélome multiple ne peut pas être guéri ; cependant, certains traitements permettent de réduire les symptômes, de ralentir la progression de la maladie et d'arriver à une rémission, pour permettre aux patients de pouvoir prolonger leur vie dans les meilleures conditions possibles. Si les traitements proposés aux patients ont évolué et contribué à l'amélioration des conditions de vie de certains d'entre eux, plusieurs patients sont confrontés à une forme agressive de la maladie et réfractaires à l'administration des traitements proposés. Aussi, il leur est indispensable de pouvoir accéder aux dernières innovations en matière de traitement contre le myélome multiple. Ces dernières années, de nombreux nouveaux traitements ont permis aux malades d'obtenir de longues rémissions et d'améliorer leurs conditions de vie, particulièrement les traitements CAR-T Cells et les anticorps bispécifiques. Cependant, à la suite d'avis défavorables de la Haute autorité de santé (HAS), les patients n'ont pas accès à ces nouveaux traitements, qui ont pourtant donné de bons résultats lors des essais thérapeutiques. De plus, ces traitements ont été validés dans d'autres pays. Aussi, connaissant l'engagement du Gouvernement pour permettre un diagnostic et un traitement pour chaque personne atteinte par une maladie rare, elle l'interroge sur les dispositions prévues afin de permettre aux personnes atteintes de myélome multiple de pouvoir bénéficier des traitements innovants contre toutes les formes de cette maladie, afin de prolonger la vie des patients et d'améliorer leur qualité de vie.

### 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 requiert 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 les services du Ministère de la santé et de la prévention, 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 Cécile Rilhac](#)

**Circonscription :** Val-d'Oise (3<sup>e</sup> circonscription) - Renaissance

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 7686

**Rubrique :** Maladies

**Ministère interrogé :** Santé et prévention

**Ministère attributaire :** Santé et prévention

## Date(s) clé(s)

**Question publiée au JO le :** [2 mai 2023](#), page 3958

**Réponse publiée au JO le :** [4 juillet 2023](#), page 6214