



# ASSEMBLÉE NATIONALE

16ème législature

## Non-autorisation de la délivrance des nouveaux médicaments contre le myélome

Question écrite n° 7394

### Texte de la question

Mme Véronique Besse alerte M. le ministre de la santé et de la prévention sur la décision de la Haute Autorité de santé (HAS) de refuser la délivrance de plusieurs médicaments innovants de la catégorie des CAR-T cells et des bispécifiques pour les personnes atteintes du myélome multiple. Aujourd'hui, en France, chaque année 5 400 personnes sont affectées de ce cancer de la moelle osseuse. Au total, 30 000 Français en seraient porteurs. Les traitements proposés aux malades ont évolué ; la vie de certains malades s'étant considérablement améliorée. Pour autant, il y a malheureusement des malades du myélome confrontés à une forme agressive de la maladie, déclarés réfractaires après administration des traitements usuels. Pour rester en vie, leur seul espoir est donc de pouvoir accéder aux toutes dernières innovations relevant de la catégorie des CAR-T cells et des bispécifiques. Or, de manière doctrinaire, la Haute Autorité de santé refuse systématiquement que ces malades puissent bénéficier de ces dernières innovations. En effet, la Haute Autorité de santé base son refus sur le fait que les traitements précédents n'ayant pas entraîné d'amélioration notable de la maladie, il en serait « logiquement » de même avec ces nouveaux médicaments. Cette décision est en opposition totale avec de nombreux avis scientifiques. Le refus de la Haute Autorité de santé revient donc à condamner les malades atteints du myélome multiple à une mort certaine. Elle lui demande donc s'il va intervenir auprès de la Haute Autorité de santé pour que cette dernière arrête d'appliquer, de manière purement procédurale, une doctrine dépassée qui vise à empêcher lesdits malades de bénéficier des derniers traitements en vigueur.

### 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 Véronique Besse](#)

**Circonscription :** Vendée (4<sup>e</sup> circonscription) - Non inscrit

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 7394

**Rubrique :** Pharmacie et médicaments

**Ministère interrogé :** Santé et prévention

**Ministère attributaire :** Santé et prévention

## Date(s) clé(s)

**Question publiée au JO le :** [18 avril 2023](#), page 3520

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