



# Accès aux médicaments innovants pour les malades du myélome multiple : où en sommes-nous ?

## DES MALADES PRIVÉS DE TRAITEMENTS

Dans le numéro 45 du Bulletin de l'association, nous vous avons informés sur la mise en danger des malades par des décisions incompréhensibles et inacceptables de la HAS (Haute Autorité de santé).

Comment une haute autorité peut-elle, par son fonctionnement, exprimer un tel message destiné aux malades et à leurs proches ? « Vous allez bénéficier pendant un an d'un traitement innovant » suivi quelques semaines après, pour les mêmes malades, de la proposition contraire « Nous vous privons désormais de ce médicament dans lequel vous aviez tant d'espoir ».

C'est ainsi que les malades ont été privés du CAR-T cells Carvikty de Janssen aux résultats les plus prometteurs. L'accès aux bispécifiques du même laboratoire reste dépendant d'une négociation entre le laboratoire et les services du ministère de la santé.

Nous avons lancé une pétition en ligne qui a recueilli à ce jour plus de 5500 signatures. Le président de l'association a adressé des courriers aux cabinets du président de la République et du premier ministre. Les membres

du conseil d'administration, des adhérents, des malades et leurs familles ont écrit aux députés et aux sénateurs de leur secteur. Plus de 300 élus ont été ainsi sollicités. Au moment du changement de présidence de la HAS, la situation des malades du myélome a été abordée par les commissions des affaires sociales des deux assemblées. Nous avons bénéficié d'une couverture médiatique, importante : Le Parisien, Le Monde, l'Agence de Presse Médicale. L'AF3M, présente au Congrès de la SFH (Société Française d'Hématologie) du 29 au 31 mars, a sensibilisé et échangé avec les participants.

Près de 50 questions écrites ont été adressées au ministre de la Santé et de la Prévention, M. François BRAUN, par les députés et les sénateurs. Le 13 avril 2023, nous avons échangé avec M. Charles Emmanuel BARTHELEMY et le 9 juin avec le professeur Antoine MAGNAN, tous deux conseillers auprès de Monsieur François BRAUN. Ces deux interlocuteurs nous ont assuré qu'ils travaillaient à une solution pour assurer le financement, dans la loi 2024 du financement de la sécurité sociale, des produits en accès précoce ayant obtenu une ASMR 5. Les conseillers du ministre se sont montrés confiants sur l'aboutissement des négociations en cours pour le bispécifique de JANSSEN.

## LE COMBAT CONTINUE !

La réponse du ministère, si elle constitue une avancée, ne nous satisfait pas. Nous ne voulons pas que l'accès à l'innovation dépende d'une négociation pour chaque produit ou même d'une loi de finances votée chaque année. La loi, les règlements doivent prendre en compte les révolutions en cours dans les médicaments innovants, particulièrement en cancérologie.

Pour l'AF3M, tout médicament innovant bénéficiant d'un accès précoce doit en disposer pour la totalité du délai initial d'attribution (soit 1 ou 2 ans). Il est également indispensable et urgent que la Haute Autorité de santé revoie sa façon d'évaluer les médicaments innovants. Il est certes en effet essentiel que la HAS veille à la sécurité des malades, c'est l'une de ses principales missions. Mais il nous paraît pour autant inconcevable de maintenir la règle exigeant un bras comparateur (comparer le nouveau traitement avec un traitement déjà validé) quand il s'agit de traitements destinés à des malades au stade réfractaire pour lesquels plus aucun protocole validé ne fonctionne.

Nous allons régulièrement nous informer auprès du ministère et du laboratoire concerné sur l'avancée des négociations en cours. Nous allons solliciter une réunion de travail avec le nouveau président de la HAS, M. Lionel COLLET, et M. Pierre COCHAT, président de la commission de la transparence, pour traiter cette question vitale pour les malades concernés.

Ce problème d'accès lié à l'évaluation et au financement des médicaments innovants ne concerne pas seulement les malades du myélome. Il touche également des malades d'autres cancers et de maladies rares pour lesquels sans l'innovation il n'y a plus d'espoir. Nous nous concerterons avec toutes les associations qui voudront bien agir avec nous.

Enfin nous continuerons d'informer les malades et leurs familles mais aussi tous les élus qui se sont mobilisés, sur les évolutions de ce dossier absolument essentiel.

**Le soutien des malades et de leurs proches reste indispensable pour la réussite de nos actions.**

## LES MÉDICAMENTS INNOVANTS CONCERNÉS :

### Les CAR-T cells

Carvikty du laboratoire Janssen : après un accès précoce et une ASMR 5, le laboratoire a stoppé sa mise à disposition en France. Seuls 15 malades sur les 60 prévus ont pu en bénéficier.  
Abecma du laboratoire BMS : suite à une première ASMR 5, après négociation, l'accès précoce a été poursuivi et renouvelé. La commission de la transparence vient de faire paraître ce 30 juin 2023 un deuxième avis. Cette fois-ci, elle a attribué une ASMR 4 qui permet le remboursement et assure la disponibilité d'ABECMA. Dès juillet, le nombre de malades soignés par mois devrait au moins doubler et sur un nombre plus important de centres (actuellement 11 malades par mois sur 11 centres).

### Les bispécifiques

Le teclistamab du laboratoire Janssen : en accès précoce, après une ASMR 5 en attente du résultat d'un accord sur le prix entre le laboratoire et le ministère, il est toujours disponible. 100 malades par mois en bénéficient. Le elranatamab du laboratoire Pfizer : il dispose d'un accès précoce, et est en attente de l'évaluation de la CT de la HAS.