

Paris samedi 4 octobre 2014

## **Communiqué de l'Association Française des Malades du Myélome Multiple (AF3M)**

**En accord avec l'IFM, l'AF3M demande qu'il soit décidé, dans les plus brefs délais, la possibilité d'accorder pour le Carfilzomib des ATU nominatives à titre compassionnel.**

**Argumentaire :**

**Soutenir et encourager la recherche constitue l'une des principales missions que s'est fixée l'Association Française des Malades du Myélome (AF3M).**

Dans ce but, et de manière à satisfaire la demande légitime et réitérée des malades en matière de recherche, mais aussi de leur permettre d'accéder le plus rapidement possible aux innovations en matière de médicaments, deux actions ont été engagées respectivement en 2011 et 2012.

La première action a consisté à lancer chaque année un **appel à projets** en vue de récompenser les initiatives et les innovations qui visent à mieux prendre en compte l'ensemble du vécu des malades, aussi bien en termes de santé physique que de santé morale ou psychique. Au travers de cette action l'AF3M a souhaité se positionner dans une vision où la prise d'initiative est encouragée, où il est montré que les progrès ne doivent pas seulement se limiter au développement de nouveaux médicaments, mais doivent également prendre en compte tous les aspects du parcours de soins.

La seconde action a consisté à publier sur notre site Internet des fiches présentant les **Essais Cliniques en cours de recrutement ou en cours**, accompagnées d'une interview audio du médecin investigateur. Au travers de cette action l'ambition de l'AF3M est de reprendre dans un langage accessible par tous les malades, une information synthétique qui aborde à la fois les bénéfices potentiels attendus et les risques associés, notamment ceux liés aux effets indésirables.

Cette deuxième action a conduit l'AF3M, en accord avec les médecins de l'IFM concernés, à publier deux fiches d'essais concernant le Carfilzomib, à mettre en avant combien ce nouvel inhibiteur du protéasome de la famille du bortézomib ou Velcade®, est un médicament prometteur surtout parce qu'il semble provoquer moins de neuropathies que le bortézomib.

De son côté l'ANSM soucieuse de permettre l'accès précoce et sécurisé aux traitements prometteurs pour les patients français a publié le 8 août 2014, le communiqué suivant :

*Les patients adultes atteints de myélome multiple en rechute et ayant reçu au moins trois traitements antérieurs dont le bortézomib et le pomalidomide, pourront avoir accès au Kyprolis (carfilzomib), un nouvel inhibiteur du protéasome, dans le cadre d'une ATU de cohorte. La commission initiale B/R de l'ANSM du 10 juillet s'est prononcée favorablement pour cette ATU de cohorte et a souhaité que le produit soit rendu disponible par la firme concernée dans le cadre de l'ATU de cohorte le plus rapidement possible. Dans l'attente de la mise en place de cette ATU prévue fin novembre 2014 par le laboratoire, et compte tenu du profil du produit, la commission a souhaité que le traitement des patients se fasse préférentiellement dans le cadre d'un essai clinique ouvert.*

**L'AF3M est consciente de la nécessité, pour l'ANSM, de fonder ses décisions sur des bases scientifiques solides et incontestables, afin de garantir une sécurité sanitaire maximale sur le long terme.** Elle comprend que l'ANSM puisse prendre le temps nécessaire pour analyser, avec l'appui d'experts externes à l'agence, les premiers résultats de l'étude FOCUS qui viennent d'être publiés.

Pour autant, et considérant que ce médicament semble porteur d'espoir, et bien qu'à ce stade les résultats des essais soient encore partiels et neutres, et que les preuves apportées quant à son efficacité soient à confirmer, **l'AF3M souhaite que cette situation ne conduise pas dans certaines situations d'urgence vécues par les malades, à inhiber toute prise de décision.**

L'AF3M, après s'être rapprochée de l'IFM, souhaite interpeller l'ANSM sur la situation des malades du myélome en rechute, qui ont déjà été traités avec les traitements disponibles. Ils sont très souvent désemparés quant à leur devenir, **et l'arrivée tardive du Carfilzomib est perçue comme un échec, voire comme une forme d'abandon, d'autant plus que ce même médicament fait l'objet depuis près de deux ans d'une autorisation de mise sur le marché aux USA.**

**Dans ces conditions et en accord avec l'IFM, l'AF3M demande que chaque situation individuelle d'urgence soit examinée au cas par cas, dans l'objectif de décider dans les plus brefs délais, les conditions dans lesquelles il est possible d'accorder des ATU nominatives à titre compassionnel.**