

Point du dossier : accès aux nouveaux médicaments

Paris le 5 octobre 2017

Cher adhérent, cher ami

En avril dernier suite aux situations de blocage observées pour accéder aux nouveaux médicaments en cours d'évaluation par la Commission de Transparence de la Haute Autorité de Santé ou en cours de négociation avec le Comité Economique des Produits de Santé, instance en charge de fixer les conditions de leur commercialisation et notamment leur prix, nous avons été conduits à adresser une lettre ouverte à Marisol Touraine, alors ministre de la Santé, pour lui faire part de notre inquiétude, lui rappeler que cette situation était en totale contradiction avec les positions qu'elle avait prises dans la presse, en affirmant que *« demain comme aujourd'hui les Français pourront accéder à des médicaments innovants, sans rationnement ni file d'attente, contrairement à ce qui se pratique ailleurs dans d'autres pays »*.

Vous avez été plus de 3.400 à signer cette lettre ouverte et nous tenons très sincèrement à vous en remercier.

A la suite des élections présidentielle et législative de mai-juin nous avons adressé un courrier à Madame Agnès Buzyn, nouvelle ministre de la Santé et nous vous avons sollicités pour une action de sensibilisation auprès des députés nouvellement élus.

A ce jour :

- Le courrier adressé à Madame Agnès Buzyn en date du 9 juillet a donné lieu à une très courte réponse en date du 23 août par laquelle elle nous confirme avoir reçu notre courrier et nous informe qu'il a été transmis pour réponse à la Directrice de la Sécurité Sociale. A ce jour, cette dernière ne s'est toujours pas manifestée
- 35 députés ont réagi au courrier de sensibilisation qui leur a été adressé, cela a donné lieu à 26 questions écrites, 2 interventions en commission des affaires sociales, 2 courriers adressés à la Ministre, et un à la HAS.

A ce jour cependant, les situations de blocage observées et déplorées depuis le début d'année sont toujours d'actualité, voire se sont aggravées : elles se traduisent dès à présent par des difficultés d'accès pour certains médicaments ou annoncent des difficultés quant à leur prise en charge par la sécurité sociale.

Plus en détail, voici un point de situation par médicament :

- **Carfilzomib (Kyprolis) :**

L'examen par la Commission de Transparence du dossier d'évaluation présenté par le laboratoire AMGEN vient à nouveau d'être reporté sans que nous soyons informés du motif de ce report.

Sachant que ce médicament n'est pas disponible, y compris au travers d'une Autorisation Temporaire d'Utilisation, nous ne pouvons que déplorer, alors que nous avons déposé le 19 mai, dans un délai très court, un mémoire reprenant le point de vue des patients quant à l'utilisation de ce médicament, que plus de quatre mois se soient écoulés sans que ce dossier ne soit encore examiné par la Commission de Transparence.

Ce retard est d'autant plus déplorable que les données présentées par Amgen dans les études Aspire et Endeavor ont montré une amélioration de la survie globale de 8 mois pour les patients traités par Carfilzomib.

- **Darzalex (Daratumumab) :**

La Commission de Transparence a examiné le dossier d'évaluation présenté par le laboratoire JANSSEN le 17 juillet dernier, sans qu'à ce jour l'avis définitif sur la cotation du Service Médical Rendu et de l'Amélioration du Service Médical Rendu ne soit publié. Cette situation a d'ailleurs conduit JANSSEN à solliciter auprès de la HAS une demande d'audition.

Comme pour les autres dossiers nous ne pouvons qu'être très inquiets quant à la suite qui sera donnée à ce dossier, alors qu'à plusieurs reprises, le collège de la HAS a mis en avant dans ses délibérations l'impact significatif de ce nouveau médicament sur les dépenses de l'assurance maladie.

- **Ixazomib (Ninlaro) :**

Pour ce médicament l'AF3M a présenté le 21 mars 2017, dans le cadre de l'évaluation en cours par la HAS, un mémoire exposant le point de vue des malades quant à son utilisation.

Il a fait l'objet d'une présentation en Commission de Transparence le 5 juillet, l'avis correspondant a été publié le 9 septembre.

L'ASMR attribué pour le Ninlaro est de niveau V, un niveau considéré comme équivalent à l'existant compte-tenu :

- d'une différence en survie sans progression en faveur de NINLARO en association au lénalidomide et à la dexaméthasone par rapport à cette même association administrée seule.
- du caractère « peu robuste » de cette survie sans progression

En conclusion, la Commission a considéré que le NINLARO, en association au lénalidomide et à la dexaméthasone, n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport à l'association lénalidomide et dexaméthasone, chez les patients atteints de myélome multiple et ayant déjà reçu au moins une ligne de traitement, ce qui laisse augurer des négociations compliquées quant à la fixation des conditions de commercialisation et notamment de son prix.

- **Neofordex (Dexaméthasone 40 mg) :**

Ce médicament a fait l'objet de plusieurs présentations devant la Commission Economique des Produits de santé en vue de fixer les conditions de sa commercialisation et notamment son prix.

La dernière séance tenue fin septembre n'a pas permis de déboucher sur un accord quant à son prix.

Il est aujourd'hui très probable que le laboratoire CTRS qui a développé ce produit prenne une décision visant à ne pas commercialiser ce produit en France, ce qui imposerait aux malades du myélome de prendre de la dexaméthasone dosée à 0,5 mg **soit 80 cachets par jour** au lieu d'un cachet dosé à 40 mg.

Tous ces éléments intervenus récemment ne peuvent naturellement qu'aggraver fortement notre inquiétude, car ils laissent clairement entrevoir la mise en œuvre d'une politique qui chercherait avant tout à réduire les dépenses de santé sans tenir compte des besoins des malades.

Un tel constat peut être interprété comme une volonté de la part des autorités de santé de vouloir restreindre l'accès aux soins exclusivement pour des motifs économiques, d'autant que les malades concernés sont en général âgés et ont déjà bénéficié de traitements coûteux. Nous sommes notamment très surpris de voir le temps nécessaire à l'administration pour inscrire des médicaments avec une ASMR 4 au remboursement alors même que ces thérapies remplissent toutes les conditions pour l'être !

En outre et eu égard aux échanges avec les hématologues de l'IFM et ceux du Comité Scientifique de l'AF3M, il apparaît également que certains critères pris en compte par la HAS sont de nature à sous-estimer l'Amélioration du Service Médical Rendu de ces nouveaux médicaments. En particulier, il semble prématuré de vouloir démontrer à ce stade une amélioration de la survie globale, alors que les essais cliniques sont généralement réalisés sur des groupes de patients très avancés dans la maladie, et donc d'autant plus fragiles.

Dans ces conditions nous avons tenu à rappeler l'urgence de la situation à Madame Agnès Buzyn Ministre de la Santé, par courrier en date du 5 octobre 2017 et demandé à être reçus afin que nous soyons notamment en mesure d'obtenir des réponses claires et précises sur ces différents dossiers et de pouvoir ainsi informer nos adhérents.

Enfin pour l'AF3M, il nous apparaît désormais également urgent d'engager une réflexion globale avec l'ensemble des acteurs concernés : autorités de santé, industriels, sociétés savantes et associations de patients en vue de réfléchir notamment sur les questions suivantes :

- Comment permettre et garantir aux malades l'accès de façon continue aux innovations médicales, y compris durant la phase administrative du ressort des différentes autorités de Santé, tout en continuant à assurer leur sécurité.
- Comment communiquer sur les résultats des évaluations de la HAS auprès des patients, dans un langage compréhensible et accessible par tous ?
- Comment obtenir de la part de la HAS des informations suffisamment explicites et transparentes qui permettent à l'AF3M d'informer les malades et de leur assurer ainsi les perspectives d'aboutissement des procédures réglementaires.
- Comment expliquer que les médecins en charge des essais cliniques développent actuellement, en matière de traitements du myélome une communication très positive, porteuse d'espoir pour les malades et leurs proches, alors qu'à l'inverse les évaluations de la HAS conduisent à mettre en avant très fréquemment des résultats très sensiblement en retrait.
- Comment expliquer les écarts observés entre les évaluations conduites par l'Agence Européenne du Médicament et la HAS ?

Le bureau de l'AF3M – 5 oct.2017