

Très bonne nouvelle : les Cart t cells ABECMA de BMS continueront d'être disponibles en France et pour davantage de malades

Rappels des dates

➤ **Depuis le 1^{er} juillet 2021** un nouveau dispositif d'accès précoce est en place, il permet à la HAS d'autoriser la mise à disposition de nouveaux médicaments sur la base de résultats d'essais cliniques de phase 2 sans bras comparateur, des essais réalisés sur un petit nombre de malades, 39 pour ABECMA dont 5 malades français.

➤ **Le 2 décembre 2021** sachant qu'ABECMA disposait avant le 1^{er} juillet d'une ATU de cohorte, la HAS autorise l'accès précoce **de ce médicament** permettant progressivement à 11 malades par mois de bénéficier de ce traitement innovant. Les malades concernés sont des **patients** ayant **reçu** au moins trois lignes de traitements, réfractaires **aux** médicaments existants et donc sans solution thérapeutique.

Note importante : un accès précoce délivré pour une durée d'un ou deux ans est, dans les faits, conditionné à l'évaluation ultérieure du médicament diligentée par la Commission de transparence

➤ **Le 15 décembre 21** la commission de transparence de la HAS effectue sa première évaluation. Elle donne un avis favorable mais faute de données comparatives, ne peut se prononcer sur le fait que ce nouveau traitement apporte un progrès dans la prise en charge des malades. Elle attribue une ASMR 5 (**autrement dit « Absence d'Amélioration du Service Médical Rendu »**) empêchant **ainsi** son accès à liste en sus, donc sa prise en charge directe **par l'assurance maladie**, hors budget des hôpitaux, rendant de fait impossible sa mise à disposition **aux malades. De ce fait l'accès précoce se verrait interrompu.**

➤ **De janvier en avril 2022** avec l'appui des hématologues de l'IFM, la volonté du laboratoire de maintenir l'accès, et la mobilisation des malades et de leurs proches, le ministère de la santé décide d'une prise en charge financière dérogatoire permettant la poursuite de l'accès précoce avec toujours 11 malades traités chaque mois.

➤ **Le 09 février 2023** la HAS renouvelle l'accès précoce d'ABECMA, qui reste ainsi disponible dans les mêmes conditions.

➤ **Le 21 juin 2023** la commission de transparence effectue une réévaluation d'ABECMA en **attribuant sur la base de données complémentaires fournies par BMS**, une ASMR 4 permettant la prise en charge financière du traitement et la poursuite de l'accès précoce. Le processus de négociation de prix va pouvoir s'amorcer pour aboutir à une disponibilité pérenne du produit.

Comme nous l'affirmons depuis plusieurs mois il y a nécessité de **laisser le temps aux autorisations d'accès précoce d'aller à leur terme** afin de pouvoir démontrer leur efficacité ou même leurs limites. Fin 2021, les premiers essais cliniques de phase2 démontraient (sans comparaison possible car le traitement s'adressait à des malades réfractaires à tous les traitements) que les Car-t cells pouvaient **constituer** une réelle chance pour ces malades du myélome.

En 18 mois près de 300 malades ont bénéficié du traitement. Entretemps, à la fois les résultats des essais cliniques de phase3 avec bras comparateur mais aussi une étude comparative ont pu **produire** les preuves qu'ABECMA apportait un progrès **désormais certain** dans la prise en charge des malades.

Il en ressort que la doctrine de la commission de transparence mais aussi les conditions des accès à la liste en sus (la prise en charge par la sécurité sociale et non par le budget de l'hôpital) **ne sont pas adaptées à l'évaluation des médicaments innovants**, particulièrement ceux qui concernent les personnes touchées par une maladie incurable et se trouvant dans une impasse thérapeutique. **Il est devenu urgent que la HAS mais aussi le ministère revoient les procédures en vigueur**, qui aboutissent à **des décisions contradictoires et incompréhensibles** : Un accès précoce autorisé le 2 décembre et **interrompu** par une ASMR 5 prononcée le 15 du même mois !

Aux côtés des hématologues de l'IFM nous avons permis que l'accès précoce obtenu par BMS se poursuive malgré la décision de la HAS. Il est important de souligner que si nous n'avions pas mené ce combat **près de 200 malades n'auraient pas pu bénéficier d'ABECMA, traitement aujourd'hui validé par la HAS.** Avec l'accès précoce **ainsi** maintenu, le laboratoire BMS nous a annoncé qu'il allait dès le mois de juillet plus que **doubler le nombre de slots disponibles par mois en France** (c'est-à-dire le nombre de malades bénéficiant du traitement) De plus **le nombre de centres agréés pour administrer le Car-t devrait progressivement augmenter** (actuellement 11 centres). Plus de malades seront traités avec d'ABECMA et dans un centre plus près de chez eux.

Pour l'Af3m
Laurent GILLOT
Président