



Inquiétantes difficultés d'accès aux médicaments innovants dans le myélome multiple

À propos de l'AF3M

L'AF3M (Association Française des Malades du Myélome Multiple) est une association à but non lucratif, créée en 2007 par des personnes atteintes du myélome et leurs proches. L'association a plusieurs objectifs parmi lesquels, apporter aide, information et soutien aux malades et à leurs proches, informer et sensibiliser sur le myélome (grand public, médias, institutions, soignants...), promouvoir au plan national les droits des malades du myélome en vue d'améliorer la prise en charge des patients et leur qualité de vie.

Contact : www.af3m.de.org/contact

Cet article a été rédigé avec l'appui de Marianne PAUL marianne.paul@maarc.fr

Les patients français atteints d'un myélome multiple réclament leur droit à vivre !

Une situation de blocage inacceptable depuis un an qui pèse sur les chances de survie des patients.

Rappel des faits

Le myélome multiple est un cancer rare de la moelle osseuse peu connu du grand public qui touche, chaque année, près de 5 000 nouvelles personnes. On estime que 30 000 personnes en sont aujourd'hui affectées en France, souvent âgées. La plupart des patients répondent au traitement initial (dit « traitement de première ligne »), mais sont pour la majorité confrontés à des rechutes qui surviennent à échéances variables. Ainsi, moins d'un patient sur 10 obtient une réponse complète avec les thérapies actuelles de première ligne. Il existe donc pour cette maladie un besoin crucial de nouvelles alternatives thérapeutiques et ce, d'autant plus que les essais cliniques réalisés ont démontré que les réponses aux traitements sont plus profondes et durables lorsque les malades sont soignés en cas de rechute avec des médicaments différents de ceux prescrits en première ligne. La délivrance par l'Agence européenne des médicaments d'Autorisations de Mise sur le Marché (AMM) en Europe pour cinq nouveaux médicaments depuis fin 2015 a fait naître un véritable espoir et a constitué une étape cruciale pour répondre aux attentes des patients (panobinostat, ixazomib, carfilzomib, daratumumab et élotuzumab). Aussi, la mise à disposition de ces traitements est évidemment très attendue par les patients et médecins, en particulier pour celles et ceux dont la maladie est très avancée ou en rechute, et pour qui l'accès à ces nouveaux traitements constitue non seulement une urgence mais surtout une question de survie.

Malheureusement, aucun de ces médicaments, pourtant reconnus comme efficaces, n'est aujourd'hui officiellement disponible en France, suscitant la plus grande incompréhension et la colère des patients et des professionnels de santé. De nombreux malades se retrouvent ainsi aujourd'hui otages de la lenteur des décisions administratives et du mécanisme d'évaluation et de fixation des prix des médicaments. Dans ce cadre, les malades ne peuvent que constater que la politique mise en oeuvre par le ministère de la Santé viserait avant tout à réduire les dépenses de santé, sans discerner les conséquences dramatiques subies par les malades du myélome.

Un exemple particulièrement alarmant : le carfilzomib

Le carfilzomib est un médicament qui a reçu son AMM pour être prescrit en association avec deux autres médicaments, le lénilidomide et la dexaméthasone, dans le traitement du myélome multiple chez les adultes ayant reçu au moins un traitement antérieur. Le 25 mai 2016, le Comité de Transparence (CT) de la Haute Autorité de Santé (HAS) a

classé ce médicament comme assurant un Service Médical Rendu (SMR) important et une Amélioration du Service Médical Rendu (ASMR) de niveau IV. À ce titre, le carfilzomib remplit toutes les conditions pour être inscrit sur la liste dite « en sus », permettant un remboursement aux hôpitaux par l'assurance maladie. Il est disponible et pris en charge dans plusieurs pays européens dont la Belgique, l'Espagne, l'Italie et l'Allemagne. Pourtant, alors que le ministère de la Santé aurait dû procéder à cette inscription de manière quasiment automatique avant le début de l'année, les discussions sont toujours en cours.

Ce retard est d'autant plus déplorable que les données présentées dans les études ASPIRE et ENDEAVOR ont montré une amélioration de la survie sans progression de la maladie de 8 mois pour les patients traités par carfilzomib. Cela signifie que depuis près d'un an, des patients actuellement privés de ce traitement auraient pu voir leur vie prolongée.

Vers une incapacité de la France à garantir l'accès à l'innovation ?

Tous les acteurs du système de santé s'accordent pour constater le retard pris par la France par rapport à ses voisins européens dans la mise à disposition aux patients des nouveaux traitements innovants, entraînant de fait une perte de chances thérapeutiques pour les malades français. L'accès au marché français des médicaments est parmi les moins rapides d'Europe : plus de 400 jours entre l'AMM et la mise à disposition du médicament, au lieu des 180 jours requis par la réglementation européenne (Fédération européenne des associations et industries pharmaceutiques).

Par ailleurs, il existe chez nos voisins européens des dispositifs pour accélérer l'accès à l'innovation qui semblent beaucoup plus efficaces que le système français :

- en Allemagne, le remboursement est automatique au prix fixé par l'industriel dès l'AMM ;
- en Italie, il existe un « *fast-track process* » qui permet d'évaluer plus rapidement les médicaments innovants ;
- au Royaume-Uni, un processus d'évaluation dédié existe pour les technologies très spécialisées, notamment dans les maladies rares.

Ce retard pris par la France est tout sauf anodin. Dans le cas du myélome, il nuit fatalement aux chances de survie des centaines de patients en rechute qui pourraient être traités de façon efficace.

L'AF3M, est totalement mobilisée et déterminée pour permettre aux patients d'accéder aux thérapies qui peuvent les soigner efficacement.

De multiples démarches, toutes demeurées sans effet jusqu'à présent

Devant cette situation intolérable, l'AF3M a rédigé en mars 2017 une lettre ouverte à l'adresse de la ministre de la

Santé intitulée « Myélome : autoriser des médicaments est une question de survie pour les patients », publiée sur le site de l'Express et qui a recueilli plus de 3 400 signatures.

A la suite des élections présidentielles, l'association a adressé plusieurs courriers à Madame la Ministre Agnès Buzyn et aux autorités décisionnaires pour attirer leur attention sur le sujet. Au cours de l'été, les adhérents de l'AF3M ont sensibilisé par le biais de courriers et de rendez-vous de nombreux députés qui ont directement saisi de leurs inquiétudes Madame la Ministre des Solidarités et de la Santé en posant une trentaine de questions écrites. Un rendez-vous auprès de Madame la Ministre Agnès Buzyn a de nouveau été sollicité en urgence en amont de la Journée d'information nationale sur le myélome multiple, organisée par l'AF3M, qui a eu lieu le 14 octobre dans 25 villes en France. Les 2 400 participants à cette manifestation ont été informés de l'impasse administrative que les malades subissent

Résultat de ces actions : RIEN. Aucune rencontre, aucun relai de nos revendications, aucune avancée, si ce n'est une réponse laconique du ministère de la Santé aux questions écrites signalant que le processus est en cours, sans nulle précision d'une échéance d'aboutissement. Du côté de nos dirigeants, personne ne semble s'émouvoir du fait qu'en refusant aux malades l'accès à ces nouveaux médicaments, les autorités cautionnent de fait une perte de chances pour des patients qui pourtant pourraient être traités.

Un unique objectif : l'accès à des soins de qualité pour les patients français

Devant le silence assourdissant des autorités, l'AF3M réitère sa ferme volonté de poursuivre ce combat jusqu'au bout pour faire entendre la voix des patients et leur permettre d'accéder aux thérapies qui peuvent les soigner efficacement. Encore faut-il prêter l'oreille aux malades.

Point de situation détaillé par médicament

Carfilzomib

Le processus pour mettre ce médicament à disposition des patients est toujours en cours, plus de deux ans après l'obtention de l'AMM. Sachant que ce médicament n'est pas disponible, y compris au travers

d'une Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU), nous déplorons ces délais inacceptables alors même que ce médicament satisfait à toutes les conditions pour être pris en charge.

Daratumumab

La Commission de Transparence a examiné le dossier d'évaluation présenté par le laboratoire le 17 juillet dernier, sans qu'à ce jour l'avis définitif sur la cotation du SMR et de l'ASMR ne soit publié. Cette situation a d'ailleurs conduit le laboratoire 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 l'examen en cours, 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

Pour ce médicament l'AF3M a présenté le 21 mars 2017, dans le cadre de l'évaluation lancée 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 l'ixazomib est de niveau V, un niveau considéré comme équivalent à l'existant compte-tenu :

- d'une différence en survie sans progression en faveur de l'ixazomib 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.

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 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. Imposer aux malades la prise de 80 cachets par jour, alors qu'il existe une solution alternative à 1 cachet par jour, nous paraît proprement invraisemblable.

Bernard DELCOUR, Vice-Président de l'AF3M



2017 a vu l'AF3M fêter ses dix ans d'existence et lui a permis de mener à bien de nombreux projets :

- La Journée Nationale d'information sur le Myélome (JNM) s'est tenue le 14 octobre et a réuni dans 25 villes plus de 2400 participants avec à nouveau à la clé un haut niveau de satisfaction,
- Le MOOC « Comprendre le myélome et vivre avec » développé avec le soutien institutionnel de Janssen et le programme HéMaVie « programme d'accompagnement et de soutien des malades et des aidants » développé par l'AF3M et CELGENE ont tous les deux été primés dans le cadre du 28ème Festival de la Communication Santé qui s'est tenue à Deauville en novembre.

2018 va s'inscrire dans cette dynamique :

- Une treizième édition de la JNM va se tenir le samedi 13 octobre, avec comme pour objectif d'aborder plus spécifiquement le rôle des aidants dans la prise en charge et l'accompagnement des malades du myélome.
- Deux nouvelles sessions du MOOC vont être proposées, la première en mai (du 14 mai à début juillet) et la seconde à l'issue de la JNM. Les inscriptions sont dès à présent possible : www.mooc-myelome-af3m.drspoc.com/

Le programme HéMaVie a été lancé en début d'année dans les cinq centres pilotes : Caen, Nantes, Tours, Limoges et Créteil Mondor. La phase d'élargissement et de déploiement reste prévue à l'automne.