

Halte aux décisions mortifères de la HAS : Mise en danger des malades du myélome multiple

Les malades et leurs proches au sein d'une association unique : L'Af3m

Le myélome multiple est le cancer de la moelle osseuse. 5400 nouvelles personnes sont atteintes chaque année en France. A ce jour il n'existe pas de traitement permettant la guérison. **L'Af3m : l'Association Française des Malades du Myélome Multiple, a été créée en 2007.** Association de malades et d'aidants, elle est forte aujourd'hui de **2800 adhérents et de 4200 donateurs.** Elle a comme missions essentielles d'informer et soutenir les malades et leurs proches, de les représenter auprès des autorités, mais aussi de défendre les droits des malades.

L'accès aux médicaments innovants : une extraordinaire avancée médicale

Les traitements proposés aux malades français atteints du myélome ont beaucoup évolué depuis quelques années. Si on ne peut pas encore parler de guérison, la vie des malades s'est considérablement améliorée et ces derniers peuvent désormais espérer vivre longtemps malgré leur myélome, grâce à l'apparition de nombreux médicaments innovants.

Cette situation et ces perspectives résultent directement du travail incessant de recherche des laboratoires, de l'investissement sans faille des médecins français spécialistes du myélome, regroupés au sein de l'Intergroupe Francophone du Myélome (IFM) et de l'implication de nombreux malades dans les essais cliniques.

Il y a malheureusement des malades du myélome confrontés à une forme agressive de la maladie, en échec thérapeutique, déclarés réfractaires après administration des traitements actuellement autorisés. Pour rester en vie, leur seul espoir est de pouvoir accéder aux toutes dernières innovations. Pour des centaines de malades, l'accès aux Car-t Cells ou aux anticorps bispécifiques, constitue le retour de l'espoir, avec la perspective de bénéficier de longs de mois de rémission, le plus souvent dans des conditions de vie tout à fait acceptables.

L'évaluation des médicaments innovants par la HAS : une pratique hypocrite et obsolète

Aujourd'hui, en 2023, cet accès à l'innovation et à l'espoir qui en découle, sont remis en cause par la Commission de la Transparence (CT) de la HAS, qui applique, sans discernement, une doctrine dépassée.

L'évaluation d'un médicament s'effectue notamment par l'analyse de 2 groupes de critères, le Service Médical Rendu (SMR, comportant 4 niveaux) et l'Amélioration du Service Médical Rendu (ASMR, comportant 5 niveaux).

Cette doctrine énonce que pour évaluer l'Amélioration du Service Médical Rendu (ASMR) il est indispensable de comparer les résultats obtenus par le nouveau traitement avec ceux d'un groupe de malades soignés avec « le traitement standard en vigueur » (bras comparateur). L'absence de bras comparateur (ce qui est le cas pour des malades dont la maladie continue à progresser, ayant eu au moins trois lignes de traitements, en échec thérapeutique, donc ayant épuisé tous les autres traitements) conduit la CT à déclarer systématiquement, **et ce quels que soient les résultats scientifiques présentés**, que le nouveau médicament n'apporte pas d'Amélioration du Service Médical Rendu, et attribue une ASMR de niveau 5. Il s'agit là tout simplement d'un avis sans assise scientifique.

Or cette caractérisation au plus mauvais niveau, alors que cette même commission a autorisé quelques semaines auparavant la possibilité d'accéder à ces traitements à titre précoce, a concrètement pour conséquence immédiate **d'empêcher le remboursement du médicament** par la sécurité sociale et in fine son utilisation par les centres hospitaliers.

Sans accès à ces traitements innovants, ces malades sont fatalement voués à décéder dans un délai très court.

La situation d'accès aux derniers médicaments innovants pour le myélome multiple

- **CAR-T Cells ABECMA du laboratoire BMS** : à ce jour, plus de 200 malades ont pu bénéficier des Car-t cells ABECMA (11 par mois), dans le cadre du dispositif d'accès précoce. **La prorogation de l'autorisation de mise à disposition est liée à une décision, à venir, de la HAS.**
- **CAR-T Cells CARVYKTI du laboratoire JANSSEN** : une décision, par la CT de la HAS, d'attribution d'une ASMR 5 a conduit le laboratoire Janssen à **décider l'arrêt en France de la mise à disposition** de ce Car-T cells.
 - **Très concrètement, la CT de la HAS prive, par cette décision, pour l'année 2023, 60 malades d'un traitement qui leur est vital, dès lors qu'il conditionne leur survie.**
- **Autres traitements innovants** : comme pour les Car-T cells, les dossiers présentés par les laboratoires qui sont en cours d'examen par la CT de la HAS, attestent de résultats d'essais cliniques très prometteurs. L'application sans discernement, par la CT, de la doctrine de la HAS fait craindre que des centaines de malades soient privés de toute solution les préservant d'une issue fatale.
 - **In fine ce sont des centaines de malades auxquels il n'est proposé que la mise en danger de leur vie, par l'application systématique d'une doctrine obsolète.**

L'AF3M ne peut se résoudre à une résignation condamnable

Nous avons en France des hématologues et des spécialistes du myélome dont la compétence est reconnue dans le monde entier. Leur expertise est hélas ignorée par les membres de la commission de la transparence de la HAS. Or ces médecins ont permis aux malades, au cours de ces dernières années, d'avoir accès aux meilleures thérapeutiques élaborées par les grands laboratoires internationaux, de renouer avec l'espérance et de bénéficier d'une qualité de vie considérablement améliorée.

Ce que nous propose la HAS est tout simplement un dramatique retour en arrière, un arrêt en France de l'innovation en matière de médicaments, et surtout une perte considérable de chances pour les malades du myélome.

- **L'Af3m, mandatée par l'ensemble de ses adhérents, ne l'acceptera jamais.**

Le bureau de l'Af3m