



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

Mercredi 17 novembre 2021

Seul l'avis de la CT fait foi - Occultations sous la responsabilité du laboratoire

AVERTISSEMENT

En application des articles L. 1451-1-1 et R. 1451-6 du Code de la santé publique, la HAS réalise un enregistrement des séances de la commission de la transparence (CT), de la Commission d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDIMTS) et de la Commission évaluation économique et santé publique (CEESP). Pour en faciliter la communication et la compréhension, la HAS a fait le choix de recourir à une transcription des débats par l'intermédiaire d'une société prestataire

Cette prestation associe une saisie directe des débats par sténotypie et une transcription assistée par ordinateur ainsi qu'une relecture médicale. L'objet de cette transcription est de permettre de tracer le déroulé des débats dans un souci de transparence et non de fournir une information scientifique validée. En effet, malgré le professionnalisme de cette prestation, il peut persister dans le texte final des incongruités ou des inexactitudes liées à l'usage d'un vocabulaire hautement spécialisé ou à la nature même des échanges verbaux. La HAS n'effectue aucune validation de ces documents.

La HAS rappelle que les seuls documents validés et opposables sont le procès-verbal de la séance et l'avis définitif de la Commission qui sont mis en ligne sur le site de la HAS.

Pour la publication des transcriptions, et dans un but de protection du secret industriel et commercial, certains mots peuvent avoir été occultés. Les occultations éventuelles sont de la responsabilité de l'entreprise exploitant le produit évalué.

Toute reprise d'un ou plusieurs extraits d'une transcription doit être accompagnée d'une mention en précisant la source et respecter la législation sur la publicité.

Les membres des commissions s'expriment à titre personnel dans le cadre de leur mission d'expertise. Les agents de la HAS (chefs de service, adjoints, chefs de projet) représentent l'institution et s'expriment en son nom.

La HAS rappelle que la connaissance des propos tenus en séance par les membres des commissions et les agents de la HAS ne peut en aucun cas justifier des contacts directs de quelque nature que ce soit avec ces personnes, lesquelles sont tenues à une obligation de confidentialité conformément à l'article R. 161-85 du Code de la sécurité sociale.

MYOZYME 50 mg (alglucosidase alfa) (CT-19179) SANOFI-AVENTIS France
Observations Réévaluation SMR

M. COCHAT, Président.- Ensuite, on va passer à MYOZYME pour les nouveaux membres de la CT, après l'avis, on peut avoir des observations des laboratoires pendant la phase où ils peuvent le faire. Là, on va rediscuter de MYOZYME avec justement des observations du laboratoire. C'est le chef de projet qui présente ce dossier.

M^{me} GATTULLI, pour la HAS.- Compte tenu de ses liens, Madame MALLAT ne peut pas assister à ces observations.

Un chef de projet pour la HAS.- Le laboratoire Sanofi Aventis a déposé des observations dans le cadre de la phase contradictoire de l'avis MYOZYME adopté par la commission le 27 octobre 2021.

Un petit mot du contexte. Il s'agit de la réévaluation du SMR d'une enzyme recombinante, l'alfa alglucosidase dans la forme tardive de la maladie de Pompe. C'est une AMM qui a été obtenue en 2006. Cette demande de réévaluation reposait essentiellement sur deux études de cohorte et deux études descriptives portant sur les données issues des registres français et du registre international de la maladie. En 2017, la commission avait réévalué le SMR et l'ASMR de MYOZYME dans l'ensemble de son indication et dans la prise en charge de la forme tardive de la maladie. La commission avait maintenu le SMR faible et l'ASMR IV attribués à la spécialité en juin 2010, et en janvier 2013.

Vous avez le tableau des modifications que l'on souhaite vous présenter. Le libellé du SMR est sur la gauche, avis actuel, la proposition du laboratoire est au milieu et les commentaires du laboratoire sur la droite.

Je vous rappelle que le rapport efficacité/effets indésirables de notre avis mentionnait qu'il restait à préciser à plus long terme, et qu'il était important à court terme, le SMR restait faible. Le laboratoire souhaite que le rapport efficacité/effets indésirables soit important à court terme et modéré à plus long terme, et que le SMR soit modifié en important.

Vous avez les commentaires du laboratoire sur la droite.

M^{me} CHEVRET, membre de la CT.- Je ne comprends pas. Cela revient à refaire un vote sur le SMR ?

M. COCHAT, Président.- Oui.

M. CLANET, Vice-Président.- Sans demander l'audition ?

M. COCHAT, Président.- Oui.

M^{me} CHEVRET, membre de la CT.- Sur quelles bases ?

M. COCHAT, Président.- On n'a pas d'autres explications que leurs observations. C'est ça ?

Un chef de projet pour la HAS.- Sur la droite, ils mentionnent bien que « *la commission a considéré que le schéma des études présentées dans le dossier ne lui permettait pas de conclure à l'efficacité à long terme de MYOZYME. Cependant, ces études montrent bien un bénéfice net de l'enzymothérapie sur la motricité évaluée par la force musculaire, le test de marche de six minutes et le recours aux fauteuils roulants pour le patient. Les données sont en faveur de la poursuite d'une indication du traitement chez les patients adultes.* » C'est la raison pour laquelle ils veulent changer le rapport efficacité à long terme et le SMR.

M. KOUZAN, membre de la CT.- Cela arrive souvent que dans cette phase, l'industriel essaye de passer par la fenêtre alors que la porte est bloquée. Ce n'est pas la première fois, mais ce n'est pas la dernière fois, mais cela remet en question une partie fondamentale du vote.

M. COCHAT, Président.- Jean-Christophe Mercier.

M. MERCIER, membre de la CT.- Je voudrais juste ajouter que lors de l'audition, on avait eu ce spécialiste de Raymond Poincaré qui avait admis, que quelque part, il y avait une efficacité, mais qu'elle n'était pas considérable, et que ceci dans la discussion avait influencé sur le vote de l'avis actuel. Je suis assez d'accord avec Serge qu'une petite remarque comme cela, sibylline, cherche à insinuer une promotion sur la marche supérieure.

M. COCHAT, Président.- Michel.

M. CLANET, Vice-Président.- Je rappelle que les études avaient montré qu'il y avait une petite amélioration de la motricité qui disparaissait rapidement et que sur le plan respiratoire, il n'y avait pas d'amélioration. Effectivement, vu sous un angle, ce sont tout de même des adultes, ce sont des études qui sont des évaluations de long cours, nous n'avons aucune preuve d'efficacité à long terme sur le sujet, raison pour laquelle nous avons proposé un SMR faible dans notre vote. Pas de raison de le changer.

M. COCHAT, Président.- Oui, j'ai repris la sténo avec Pascale Laforêt qui était notre expert sur le dossier. Je ne sais pas si le chef de projet a des commentaires à apporter ?

Un chef de projet pour la HAS.- Non, juste que le bureau avait proposé de supprimer juste l'adjectif qui qualifiait le niveau de preuve des données, Monsieur Clanet, je crois, vous aviez évoqué de supprimer mot « *faible* » qui qualifiait le niveau de preuve des données et de ne pas accepter les autres modifications, c'est ce que le bureau proposait.

M. COCHAT, Président.- C'est-à-dire ? Tu peux reformuler ?

Un chef de projet pour la HAS.- De supprimer juste l'adjectif « *faible* » au niveau du rapport efficacité/effets indésirables : « *eu égard au faible niveau de preuve des données.* »

M. COCHAT, Président.- Au niveau de preuve simplement. D'accord.

Un chef de projet pour la HAS.- C'est une proposition.

M. COCHAT, Président.- Y a-t-il d'autres commentaires ? Sylvie.

M^{me} CHEVRET, membre de la CT.- Cela ne sert à rien, on joue sur les mots. Vous voulez dire qu'au lieu de « *eu égard au faible niveau de preuve* », on va dire « *eu égard au niveau de preuve* » ? C'est juste ça ? Cela revient un peu moins. Vous n'avez pas écrit ce que vous proposez comme réponse ?

M. COCHAT, Président.- C'est moins désagréable.

M^{me} CHEVRET, membre de la CT.- Cela me va.

Un chef de projet pour la HAS.- Cela vous va, de supprimer ou de laisser ?

M. COCHAT, Président.- Cela lui va de supprimer, c'est cela ?

M^{me} CHEVRET, membre de la CT.- Oui, c'est cela. Vous pouvez écrire « *eu égard au niveau de preuve.* »

M. COCHAT, Président.- Très bien.

M. CLANET, Vice-Président.- Nous restons factuels.

M. COCHAT, Président.- S'il n'y a pas d'autres questions ou commentaires, je propose que l'on vote cette modification : rejet de la proposition du laboratoire et suppression de « *faible* » dans l'avis.

M^{me} GATTULLI, pour la HAS.- Nous passons au vote. Compte tenu du nombre de présents et de leur statut Mesdames EIDEN, LOCHER et BARKA ne prennent pas part au vote.

(Il est procédé au vote.)

M^{me} GATTULLI, pour la HAS.- Nous avons 22 voix pour l'adoption de ce projet d'avis modifié.

M. COCHAT, Président.- Très bien. Merci.