



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

Mercredi 25 janvier 2023

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.

1. ABECMA (CT AP-134) - Examen Bristol Myers Squibb Post-AMM Renouvellement

M. COCHAT, Président.- On passe à ABECMA.

Un chef de projet pour la HAS.- Bonjour à tous. Vous allez voir pour la deuxième fois le renouvellement d'accès précoce d'ABECMA qui est un CAR-T. Je vais vous faire un petit rappel historique. Ici, vous avez l'indication telle qu'elle a été obtenue au niveau européen, le traitement des patients adultes atteints de myélomes multiples en rechutes ou réfractaires et qui ont reçu les trois classes principales de traitement pour cette pathologie : un agent immunomodulateur, un inhibiteur du protéasome, et un anticorps anti-CD38.

Un accès précoce post-AMM a été octroyé en décembre 2021, avec un périmètre restreint, puisqu'on a rajouté à l'indication centralisée ce que je vous ai mis ici, c'est-à-dire : lorsque toutes les options thérapeutiques ont été épuisées après avis d'une RCP. Ce dossier a également été vu en droit commun quelque temps après : SMR important, ASMR V, dans l'attente notamment des résultats d'une phase III, même si ce sera une ou deux lignes avant.

C'est un dossier que vous avez déjà examiné pour la demande de renouvellement en novembre, pour lequel vous disposiez de rapports d'ATU, plus des données d'accès précoce, sachant que les données d'accès précoce étaient arrêtées en avril. Vous aviez donné un avis favorable au renouvellement. Il y a eu une demande de données supplémentaires par la Présidente avant le passage en collège, donc un *clogstop*.

Nous avons reçu ces données supplémentaires par le laboratoire mi-janvier. C'est pour ça que vous allez le revoir aujourd'hui. La principale différence, c'est que lorsque vous l'aviez vu en novembre, les données de l'accès précoce étaient arrêtées en avril. Aujourd'hui, vous avez quatre mois de plus. Cela a été arrêté en août.

Voilà globalement ce que je peux vous dire sur ce qu'apportent les données : des patients en plus, mais toujours un certain nombre de données manquantes liées au fait que les patients sont inclus au fil de l'eau, qu'il faut bien geler la base de données à un moment ou à un autre. Du coup, on a pas mal de données manquantes. Vous voyez que les caractéristiques des patients inclus ne changent pas tellement.

En termes d'efficacité et de tolérance, on ne peut toujours pas dire grand-chose puisqu'il y a 31 patients pour lesquels on a l'information qu'ils ont bien reçu ABECMA, il y a seulement 7 patients pour lesquels on a des fiches de suivi. On ne peut tirer aucune conclusion des résultats d'efficacité. C'est la même chose pour la tolérance. La question qui va se poser, c'est si vous maintenez ou pas l'avis favorable au renouvellement que vous aviez donné en novembre.

M. COCHAT, Président.- OK. Merci à toi. Juste pour mémoire, en droit commun, il était avec un SMR important, une ASMR V. Jean-Christophe.

M. LEGA, membre de la CT.- Un commentaire : je suis vraiment très étonné de la qualité du recueil des données. Quand on fait une thèse d'exercice avec un étudiant qui collige les données nationalement dans les différents dossiers, on a une qualité de recueil qui est supérieure, alors que c'est le niveau 0 de la science.

M. COCHAT, Président.- Dans l'absolu, je suis d'accord avec toi, cela n'apporte pas grand-chose. Serge.

M. LEGA, membre de la CT.- Les pistes d'amélioration : les financements vont être envoyés vers les CH, CHU pour la collection des données, mais je ne comprends pas comment un industriel de cette taille pour un médicament comme celui-là peut tolérer un taux de complétude aussi bas.

Un chef de projet pour la HAS.- J'ai une explication possible, pas forcément une justification, c'est qu'il faut savoir que pour les CAR-T, les données sont aussi rentrées dans un registre qui est couvert par le droit commun qui s'appelle Descartes. Cela fait une double saisie pour les cliniciens. Il est donc possible, je n'ai pas la certitude, mais qu'ils privilégient peut-être le registre aux données du PUT.

M. COCHAT, Président.- Tu as raison de dire cela, parce que la réunion qu'on avait eue avec les gens de Descartes était quand même encourageante. Ils ont fait du bon boulot, de belles publications, ils ont les données qu'il faut, avec peut-être un décalage dans le temps qui est plus important que ce qu'on aurait aimé avoir ici pour ABECMA. Je crois que l'argument du chef de projet n'est peut-être pas faux, c'est-à-dire qu'ils privilégient probablement Descartes. Serge.

M. KOUZAN, membre de la CT.- Je voulais savoir quel était le cadre chronologique de ces renouvellements. On va les revoir avec quelle fréquence ? Jusqu'à quand ? Finalement, qu'attend-on du PUT, puisque pour le moment, on n'a rien ?

M. COCHAT, Président.- On en parle régulièrement. C'est-à-dire que le renouvellement peut être indéfini. On a l'impression qu'on est un peu parti là-dedans. La fréquence du renouvellement, c'est nous qui le déterminons, mais c'est au minimum une fois par an. Cela peut être moins, si on a déterminé moins dans notre premier avis.

Quant à la qualité du recueil des données, on est tous totalement d'accord. On va essayer d'avancer un peu là-dessus. Mais on est d'accord, on est dans une situation d'insuffisance par rapport aux attentes que nous avons au départ. Nous n'avons pas tellement de moyens d'action, dans le cadre juridique actuel, sur les industriels par rapport à cela. Il faut que la situation évolue, je suis totalement d'accord.

OK. Je propose que l'on vote. Le bureau, malgré cela, était favorable parce que finalement, il n'y a pas de données supplémentaires, il n'y a pas de données négatives non plus. Le bureau était favorable au renouvellement de l'accès précoce. Je vous laisse voter pour ou contre le maintien du renouvellement.

(Il est procédé au vote par appel nominatif.)

Pour : 18

Contre : 0

Abstention : 0

M^{me} DESBIOLLES, pour la HAS.- Donc vous étiez 18 votants et vous êtes 18 pour le maintien du renouvellement.

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