



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. ASPAVELI (CT AP-158) - Examen – Swedish Orphan Biovitrum - Post-AMM - Renouvellement

M. COCHAT, Président.- On va passer à ASPAVELI.

Un chef de projet pour la HAS.- Bonjour à toutes et à tous. Vous allez examiner la demande de renouvellement d'autorisation d'accès précoce post-AMM de la spécialité ASPAVELI à 1 080 milligrammes en poudre pour solution à diluer pour perfusion.

Pour rappel, ASPAVELI, dont le principe actif est le pegcetacoplan, est un inhibiteur du complément C3. Il a obtenu son AMM centralisée le 13 décembre 2021 dans l'indication du traitement de l'hémoglobininurie paroxystique nocturne chez les patients adultes anémiques après un traitement par inhibiteurs de C5 pendant au moins trois mois.

Pour rappel, le collège de la HAS avait octroyé une autorisation d'accès précoce le 16 février 2022 pour une durée de douze mois, dans un périmètre plus restreint par rapport à l'AMM, à savoir uniquement en cas de taux d'hémoglobine strictement inférieur à 10,5 grammes par décilitre. Le laboratoire avait également déposé une demande d'inscription en droit commun. Vous aviez rendu un avis favorable dans le même périmètre que celui accordé pour l'accès précoce, avec un SMR important et une ASMR de niveau III dans la stratégie thérapeutique.

Le laboratoire sollicite le renouvellement de l'autorisation d'accès précoce dans les mêmes conditions.

En termes de données, vous disposez des données issues du PUT-RD qui a couvert la période du 16 février 2022 au 16 octobre 2022, avec huit mois de recul. Pour rappel, comme il s'agit d'un accès précoce post-AMM, les variables à collecter étaient très limitées. Durant cette période, le laboratoire nous indique qu'il a reçu et validé six demandes de traitement par ASPAVELI, toutes dans l'indication concernée par l'autorisation d'accès précoce, uniquement en cas de taux d'hémoglobine strictement inférieur à 10,5 grammes par décilitres, et en conformité avec les critères d'éligibilité du PUT-RD.

Au niveau de la tolérance sur cette période couverte par le PUT-RD, ils ont détecté un total de cinq événements indésirables non graves.

Vous devez vous prononcer sur le renouvellement de l'accès précoce au regard des quatre critères.

M. COCHAT, Président.- Très bien. Merci. Y a-t-il des questions ou des commentaires ?

(La commission n'exprime aucune observation.)

OK. Ecoutez, dans ce cas, on va passer au vote. Si, Etienne.

M. LENGLINE, Vice-Président.- Oui, juste un commentaire sur les caractéristiques des patients qui sont inclus dans le PUT. Pour faire la demande du produit, on est obligé de cocher qu'ils

ont les critères. Donc forcément, on va toujours avoir des patients qui ont les critères. Sans monitoring des données sources, on ne peut pas en être certain.

Après, le même critère que Serge tout à l'heure, c'est vrai que c'est toujours un peu curieux de renouveler un accès précoce pour lequel le droit commun a été vu assez longtemps auparavant. C'est un peu inquiétant les durées de...

M. COCHAT, Président.- Surtout avec une ASMR III, on était habitués à avoir surtout des V. Mais là, je pense que la négociation de prix n'a pas abouti. Mais là, ce n'est pas notre ressort.

OK, je propose qu'on passe au vote de renouvellement ou pas de cet accès précoce.

(Il est procédé au vote par appel nominatif.)

Pour : 18

Contre : 0

Abstention : 0

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

M. COCHAT, Président.- Merci.