



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

Mercredi 22 février 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. JAKAVI - Examen — Post-AMM — Renouvellement

Michel Clanet, Vice-Président.- Nous passons à JAKAVI.

Un chef de projet, pour la HAS.- Il s'agit d'une demande de renouvellement de l'autorisation d'accès précoce post-AMM de JAKAVI, le ruxolitinib en 5 et 10 milligrammes en comprimés. C'est un accès précoce qui avait été initialement délivré en juillet 2022 dans l'indication du traitement des patients âgés de 12 ans et plus atteints de la maladie du greffon contre l'hôte aiguë ou maladie du greffon contre l'hôte chronique qui ont une réponse inadéquate aux corticostéroïdes ou à d'autres traitements systémiques.

JAKAVI a obtenu une extension de son AMM en avril 2022 dans cette indication. Pour rappel, dans votre avis du mois d'octobre 2022, la commission a rendu un avis favorable au remboursement dans cette extension d'indication avec un SMR important et une ASMR IV dans la stratégie thérapeutique.

Le laboratoire sollicite aujourd'hui le renouvellement d'accès précoce dans les mêmes conditions, notamment sur la base du premier rapport périodique qui portait sur les patients inclus dans le cadre de l'accès précoce. Ce rapport couvre la période du 31 mai au 3 octobre 2022.

Au cours de cette période, nous avons eu 31 patients qui ont fait une demande d'accès précoce. 30 ont été inclus conformément aux critères d'éligibilité du PUT-RD, avec 20 patients atteints de GVH aiguë et 10 patients atteints de GVH chronique. Tous les patients ont été traités par ruxolitinib, dont 2 patients qui avaient débuté ce traitement avant l'inclusion dans l'accès précoce.

La durée médiane d'exposition au traitement à la date de cut-off était de 1,7 mois chez les patients atteints de GVH aiguë et de 2 mois chez les patients atteints de GVH chronique.

Pour rappel, la dose initiale recommandée est de 10 milligrammes 2 fois par jour par voie orale. Parmi les données disponibles, nous avons environ 70 % des patients qui avaient reçu une dose initiale de 20 milligrammes par jour et 31 % qui avaient reçu une dose de 10 milligrammes par jour. Nous avons seulement des données de suivi de 8 patients atteints de GVH aiguë disponibles, puisqu'aucune fiche de suivi n'est disponible pour les patients atteints de GVH chronique et aucun questionnaire de qualité de vie n'a été collecté.

Ces 8 patients ont répondu au traitement avec une meilleure réponse depuis l'inclusion obtenue dans un délai médian de 14 jours. Un seul patient est décédé au cours de l'accès précoce, mais le décès a été jugé non relié au traitement par l'investigateur.

Concernant la tolérance, aucun événement indésirable ayant conduit à une modification de dose, une interruption temporaire ou un arrêt de traitement n'a été rapporté à ce jour dans le cadre de l'accès précoce. Sur la période couverte par le rapport, aucune mesure de réduction des risques pour raison de sécurité d'emploi n'a été requise.

Voilà ce que je peux vous dire sur ces données.

Michel Clanet, Vice-Président.- Y a-t-il des questions ou commentaires ? Etienne ?

Etienne Lengliné, Vice-Président.- Je voulais juste dire que ce sont des données probablement à prendre un peu avec des pincettes parce que le JAKAVI est disponible en ville dans d'autres indications et on suspecte qu'il y ait des ordonnances de JAKAVI qui soient faites dans l'indication GVH et qui du coup échappent totalement au recueil de données du PUT dans le cadre de l'accès précoce. Cela ne change pas notre décision d'aujourd'hui, mais il faut l'avoir en tête quand on analyse les données du PUT dans ce contexte.

Michel Clanet, Vice-Président.- D'accord. Ce que l'on ne comprend pas dans ce contexte, c'est la raison pour laquelle nous sommes encore en train de discuter au niveau de...

Etienne Lengliné, Vice-Président.- Tout à fait. J'ai arrêté de faire le commentaire telle nous en avons eu, mais c'est vrai que c'est incompréhensible.

Michel Clanet, Vice-Président.- Nous nous exprimons pour ou contre le renouvellement. Nous votons.

(Il est procédé au vote par appel nominatif.)

Stéphanie Luzio, pour la HAS.- Vous étiez 18 votants. Il y a 18 voix pour le renouvellement de l'accès précoce.