
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament pour
une demande d'autorisation d'accès
précoce

Informations administratives (contact, financement)

Identité de l'association ou du groupe

Nom (sigle) : AFM-Téléthon, AFM. Association de malades et de leurs familles reconnue d'utilité publique - Association de patients agréée au niveau national. Agrément N2021RN0022 renouvelé par arrêté ministériel du 17 juin 2021 - L'AFM-Téléthon est dirigée par un Conseil d'administration constitué uniquement de malades ou parents de malades

Site internet : <https://www.afm-telethon.fr/>

Principales activités : Vaincre les maladies neuromusculaires grâce à la recherche et au développement de nouvelles thérapeutiques. Accompagner les malades au quotidien. Voir rapport annuel accessible sur le site internet de l'AFM-Téléthon : <https://www.afm-telethon.fr/fr/actualites/le-rapport-annuel-et-financier-2021-est-paru>

Adresse : 1 rue de l'Internationale, Evry – 91 000 EVRY Cedex -

Personne contact pour les contributions : Hervé Nabarette

Fonction: Dir adjoint Affaires Publiques

Email: hnabarette@afm-telethon.fr

Informations sur le financement de votre structure

Souhaitez-vous que vos réponses à cette rubrique soient rendues publiques (mise en ligne sur le site internet de la HAS) ?

☐ Oui

☐ Non

Budget total de l'association pour l'année passée : l'intégralité des comptes de l'AFM-Téléthon et du rapport du commissaire aux comptes sont publiés sur le site internet de l'association [AFM_RA2022 web.pdf \(afm-telethon.fr\)](#)

En 2022, les recettes ont été de 132,5 millions d'euros. 88 % provenait de la générosité du public, 8,2% de contributions publiques. (voir P19 du rapport annuel et financier cité ci-dessus)

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial : Nexvyadime

Dénomination commune internationale (DCI) : Avalglucosidase alfa

Indication pour l'évaluation d'un médicament en vue de remboursement ou d'autorisation d'accès précoce :

Renouvellement d'un médicament en accès précoce post-AMM

Avalglucosidase alfa (Nexviadyme) est indiqué pour le traitement des patients adultes et pédiatriques atteints de la maladie de Pompe, en cas d'échec à l'αglucosidase alfa (Myozyme)

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

☐ En vue du remboursement de droit commun

☐ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

Les accès précoces doivent être renouvelés au bout d'un. C'est l'occasion de considérer les données nouvellement recueillies, qui augmentent la connaissance sur la prise et les effets du médicament. Les associations sont invitées à contribuer aux évaluations. Mais n'ayant pas accès au dossier de l'industriel, elles ne connaissent pas ces informations, portant sur un médicament financé par la collectivité et que prennent les patients qu'elles représentent. L'AFM-Téléthon et les autres associations de France Assos Santé réclament depuis plusieurs années d'avoir connaissance du contenu des dossiers déposés. Il s'agit d'une condition importante pour accroître la pertinence des contributions.

Ci-après, dans l'ignorance des nouvelles informations sur le médicament, nous rappelons la synthèse de notre précédente contribution.

1. Questionnaire – Partie D : Synthèse

Concernant l'indication visée

Le laboratoire a développé Nexvyadime en tant que successeur du médicament Myozyme, comme traitement de substitution enzymatique dans la prise en charge de la maladie de Pompe. Il est logique que dans un premier temps l'accès dérogatoire vise les patients chez qui Myozyme n'a pas ou plus de bénéfice, puisqu'il existe une grande variabilité des réponses à ce traitement, et souvent une baisse de son efficacité après quelques années. Par ailleurs, le nouveau médicament fait déjà l'objet d'une autorisation d'accès compassionnel et d'une autorisation d'accès précoce par l'ANSM suite aux ATU nominative et de cohorte accordées en 2021 (mais notre association n'a pas eu communication d'informations sur cette cohorte).

Les patients en échappement ou réfractaires à Myozyme risquent de connaître le cours normal de la maladie de Pompe, c'est-à-dire un décès rapide pour les formes infantiles, et dans les formes tardives (juvéniles ou adulte), des détériorations des capacités musculaires et respiratoires et l'évolution vers des incapacités importantes. Les conséquences des évolutions invalidantes sur la vie quotidienne s'aggravent avec l'évolution de la maladie, dégradant fortement la qualité de vie de la personne malade et de son entourage. A tout stade de la maladie, les personnes se plaignent fréquemment de douleurs et d'une grande fatigabilité.

Un nouveau traitement enzymatique substitutif peut permettre d'enregistrer de plus grands bénéfices : plus de patients répondeurs, effets plus durables. A cet égard, les premiers résultats de l'étude mini-COMET qui visait à tester l'innocuité et l'efficacité de Nexviazyme chez des patients porteurs de la forme infantile de la maladie et traités sans succès avec Myozyme sont très encourageants. Les malades espèrent que l'innovation moléculaire apportée permettra aussi d'enregistrer des résultats positifs sur les formes tardives. Pour les patients concernés, une amélioration est importante, mais un ralentissement de la vitesse de dégradation d'une fonction est déjà un gain précieux. La préservation d'un geste est d'autant plus valorisée que la maladie progresse. Comme pour Myozyme, il convient de réunir les conditions pour décider de la poursuite ou de l'arrêt du traitement.

Un questionnaire de recueil de données de santé par les patients a été validé dans la maladie de Pompe. Il s'agit de l'échelle d'activité R-Pact, qui permet de détecter les limitations des activités et de la participation sociale sur l'ensemble des patients atteints de la maladie. Elle a été utilisée dans diverses études cliniques, dont COMET et MINI COMET. Elle est préconisée dans le PNDS pour le suivi des malades, a été utilisée dans le contexte français, et figure aussi dans les données de l'ATU de cohorte/autorisation d'accès précoce que les cliniciens doivent recueillir.

Concernant le PUT RD

Dans le contexte hospitalier actuel de tensions sur l'offre de soins, le passage d'un suivi tous les 3 mois (ATU de cohorte) à un suivi tous les 6 mois (projet de PUT RD) nous semble un facteur favorable à la mise sous traitement des patients.

En revanche, dans le PUT RD proposé, le changement de PRO par rapport à ce qui est en vigueur dans l'autorisation actuelle d'accès précoce est contestable (PGIC à la place de R-Pact).

Le « patient global impression of change » (PGIC) traduit le ressenti global du patient sur l'évolution des symptômes, des activités, de la mobilité et de la capacité à respirer depuis le début du traitement. Il est intéressant lorsqu'il est utilisé dans deux groupes traités en aveugle : on compare les ressentis des deux groupes. Mais quelle est la pertinence de ce PRO chez des patients qui se savent traités ? Par ailleurs, que sait-on de sa fiabilité lorsque la durée du traitement s'accroît ?

Le questionnaire spécifique R-Pact est un instrument reconnu (voir plus haut). Son utilisation permettrait une continuité avec l'ATU de cohorte/ accès précoce en vigueur. Les données recueillies autoriseront des comparaisons en matière d'activités. Le recueil déjà initié par les cliniciens devrait donc se poursuivre.