

Décision n° 2024.0320/DC/SEM du 20 novembre 2024 du collège de la Haute Autorité de santé portant retrait de l'autorisation d'accès précoce de la spécialité CASGEVY (exagamglogene autotemcel)

Le Collège de la Haute Autorité de santé ayant valablement délibéré en sa séance du 20 novembre 2024.

Vu le code de la sécurité sociale, notamment les articles L. 161-37 et R. 161-78-1 et suivants ;
Vu le code de la santé publique, notamment les articles L. 5121-12 et R. 5121-68 et suivants ;
Vu le règlement intérieur du Collège ;
Vu le règlement intérieur de la Commission de la transparence ;
Vu la décision d'autorisation d'accès précoce de la Haute Autorité de santé n°2024.0187 du 11 juillet 2024 ;
Vu la demande de retrait d'autorisation d'accès précoce présentée par le laboratoire VERTEX PHARMACEUTICALS FRANCE reçue le 18 octobre 2024 ;
Vu l'avis de la Commission de la transparence du 20 novembre 2024 ;

DÉCIDE :

Article 1^{er}

Le médicament CASGEVY (exagamglogene autotemcel) a fait l'objet d'une autorisation d'accès précoce dans l'indication « traitement de la drépanocytose sévère chez les patients âgés de 12 ans et plus présentant des crises vaso occlusives récurrentes (CVO) éligibles à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) et pour lesquels un donneur apparenté HLA (Antigène leucocytaire humain)-compatible n'est pas disponible » le 25 juillet 2024.

Par courrier du 18 octobre 2024, le laboratoire VERTEX PHARMACEUTICALS FRANCE a demandé à la HAS de procéder au retrait de cette autorisation.

Le Collège et la Commission de la transparence regrettent la décision du laboratoire du fait de ses répercussions sur la prise en charge des patients français.

En application du II de l'article R. 5121-72-1 du code de la santé publique, l'autorisation est donc retirée.

La continuité des traitements initiés est assurée dans les conditions visées à l'article L. 162-16-5-4 du code de la sécurité sociale.

Article 2

Le directeur général de la Haute Autorité de santé est chargé de l'exécution de la présente décision qui sera publiée au Bulletin officiel de la Haute Autorité de santé.

Fait le 20 novembre 2024.

Pour le collège :
Le président de la Haute Autorité de santé,
Pr Lionel COLLET
Signé

**AVIS SUR LES
MÉDICAMENTS**

exagamglogène autotemcel

**CASGEVY 4 à 13×10^6
cellules/mL,**

dispersion pour perfusion

Demande de retrait de l'autorisation d'accès
précoce post-AMM

Adopté par la Commission de la transparence le 20 novembre 2024

- Drépanocytose sévère
- Adulte / Adolescent / Enfant

Synthèse

La Commission prend acte de la demande de retrait de l'autorisation d'accès précoce post-AMM.

Le Commission de la transparence regrette la décision du laboratoire du fait de ses répercussions sur la prise en charge des patients français.

Sommaire

1.	Contexte	3
2.	Conclusions de la Commission de la Transparence	4

Ce document ainsi que sa référence bibliographique sont téléchargeables sur www.has-sante.fr 
Le présent avis est publié sous réserve des droits de propriété intellectuelle
Haute Autorité de santé – Service communication et information
5 avenue du Stade de France – 93218 SAINT-DENIS LA PLAINE CEDEX. Tél. : +33 (0)1 55 93 70 00
© Haute Autorité de santé – Novembre 2024

1. Contexte

Cadre procédural de l'avis	Demande de retrait de l'autorisation d'accès précoce post-AMM (R. 5121-72-1, II du code santé publique)
Cadre	Dans une décision du 11 juillet 2024¹, le Collège de la HAS a octroyé un accès précoce post-AMM à CASGEVY (exagamglogene autotemcel) dans l'indication suivante : « Traitement de la drépanocytose sévère uniquement chez les patients âgés de 12 à 35 ans présentant des crises vaso-occlusives récurrentes (CVO) malgré un traitement bien conduit par hydroxycarbamide éligibles à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) et pour lesquels un donneur apparenté HLA (antigène leucocytaire humain) compatible n'est pas disponible et dont la sévérité de la maladie est établie par : – la mise en place d'un programme transfusionnel depuis au moins 6 mois pour épisodes vaso-occlusifs récurrents (population pédiatrique et adulte), – ET/OU, pour la population adulte seulement, la persistance d'épisodes vaso-occlusifs récurrents ayant nécessité une hospitalisation conventionnelle dans l'année (≥ 2 épisodes/an ou ≥ 1 épisode/an ayant nécessité une transfusion). » Auparavant, le 28 août 2024², la Commission de la transparence avait octroyé à CASGEVY (exagamglogene autotemcel) un avis favorable au remboursement dans le même périmètre que l'accès précoce octroyé, avec un SMR modéré et une ASMR V (SMR insuffisant dans les autres situations cliniques couvertes par l'indication AMM dans la drépanocytose). La Commission avait conditionné le maintien du SMR modéré à sa réévaluation dans un délai maximal de 3 ans sur la base des résultats complémentaires demandés. Le laboratoire indique souhaiter retirer l'accès précoce post-AMM octroyé le 11 juillet 2024. Le Commission de la transparence regrette la décision du laboratoire du fait de ses répercussions sur la prise en charge des patients français. Le laboratoire précise que cet arrêt n'entraînera aucune conséquence sur la continuité des soins du fait qu'aucun patient n'a intégré le programme d'accès précoce. Note : l'accès précoce octroyé par la HAS le 18 janvier 2024 dans l'indication bêta-thalassémie n'est pas concerné par cette demande de retrait.
DCI (code ATC) Présentation concernée	Exagamglogène autotemcel (B06AX05) CASGEVY 4 à 13 x 10⁶ cellules/mL – 1 flacon de 1,5 mL à 20 mL (CIP : 34009 550 995 7 4)
Laboratoire	VERTEX PHARMACEUTICALS FRANCE (Exploitant)

¹ [Décision du Collège de la HAS d'autorisation d'accès précoce octroyée à la spécialité CASGEVY \(exagamglogene autotemcel\) dans la drépanocytose sévère.](#)

² Avis de la Commission de la transparence de la HAS du 11 juillet 2024 [CASGEVY \(exagamglogene autotemcel\)](#) dans la drépanocytose sévère.

AMM	Date initiale (AMM conditionnelle selon une procédure centralisée) : 09 février 2024 dans les indications suivantes : – Drépanocytose « CASGEVY est indiqué dans le traitement de la drépanocytose sévère chez les patients âgés de 12 ans et plus présentant des crises vaso-occlusives récurrentes (CVO) éligibles à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) et pour lesquels un donneur apparenté HLA (antigène leucocytaire humain)-compatible n'est pas disponible ». – β-thalassémie « Casgevy est indiqué dans le traitement de la β-thalassémie dépendante des transfusions (TDT) chez les patients âgés de 12 ans et plus éligibles à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) et pour lesquels un donneur apparenté HLA (antigène leucocytaire humain)-compatible n'est pas disponible ». La présente évaluation ne concerne que l'indication dans la drépanocytose. Spécificités L'AMM est associée à un PGR européen et à des mesures additionnelles de réduction du risque. De plus, s'agissant d'une AMM conditionnelle, elle est soumise à des obligations spécifiques relatives aux mesures post-autorisation de mise sur le marché conditionnelle, afin de confirmer l'efficacité et la sécurité du produit.
Conditions et statuts	Conditions de prescription et de délivrance – Liste I – Médicament réservé à l'usage hospitalier – Médicament à prescription hospitalière (PH) – Médicament de prescription réservée aux spécialistes en hématologie ou aux médecins compétents en maladies du sang (PRS) – Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement (SPT) Statut particulier – Médicament de thérapie innovante (MTI) : CASGEVY (exagamglogène autotemcel) est un produit de thérapie génique. Il s'agit d'un type de médicament qui contient des cellules génétiquement modifiées.
Evaluation par la Commission	– Calendrier d'évaluation : • Date d'examen et d'adoption : 20 novembre 2024.

2. Conclusions de la Commission de la Transparence

La Commission prend acte de la demande de retrait de l'autorisation d'accès précoce post-AMM.