

Décision n° 2024.0348/DC/SEM du 12 décembre 2024 du collège de la Haute Autorité de santé portant retrait de l'autorisation d'accès précoce de la spécialité CASGEVY (exagamlogene autotemcel)

Le Collège de la Haute Autorité de santé ayant valablement délibéré en sa séance du 12 décembre 2024.

Vu le code de la sécurité sociale, notamment ses articles L. 161-37 et R. 161-78-1 et suivants ;
Vu le code de la santé publique, notamment ses 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°2024.0015 du 18 janvier 2024 ;
Vu la demande de retrait d'autorisation d'accès précoce présentée par le laboratoire VERTEX PHARMACEUTICALS FRANCE reçue le 22 novembre 2024 ;
Vu l'avis de la Commission de la transparence du 11 décembre 2024 ;

DÉCIDE :

Article 1^{er}

Le médicament CASGEVY (exagamlogene autotemcel) a fait l'objet d'une autorisation d'accès précoce dans l'indication « Traitement de la β thalassémie dépendante des transfusions (TDT) chez les patients âgés de 12 ans à 35 ans 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 18 janvier 2024.

Par courrier du 22 novembre 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 déplorent la décision du laboratoire du fait de ses répercussions sur la prise en charge des patients français.

La HAS souhaite que tout soit mis en œuvre afin d'assurer la continuité de traitement des patients en cours, y compris ceux ayant fait l'objet de la préparation au traitement (notamment la mobilisation, l'aphérèse voire le conditionnement myéloablatif) et n'ayant pas encore reçu Casgevy (exagamlogene autotemcel).

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 12 décembre 2024.

Pour le collège :
Le président de la Haute Autorité de santé,
P^r 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 11 décembre 2024

- β -thalassémie dépendante des transfusions (TDT)
- 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 – [Date]

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 18 janvier 2024¹, le Collège de la HAS a octroyé un accès précoce pré-AMM à CASGEVY (exagamglogène autotemcel) dans l'indication suivante : « Traitement de la β thalassémie dépendante des transfusions (TDT) chez les patients âgés de 12 ans à 35 ans éligibles à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) et pour lesquels un donneur apparenté HLA (antigène leucocytaire humain) compatible n'est pas disponible ». L'obtention de l'AMM en date du 9 février 2024 n'a pas modifié cette décision initiale. Par la suite, le 25 septembre 2024², la Commission de la transparence a octroyé un avis favorable au remboursement dans le cadre du droit commun dans le même périmètre que l'accès précoce octroyé, avec un SMR important conditionnel et une ASMR IV (SMR insuffisant dans les autres situations cliniques couvertes par l'indication AMM dans la β-thalassémie, à savoir les patients âgés de plus de 35 ans). La Commission avait conditionné le maintien du SMR important 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 octroyé le 18 janvier 2024. Le laboratoire s'engage à assurer une continuité de traitement aux patients déjà inclus dans l'accès précoce. Note : l'accès précoce octroyé par la HAS le 11 juillet 2024 dans l'indication drépanocytose a déjà été retiré en date du 20 novembre 2024³ à la demande du laboratoire.
DCI (code ATC) Présentation concernée	Exagamglogène autotemcel (B06AX05) CASGEVY 4 à 13 x 10⁶ cellules/mL B/1 flacon de 1,5 mL à 20 mL (CIP : 34009 550 995 7 4)
Laboratoire	VERTEX PHARMACEUTICALS FRANCE (Exploitant)
AMM	Date initiale (AMM conditionnelle selon une procédure centralisée) : 09 février 2024 dans les indications suivantes : 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.

¹ Haute Autorité de Santé - Décision n° 2024.0015/DC/SEM du 18 janvier 2024 du collège de la Haute Autorité de santé portant autorisation d'accès précoce de la spécialité CASGEVY (exagamglogène autotemcel).

² Haute Autorité de Santé - CASGEVY (exagamglogène autotemcel) - β -thalassémie dépendante des transfusions (TDT).

³ Haute Autorité de Santé - 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 (exagamglogène autotemcel)

	– 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 ». 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 : 11 décembre 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.

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