Avis n°2025.0002/AC/SEM du 16 janvier 2025 du collège de la Haute Autorité de santé relatif au projet d'arrêté visant à actualiser l'arrêté du 24 novembre 2021 limitant l'utilisation de médicaments de thérapie génique indiqués dans le traitement des enfants atteints de leucodystrophie métachromatique à certains établissements de santé en application de l'article L. 1151-1 du code de la santé publique

Le collège de la Haute Autorité de santé ayant valablement délibéré en sa séance du 16 janvier 2025,

Vu le code de la santé publique, notamment son article L.1151-1 ;
Vu l'avis du collège de la Haute Autorité de santé n° 2021.0074/DC/SEM du 21 octobre 2021 ;
Vu l'arrêté du 24 novembre 2021 limitant l'utilisation de médicaments de thérapie génique indiqués dans le traitement des enfants atteints de leucodystrophie métachromatique à certains établissements de santé en application des dispositions de l'article L. 1151-1 du code de la santé publique ;
Vu les avis de la commission de la transparence du 21 avril 2021 et du 6 novembre 2024 portant sur la spécialité LIBMELDY, 2-10 x 10^6 cellules/mL dispersion pour perfusion ;
Vu la demande d'avis de la Direction générale de l'offre de soins du Ministère du travail, de la santé et des solidarités adressée le 12 mars 2024 sur le projet d'arrêté visant à actualiser l'arrêté du 24 novembre 2021 limitant l'utilisation de médicaments de thérapie génique indiqués dans le traitement des enfants atteints de leucodystrophie métachromatique à certains établissements de santé en application des dispositions de l'article L. 1151-1 du code de la santé publique ;

ADOPTE L'AVIS SUIVANT :

Le collège de la Haute Autorité de santé est favorable au projet d'arrêté visant à actualiser l'arrêté du 24 novembre 2021 limitant l'utilisation de médicaments de thérapie génique indiqués dans le traitement des enfants atteints de leucodystrophie métachromatique à certains établissements de santé en application des dispositions de l'article L. 1151-1 du code de la santé publique, sous réserve de la modification suivante :

- Ajout de l'extension d'indication dans le traitement de la leucodystrophie métachromatique chez les enfants symptomatiques présentant des manifestations cliniques précoces de la maladie, qui ont conservé la capacité de marcher indépendamment et avant l'apparition du déclin cognitif, atteints de la forme juvénile précoce (se manifestant entre 30 mois et 6 ans inclus) lorsque cette dernière sera inscrite sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités ou prise en charge dans le cadre de l'accès précoce, le cas échéant.

Le présent avis sera publié au Bulletin officiel de la Haute Autorité de santé.

Fait le 16 janvier 2025.

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