



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ
COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

Mercredi 28 mai 2025

Seul l'avis de la CT fait foi - Occultations sous la responsabilité du laboratoire

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.

**Examen – Réévaluation SMR et ASMR – ASPAVELI 1080 mg (pegcétacoplan)
(CT-21273) - SWEDISH ORPHAN BIOVITRUM**

M. Le Pr COCHAT, Président.- On va passer à ASPAVELI.

M^{me} LUZIO, pour la HAS.- Sur ce dossier, il n'y a pas de dépôt.

Une cheffe de projet pour la HAS.- Pour rappel, vous réévaluez aujourd'hui la spécialité ASPAVELI, qui est le pegcétacoplan, à la demande du laboratoire, en ce qui concerne les périmètres du SMR et de l'ASMR.

Rapidement, pour rappel, l'ASPAVELI est une molécule qui inhibe la voie proximale du complément, qui est indiquée dans la HPN, l'hémoglobinurie paroxystique nocturne, et qui est donnée en perfusion sous-cutanée à une fréquence de deux fois par semaine. ASPAVELI avait obtenu une AMM initiale dans le traitement de la HPN chez les patients adultes anémiques qui avaient déjà initié un traitement par inhibiteur de C5 pendant au moins trois mois. Le laboratoire était venu avec une primo inscription et avait obtenu un avis favorable, un SMR important et une ASMR III en février 2022, chez les patients qui étaient traités par inhibiteur de C5 anémique, mais avec un traitement depuis moins de trois mois et uniquement en cas de taux d'hémoglobine inférieur à 10,5 grammes par décilitre.

Pour rappel également, ASPAVELI a également eu une extension d'indication en mai 2024, chez les patients adultes présentant une anémie hémolytique, à savoir en première ligne de traitement. Mais cette indication a obtenu un SMR insuffisant pour justifier d'une prise en charge, notamment, chez les patients avec une anémie hémolytique et naïfs de ce traitement par inhibiteur du complément.

Ici, il s'agit vraiment de la réévaluation dans le périmètre initial qui avait été octroyé par la Commission, à savoir chez les patients qui sont déjà traités par anti C5 depuis moins de trois mois et qui ont un taux d'hémoglobine inférieur à 10,5 grammes par décilitre. Le laboratoire demande une réévaluation du périmètre du SMR et de l'ASMR III, sans changer les niveaux, pour, finalement, aligner le périmètre qui a été retenu par la CT au périmètre de ses comparateurs.

Pour expliquer tout cela, rapidement, dans la stratégie thérapeutique, en première intention, on a ECLIRIS et ULTOMIRIS qui sont donnés, ce sont les inhibiteurs de C5. Et en seconde intention, après avoir été traité par inhibiteurs de C5, on a aujourd'hui trois molécules. ASPAVELI est le premier produit arrivé, pour lequel on avait octroyé le périmètre que j'ai précisé juste avant. Et, par la suite, nous avons eu deux comparateurs qui sont arrivés, FABHALTA, l'iptacopan, inhibiteur du facteur B, et VOYDEYA, danicopan, inhibiteur du facteur D. Ces deux molécules ont obtenu des SMR importants et ASMR III au même titre qu'ASPAVELI, mais dans un périmètre différent, à savoir chez les patients qui ont une anémie hémolytique symptomatique après traitement par anti-C5, mais pendant au moins six mois et sans préciser le taux d'hémoglobine. Ici, le laboratoire demande que le périmètre du SMR et de l'ASMR d'ASPAVELI soit le même que pour FABHALTA, VOYDEYA.

Pour cette réévaluation, nous n'avons pas d'expertise et nous n'avons pas de nouvelles données qui nous sont transmises par le laboratoire, que ce soit d'efficacité ou de tolérance. Il s'agit simplement, vraiment, d'un alignement du périmètre d'ASPAVELI à ceux de FABHALTA et de VOYDEYA.

M. Le Pr COCHAT, Président.- OK.

M. le Dr LENGLINÉ, Vice-Président.- Veux-tu que je commente, puisque j'ai été rapporteur sur tous les dossiers ?

M. Le Pr COCHAT, Président.- Vas-y, oui.

M. le Dr LENGLINÉ, Vice-Président.- C'était juste pour dire qu'ASPAVELI était le premier que l'on avait vu. On avait déterminé un périmètre qui collait stricto sensu aux critères d'inclusion dans l'étude. Sachant que le périmètre qui a été proposé aux deux autres inhibiteurs proximaux, dans un deuxième temps, correspond plus à la place actuelle des inhibiteurs proximaux. C'est-à-dire que l'on attend plus longtemps, en effet, en pratique, plutôt six mois, avant de déterminer qu'il y a un échec d'un anti-C5. Et le fait de ne pas mettre un taux d'hémoglobine différent entre chacun des médicaments permet aussi de clarifier les choses. Donc, je ne pense pas qu'il y ait un énorme enjeu sur cette modification du périmètre qui, je pense, devrait être acceptée.

M. Le Pr COCHAT, Président.- Y a-t-il d'autres commentaires ou questions ? Je propose de voter sur alignement ou pas alignement avec les autres, FABHALTA et VOYDEYA.

(Il est procédé au vote par appel nominatif.)

M^{me} LUZIO, pour la HAS.- Vous étiez 25 votants et vous avez voté à l'unanimité pour l'alignement.

M. Le Pr COCHAT, Président.- Très bien. Donc, on peut l'adopter sur table.