

Décision n° 2025.0198/DC/SEM du 24 juillet 2025 du collège de la Haute Autorité de santé portant refus de renouvellement de l'autorisation d'accès précoce de la spécialité KIMOZO (témozolomide)

Le collège de la Haute Autorité de santé ayant valablement délibéré en sa séance du 24 juillet 2025.

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°2022.0108 du 31 mars 2022 ;
Vu les décisions de renouvellement d'autorisation d'accès précoce de la Haute Autorité de santé n°2023.0220 du 15 juin 2023 et 2024.0224 du 25 juillet 2024 ;
Vu la demande de renouvellement d'autorisation d'accès précoce présentée par le laboratoire ORPHELIA PHARMA pour la spécialité KIMOZO (témozolomide), reçue le 7 mai 2025 ;
Vu la demande d'autorisation de mise sur le marché déposée par le demandeur ;
Vu l'accusé d'enregistrement de demande complète notifié le 19 mai 2025 au demandeur ;
Vu la notification de la HAS indiquant la prorogation du délai d'instruction de la demande d'autorisation d'accès précoce, adressée le 19 mai 2025 au demandeur ;
Vu l'avis de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) du 17 juillet 2025 ;

DÉCIDE :

Article 1^{er}

L'autorisation d'accès précoce, renouvelée les 15 juin 2023 et 25 juillet 2024, concerne la spécialité KIMOZO (témozolomide), dans l'indication « en monothérapie ou en association à un inhibiteur spécifique de l'ADN topoisomérase I (irinotécan ou topotecan) dans le traitement des patients pédiatriques âgés de 1 à 6 ans et chez les patients âgés de plus de 6 ans dans l'incapacité d'avaler le témozolomide sous forme de gélule et atteints :

- d'un neuroblastome à haut risque réfractaire ou présentant une réponse insuffisante à la chimiothérapie d'induction
- d'un neuroblastome à haut risque récidivant après une réponse au moins partielle à la chimiothérapie d'induction suivie d'un traitement myéloablatif et d'une greffe de cellules souches ».

Au vu des nouvelles données disponibles, l'ANSM a conclu que l'efficacité et la sécurité de ce médicament dans cette indication n'étaient plus fortement présumées.

Dans ces conditions, et sans qu'il soit besoin d'examiner les autres critères énoncés à l'article L. 5121-12 du code de la santé publique, la demande de renouvellement d'autorisation d'accès précoce est refusée.

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 24 juillet 2025.

Pour le collège :
Le président de la Haute Autorité de santé,
P^r Lionel COLLET
Signé