
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament pour
une demande d'autorisation d'accès
précoce

Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.

Identité de l'association ou du groupe

Nom (sigle) : AFM-Téléthon, AFM. Association de malades et de leurs familles reconnue d'utilité publique - Association de patients agréée au niveau national. Agrément N2021RN0022 renouvelé par arrêté ministériel du 17 juin 2021 - L'AFM-Téléthon est dirigée par un Conseil d'administration constitué uniquement de malades ou parents de malades

Site internet : <https://www.afm-telethon.fr/>

Principales activités : Vaincre les maladies neuromusculaires grâce à la recherche et au développement de nouvelles thérapeutiques. Accompagner les malades au quotidien. Voir rapport annuel accessible sur le site internet de l'AFM-Téléthon : <https://www.afm-telethon.fr/fr/actualites/le-rapport-annuel-et-financier-2021-est-paru>

Adresse : 1 rue de l'Internationale, Evry – 91 000 EVRY Cedex -

Personne contact pour les contributions : Hervé Nabarette

Fonction: Dir adjoint Affaires Publiques

Email: hnabarette@afm-telethon.fr

Informations sur le financement de votre structure

Souhaitez-vous que vos réponses à cette rubrique soient rendues publiques (mise en ligne sur le site internet de la HAS) ?

☐ Oui

☐ Non

Budget total de l'association pour l'année passée : l'intégralité des comptes de l'AFM-Téléthon et du rapport du commissaire aux comptes sont publiés sur le site internet de l'association (rapport annuel et financier 2024).

En 2024, les recettes ont été de 130,9 millions d'euros. 87,8 % provenait de la générosité du public, 8,9 % de contributions publiques. (voir P19 du rapport annuel et financier cité ci-dessus).

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial : Nexvyadime

Dénomination commune internationale (DCI) : Avalglucosidase alfa

Indication pour l'évaluation d'un médicament en vue de remboursement ou d'autorisation d'accès précoce :

Renouvellement d'un médicament en accès précoce post-AMM

Avalglucosidase alfa (Nexviadyme) est indiqué pour le traitement des patients adultes et pédiatriques atteints de la maladie de Pompe, en cas d'échec à l'αglucosidase alfa (Myozyme)

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

☐ En vue du remboursement de droit commun

☐ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

Cette évaluation se fait à l'occasion du **deuxième renouvellement d'accès précoce AP2** pour Nexviadyme.

A l'issue de la période d'accès précoce, le médicament **entrera dans le droit commun**.

En 2022, Nexviadyme a reçu un SMR important dans le traitement des formes infantiles de la maladie de Pompe et un SMR faible dans le traitement des formes tardives de la maladie de Pompe, et une absence d'ASMR dans la stratégie thérapeutique.

Ces évaluations ne lui **permettront pas de figurer sur la liste en sus pour les formes tardives** de la maladie.

Pour cette indication, seul Myozyme, aussi indiqué dans la maladie de Pompe, est sur cette liste, par dérogation.

Pour les formes infantiles, Nexviadyme, par comparaison à Myozyme (ASMR 3 dans cette indication) qui figure logiquement dans la liste en sus, pourra aussi y figurer.

Le laboratoire a développé Nexviadyme en tant que successeur du médicament Myozyme, comme traitement de substitution enzymatique dans la prise en charge de la maladie de Pompe.

Plus de la moitié des patients qui étaient traités avec Myozyme ont switché vers Nexviadyme, de par les conditions d'accès précoce qui indiquent Nexviadyme en cas d'échec à Myozyme.

Les **premières administrations doivent être effectuées en milieu hospitalier**.

Actuellement, **80 % des traitements Nexviadyme sont administrés à l'hôpital**, les conditions ne sont pas encore réunies pour une large administration en routine au domicile (notamment, la rémunération IDE n'est pas alignée avec le temps de reconstitution du médicament), sachant qu'il y aura toujours besoin pour une part significative des patients d'aller à l'hôpital.

Lors du passage dans le droit commun, **le non-remboursement de ce médicament onéreux aux hôpitaux va poser des problèmes considérables**.

Le remboursement par l'assurance maladie seulement en ville impose d'abord comme on l'a vu que des **conditions efficaces d'administration au domicile soient déployées**.

Mais au-delà, **que va-t-il se passer pour les patients chez qui l'administration au domicile ne pourra pas être mise en place ?**

Patients qui font une réaction à la perfusion, dont l'état de santé général requiert un service de réanimation à proximité, patients isolés pour lesquels la surveillance n'est pas possible toute la durée de la perfusion, ...

Les hôpitaux ne pourront payer le traitement onéreux sur leur propre budget.

Et que va-t-il se passer pour les patients qui se révéleront en échec à Myozyme ?

Les premières administrations doivent être effectuées en milieu hospitalier, mais là aussi les établissements ne pourront assumer le coût du médicament.

Les pouvoirs publics doivent rapidement prendre en main le sujet des conditions d'administration des traitements de la maladie de Pompe au domicile afin de faciliter cette administration.

Etant données les modalités du financement liste en sus qui ne permettent à l'assurance maladie de rembourser à l'hôpital ce qui est remboursé en ville (!), **des solutions doivent être trouvées afin que les hôpitaux soient financièrement en mesure d'administrer Nexviadyme dans leurs services pour les patients qui le nécessitent.**