

Perte de chance pour les malades en rechute d'un myélome multiple

Entreprise pionnière des biotechnologies médicales, Amgen alerte sur les conséquences des difficultés d'accès aux médicaments innovants en France :

Plus de deux ans après avoir obtenu son autorisation de mise sur le marché, un nouveau traitement du myélome multiple, un cancer du sang grave, n'est toujours pas disponible en France. Sa valeur ajoutée thérapeutique vient d'être reconnue par les autorités de santé, mais les malades doivent encore attendre que ce traitement soit inscrit au remboursement.

De plus en plus visible dans le débat public, l'accès des patients aux médicaments innovants en France est devenu en quelques mois un sujet d'attention ; la question des délais et la responsabilité des autorités de santé dans les retards pris pour la mise à disposition de ces traitements faisant particulièrement débat.

Amgen est confrontée de manière très concrète à cette situation. L'entreprise qui a exprimé ses positions sur le sujet, espère que la mobilisation des patients, des professionnels de santé et des industriels, décide les pouvoirs publics à réformer enfin l'accès des patients aux médicaments innovants. C'est une condition nécessaire pour que les malades puissent bénéficier des meilleures chances de traitement et pour permettre au système français de rester une référence en matière d'accès à l'innovation.

Alerte sur la prise en charge du myélome multiple

Le traitement du myélome multiple, un cancer du sang grave, illustre cette situation unique qui concerne aujourd'hui la France comparée aux grands pays d'Europe.

En novembre 2015, un nouveau médicament d'Amgen (le carfilzomib) déjà disponible aux Etats-Unis, recevait son autorisation de mise sur le marché (AMM) européenne pour être prescrit en association avec deux autres molécules, chez les patients adultes atteints de myélome multiple dont la maladie a rechuté malgré un premier traitement.

Plus de deux ans après son AMM et bien que le carfilzomib ait démontré qu'il prolongeait de près de 8 mois en moyenne la vie des malades, le médicament n'est toujours pas disponible en France alors qu'il est déjà commercialisé dans 21 pays en Europe.

Il y a quelques semaines, la Haute Autorité de Santé a reconnu la valeur thérapeutique du carfilzomib dans deux schémas d'administration en lui attribuant une Amélioration du Service Médical Rendu (ASMR) de niveau 3 et de niveau 4, selon les produits auxquels il est associé. Il est à noter que moins de 5% des médicaments en évaluation de remboursement ont pu obtenir un niveau d'ASMR 3 en 2017.

Urgence pour l'inscription au remboursement du carfilzomib

Si Amgen se réjouit que la valeur ajoutée du carfilzomib ait enfin été établie, l'entreprise regrette que cette reconnaissance intervienne alors que le médicament n'est toujours pas remboursé pour les malades. Amgen souhaite désormais que tout soit mis en œuvre pour mettre à disposition le seul médicament qui, comparé aux thérapeutiques existantes, permet de prolonger l'espérance de vie des patients en rechute de près de 8 mois en moyenne.

Il est d'autant plus urgent d'inscrire rapidement le carfilzomib au remboursement que le médicament n'a pas pu faire l'objet d'une autorisation temporaire d'utilisation (ATU) de cohorte qui aurait permis aux malades d'être traités avant sa commercialisation. Il s'agit là d'une des limites du dispositif d'attribution des ATU : l'AMM européenne du carfilzomib étant intervenue avant l'acceptation de l'ATU par l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé (ANSM), il n'était administrativement plus possible de le proposer en accès précoce. Une situation d'autant plus incohérente que le médicament est désormais considéré comme une innovation à valeur ajoutée avec les ASMR 3 et ASMR 4 délivrées par la Haute Autorité de Santé.

Une réponse écrite apportée par les services de la ministre des solidarités et de la santé, Agnès Buzyn, suite à la question posée à l'Assemblée Nationale par le député Olivier Falorni (Charente-Maritime), souligne la priorité qui est désormais donnée pour proposer rapidement aux patients de nouveaux traitements du myélome multiple :

«Compte tenu de l'espoir que ces nouveaux traitements peuvent représenter pour les patients, la ministre des solidarités et de la santé a demandé à ses services de suivre l'évolution de ces dossiers avec la plus grande attention et de permettre, au plus vite, l'accès aux traitements les plus adaptés dès lors qu'ils ont fait l'objet d'une décision de prescription en réunion de concertation pluridisciplinaire». (Publiée au Journal Officiel le 30 janvier 2018).

Une proposition de prix responsable a été transmise par Amgen au Comité Economique des Produits de Santé (CEPS) pour permettre une prise en charge rapide par l'Assurance Maladie. Conformément aux règles en vigueur, le prix proposé par Amgen pour le carfilzomib est le plus bas des prix pratiqués parmi les 4 pays européens de référence : Italie, Allemagne, Espagne et Royaume-Uni. La proposition de prix d'Amgen comprend également un accord permettant d'encadrer le volume de prescription du médicament et de contrôler son impact budgétaire dans la prise en charge du myélome multiple.

Cet exemple illustre le contexte défavorable à la juste évaluation des médicaments innovants, avec un impact pour tous les acteurs du système de santé.

Face aux avancées importantes de la recherche en oncologie, il est urgent d'encadrer de façon efficace et équitable l'arrivée sur le marché de nouveaux médicaments innovants. L'écart avec les autres pays européens se creuse et les conséquences négatives pour les patients en France se font de plus en plus manifestes.

Si Amgen comprend le niveau d'exigence des autorités de santé françaises, l'entreprise regrette que les délais soient si longs pour aboutir à la démonstration de la valeur ajoutée d'un médicament sans que les patients puissent, pendant ce temps, avoir accès au remboursement de leur traitement. D'autres pays ont fait un autre choix, comme l'Allemagne où les médicaments innovants sont remboursés dès leur AMM. La fixation du prix intervient ensuite, dans un délai d'un an, ce qui permet aux patients d'être traités sans attendre.

Ainsi, l'accès au marché français est aujourd'hui l'un des plus lents de l'Union européenne : 400 jours en moyenne entre l'AMM et la mise à disposition du médicament, au lieu des 180 jours requis par la réglementation européenne. Cet allongement des délais a plusieurs conséquences :

- **Une perte de chance pour les patients** qui ne peuvent bénéficier à temps de nouveaux traitements qui pourraient pourtant venir renforcer l'arsenal thérapeutique et répondre à des besoins médicaux non couverts. L'inquiétude de plus en plus grande des associations de patients est à souligner. L'association française des malades du myélome multiple (AF3M) a d'ailleurs interpellé à plusieurs reprises les pouvoirs publics sur l'urgence de la situation.
- **Un risque sur les investissements industriels** : les filiales françaises de groupes internationaux comme Amgen se retrouvent fragilisées par rapport à celles d'autres pays où les procédures sont plus rapides. Leur attractivité diminue avec à terme un risque pour les investissements futurs dans ces filiales.

**Des solutions existent pour construire la médecine de demain et lever les blocages :
décloisonner les intérêts et favoriser la concertation.**

Face à cette situation, Amgen a activement contribué aux réflexions menées par les principales organisations professionnelles du secteur pharmaceutique (LEEM et AGIPHARM) et a formulé un certain nombre de propositions s'appuyant, pour certaines, sur des exemples européens :

- Un recours à l'expertise adaptée pour l'évaluation des innovations. Il convient notamment de repenser les outils et les procédés d'évaluation pour les adapter à la juste appréciation des innovations dites de rupture et de renforcer la place d'experts reconnus dans leur aire thérapeutique pour leurs connaissances des pathologies, des traitements et des attentes des patients.
- La refonte des modalités d'accès précoce pour les patients aux médicaments innovants dès l'obtention de leur AMM et même avant. Des aménagements des procédures d'ATU mais également d'inscription sur la liste en sus sont possibles, avec un encadrement adapté et lisible pour les industriels.
- Des évolutions des modalités de remboursement pour faire en sorte que le coût des innovations ne soit pas un frein à leur accès pour les patients qui doivent pouvoir en bénéficier.

Amgen a eu l'occasion de présenter ces propositions à la mission sénatoriale sur l'accès rapide à l'innovation des produits de santé et à plusieurs cabinets ministériels. Ces propositions, largement partagées par les acteurs du secteur, sont, pour l'essentiel, à l'agenda des travaux du Conseil Stratégique des Industries de Santé (CSIS).

Contact presse

Eric Milbergue : 01 70 28 92 34 - eric.milbergue@amgen.com

A propos d'Amgen

Amgen utilise les ressources de la biologie pour découvrir, développer et assurer la production de médicaments innovants destinés à traiter des patients atteints de maladies graves. Cette approche repose sur des technologies de pointe, telles que la génétique humaine, qui permettent de caractériser les mécanismes moléculaires à l'origine des maladies.

Amgen focalise ses recherches sur les pathologies pour lesquelles les besoins médicaux restent importants. Nous mettons à profit notre expertise dans la fabrication des biomédicaments pour proposer des solutions thérapeutiques qui améliorent significativement la vie des malades.

Pionnier des biotechnologies médicales depuis 1980, Amgen est devenue la plus importante entreprise indépendante dans ce domaine, développe des médicaments prometteurs et continue de faire progresser la prise en charge des patients à travers le monde.

www.amgen.fr – retrouvez notre actualité sur [Twitter @AmgenFrance](https://twitter.com/AmgenFrance) et sur [LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/amgen)