

DOSSIER PRESSE

ACADÉMIE
NATIONALE
DE MÉDECINE



MÉDICAMENTS ANTICANCÉREUX ONÉREUX : DISPONIBILITÉ ET SOUTENABILITÉ ÉCONOMIQUE

RAPPORT DE L'ACADEMIE NATIONALE DE MEDECINE

Un rapport exprime une prise de position officielle de l'Académie nationale de médecine. L'Académie nationale de médecine dans sa séance du mardi 10 octobre 2023, a adopté le texte de ce rapport par 78 voix pour, 1 voix contre et 4 abstentions.

Conférence de Presse

sur le rapport

Paris, le 27 octobre 2023

INVITATION PRESSE

Médicaments anticancéreux onéreux : disponibilité et soutenabilité économique.

Analyses et recommandations de l'Académie nationale de médecine

Mardi 7 novembre 2023 à 11h00

Salon Lhermite - Académie nationale de médecine - 16 rue Bonaparte 75006 Paris

Le cancer affecte 433 136 patients par an en France, et représente une charge financière importante s'amplifiant chaque année. Ceci du fait d'une augmentation nette de la prévalence des pathologies cancéreuses et d'une augmentation de la mise sur le marché de médicaments dont le prix unitaire est très important. Un tel sujet aborde de multiples questions outre celles des prix, celle de la disponibilité des produits, de la souveraineté nationale à produire ces produits et donc sa réindustrialisation, de l'évolution de la méthodologie des essais cliniques, de l'attente des patients à pouvoir bénéficier de produits efficaces et fiables, ainsi que de l'équité face au coût des traitements et leur accès.

Par ces considérations, il est apparu absolument nécessaire à l'Académie nationale de médecine de procéder à une analyse détaillée de la question des traitements onéreux en oncologie et de proposer des recommandations à destination de tous les acteurs impliqués dans le soin du cancer pour leur utilisation pertinente dans une perspective éthique et rationnelle.

- **Pr. François GUILHOT**, hématologue, membre de l'ANM, rapporteur
- **Pr. Jacques ROUËSSÉ**, oncologue, membre de l'ANM, président du groupe de travail « médicaments anticancéreux onéreux »
- **Pr. Jean-Yves BLAY**, oncologue, membre de l'ANM, président d'EURACAN
- **Pr. Yves JUILLET**, pharmacologue, membre de l'ANM,

vous présenteront ce rapport et l'ensemble des recommandations à destination de l'Etat, des institutions, de l'industrie pharmaceutique et des prescripteurs et répondront à toutes vos questions.

Les journalistes souhaitant assister à cet événement sont priés de s'accréditer auprès de Charles GUSTIN, agence COMENFRANCE pour l'Académie nationale de médecine - com@com-en-france.com

À propos de EURACAN : lancé par la Commission européenne en mars 2017, EURACAN a pour mission d'améliorer le diagnostic, la gestion des traitements, la recherche et la communication au profit des adultes atteints de cancers rares.

A propos de L'Académie nationale de médecine : L'ANM alerte depuis sa création sur les questions de santé publique, s'intéresse à tous les objets d'étude et de recherche pour contribuer aux progrès de l'art de guérir.

Conférence de presse : Rapport “Médicaments anticancéreux onéreux : disponibilité et soutenabilité économique”

Sommaire

L'Académie nationale de médecine : 200 ans au service de l'art de guérir	5
Les experts	6
Médicaments anticancéreux onéreux : disponibilité et soutenabilité économique	8
Médicaments anticancéreux : une révolution bio-technologique	9
Les recommandations de l'Académie nationale de médecine	10
Pour l'Etat	11
Pour la Haute Autorité de Santé	12
Pour l'industrie pharmaceutique	13
Pour les prescripteurs	14

L'Académie nationale de médecine : 200 ans au service de l'art de guérir

L'Académie nationale de médecine fondée en 1820 et héritière de l'Académie royale de chirurgie et de la Société royale de médecine, est instituée pour répondre aux demandes du gouvernement sur tout ce qui intéresse la Santé publique, principalement sur les maladies, les épidémies, les épizooties, les différents cas de médecine légale, la propagation de la vaccine, l'examen des remèdes nouveaux et des remèdes secrets, tant internes qu'externes et des eaux minérales naturelles. Elle s'occupera de tous les objets d'étude qui peuvent contribuer aux progrès des différentes branches de l'art de guérir.

L'Académie nationale de médecine réunit des médecins, des chirurgiens, des biologistes, des pharmaciens et des vétérinaires reconnus pour leurs travaux scientifiques et les responsabilités qu'ils ont assumées dans le domaine de la santé. Depuis sa création l'Académie a compté onze membres lauréats du Prix Nobel.

Si elle peut être saisie d'une demande d'avis par les Pouvoirs publics, son indépendance vis-à-vis de l'Etat lui confère un regard critique et pertinent dans le domaine de la santé et sur les questions de Santé publique et d'Ethique médicale.

Les experts



Professeur François GUILHOT

Hématologue, le docteur François Guilhot est membre titulaire de l'Académie nationale de médecine et professeur émérite d'hématologie. Membre de plusieurs sociétés savantes en hématologie, auteurs de 332 articles et 345 communications scientifiques, il a fondé le groupe français sur la leucémie myéloïde chronique et créé le centre d'investigation clinique INSERM du CHU de Poitiers. Il a été le premier médecin français démontrant l'efficacité sur la survie d'une thérapeutique ciblée dans la leucémie. Il est le rapporteur du présent rapport "Médicaments anti-cancéreux onéreux : disponibilité et soutenabilité économique".



Professeur Jean-Yves BLAY

Oncologue et membre de l'Académie nationale de médecine, Jean-Yves Blay est PUPH à l'Université Lyon I, Directeur général du Centre de Lutte contre le Cancer (CLCC) Léon Bérard, Président de la Fédération des CLCC Unicancer.

Ses travaux portent sur les sarcomes, les cancers rares, le guidage des traitements ciblés par la génomique, et l'immuno-oncologie.

Il est chercheur au Centre de Recherche en Cancérologie de Lyon, directeur du SIRIC LYRICAN+, Président du Groupe Sarcome Français et du réseau expert Sarcome NETSARC+, directeur de l'ERN-EURACAN de la Commission Européenne, Directeur des Politiques Publiques de l'ESMO, et ancien président de l'EORTC.

Il est co-auteur de plus de 1000 articles & "Highly cited Researcher" depuis 2019.



Professeur Jacques ROUËSSÉ

Jacques Rouëssé est membre de l'Académie nationale de médecine. Oncologue médical il a été médecin de l'Institut Gustave Roussy (Chef de service pendant 9 ans) puis directeur du Centre René Huguenin de lutte contre le cancer à Saint-Cloud. Il a été pendant deux ans Vice Président de l'EORTC (European Organisation for Research for Treatment of Cancer).

Il est l'actuel président du groupe de travail « Médicaments anticancéreux onéreux ».



Professeur Yves JUILLET

Yves JUILLET est membre de l'Académie nationale de médecine, Président de la section Médecine et Société. Il est Président honoraire de l'Académie nationale de pharmacie. Docteur en médecine, ancien interne des hôpitaux de Paris, il a été chef de service cardio-vasculaire à l'hôpital Broussais à Paris. Après sa carrière hospitalière, il s'est consacré à l'harmonisation des réglementations sur le médicament dans le monde comme membre du Comité Directeur de ICH (Conférence internationale de l'harmonisation du médicament entre l'Europe les Etats-Unis et le Japon) de 1996 à 2006 où il représentait l'Europe. Il est l'auteur de plus de 150 publications en cardiologie, pharmacologie, réglementation pharmaceutique et pharmacovigilance.

MÉDICAMENTS ANTICANCÉREUX : des résultats reconnus

Le traitement des cancers a connu ces 25 dernières années plusieurs progrès majeurs modifiant complètement les modalités de prise en charge des malades. Le pronostic des patients cancéreux a été notablement amélioré voir bouleversé avec des patients guéris. En effet, aux chimiothérapies classiques, non spécifiques, détruisant aussi bien les cellules saines que cancéreuses, ont succédé des anticorps, des thérapeutiques ciblées, des produits agissant sur le système immunitaire et récemment des cellules lymphocytaires modifiées génétiquement, les cellules CAR-T. Ces traitements sont particulièrement efficaces, car ils agissent en détruisant de manière très spécifique les cellules cancéreuses. Certains cancers ont pu bénéficier de ces avancées comme par exemple les leucémies, les lymphomes, le myélome, le mélanome, certains sarcomes.

Mais ces traitements, qui ont des coûts de production élevés, sont prescrits parfois longtemps, et la durée des prises en charge des patients cancéreux se prolonge ce qui peut être le signe de l'efficacité des médicaments.

433 136 nouveaux cas de cancer par an en France

On estime à 433 136 le nombre de nouveaux de cancers, par an en France (estimation du bulletin épidémiologique hebdomadaire). La prévalence du nombre de cancers a aussi augmenté et donc leur coût de prise en charge sur le long terme. Le développement des médicaments anticancéreux en deux phases, d'innovation au sein de start-up souvent issues de l'Université, puis de production et de commercialisation gérées par les grands groupes pharmaceutiques contribue à proposer des prix d'un niveau inconnu jusqu'alors. La rapidité de leur autorisation de mise sur le marché interpelle aussi surtout lorsque manquent les preuves de l'efficacité sur l'augmentation significative de la survie. Il est donc justifié de recommander une certaine vigilance sur l'interprétation de résultats d'essais précoces.

MÉDICAMENTS ANTICANCÉREUX : une révolution bio-technologique

La révolution bio-technologique en cours fait changer de paradigme : à l'utilisation continue pendant de nombreuses années de produits chimiques peu onéreux, s'est substituée, dans certaines indications, l'utilisation en une seule fois d'un seul produit administré en quelques minutes, certes prometteur, mais au prix considérable ; il en est ainsi des cellules CAR- T dont la perfusion unitaire peut coûter entre 300 000 et 400 000 € par malade.

Le taux de mortalité par cancer du poumon a diminué de 58% chez les hommes entre 1990 et 2020 et de 36% pour les femmes entre 2002 et 2020.

Entre 2004 et 2017 le coût de la prise en charge du mélanome métastatique a été multiplié par 165, notamment en raison de l'augmentation du coût et de la durée des traitements.

Il est apparu nécessaire à l'Académie nationale de médecine de procéder à une analyse détaillée de la question des traitements onéreux en oncologie et de proposer des recommandations pour leur utilisation pertinente dans une perspective éthique et rationnelle.

Le rapport aborde les progrès réalisés dans le traitement des cancers, plus précisément dans les hémopathies comme la leucémie ou le myélome ou des cancers comme le mélanome, les cancers bronchopulmonaires ou les sarcomes.

Il décrit l'augmentation de la charge financière liée à ces thérapeutiques innovantes. Sont aussi abordés les processus d'autorisation d'utilisation des médicaments, le niveau de leur efficacité, l'augmentation du service médical rendu (ASMR), les mécanismes de fixation des prix et les aspects éthiques liés à ces traitements.

MÉDICAMENTS ANTICANCÉREUX ONÉREUX : disponibilité et soutenabilité économique

Les recommandations de l'Académie nationale de médecine

En plus de la question du coût des traitements, se pose celle de la disponibilité des produits, de la souveraineté nationale à produire ces produits et donc sa réindustrialisation, de l'évolution de la méthodologie des essais cliniques, de l'attente des patients à pouvoir bénéficier de produits efficaces et fiables, et de l'équité face au coût des traitements et leur accès.

Ces considérations justifient 5 recommandations de l'Académie nationale de médecine à destination de tous les acteurs impliqués dans le soin du cancer.

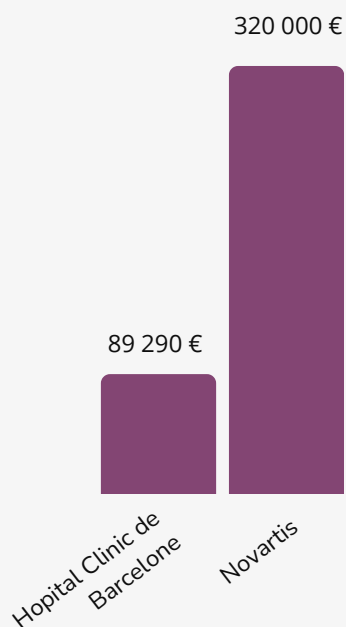
- l'Etat
- la Haute Autorité de Santé
- l'Industrie pharmaceutique
- les prescripteurs

Les recommandations pour l'État

Les démarches administratives françaises sont complexes et le délai pour obtenir une autorisation d'essai de phase I trop long (parfois 12 mois) ; le dossier doit aussi contenir les caractéristiques GMP (Good Medical Practice) du produit ; start-up et entreprises françaises font état de difficultés à obtenir des soutiens financiers conséquents pour se développer ; l'utilisation des cellules CAR-T connaît un fort développement clinique, le prix de l'injection est de 300 000 € en moyenne ; toutes les cellules CAR-T sont actuellement importées des USA et il existe une limitation technique de leur production.

Dans ce contexte, l'Académie nationale de médecine recommande de :

Prix entre une dose de ARI-0001 produit en milieu universitaire en Espagne en comparaison à une production industrielle d'un laboratoire pharmaceutique.



Soutenir le développement des cellules CAR-T d'origine institutionnelle au sein d'un réseau français, franco-espagnol voire européen, pour des indications reconnues et aussi pour des niches médicales mieux identifiées.

Créer une structure à but non-lucratif et sans capital-actions destinée à développer, produire et acquérir des médicaments anticancéreux en garantissant un approvisionnement aux hôpitaux, centres anticancéreux et clinique à un pris établi, quelque-soit la quantité achetée.

Raccourcir le délai d'instruction des dossiers pour débiter un essai en phase I en 90 jours et ne fournir le dossier GMP qu'au moment de la soumission pour obtenir l'obtention de mise sur le marché.

Éviter les dispersion de crédits, développer la prise de risque et encourager les investissements publics et privés portant sur l'innovation française dans le médicament anticancéreux.

Les recommandations pour la Haute Autorité de Santé

Des médicaments anticancéreux ont été proposés pour des cancers très rares tel que le cancer broncho-pulmonaire avec mutation RET pour lesquels le nombre très faible de patients empêche la réalisation d'essais prospectifs randomisés.

Pour permettre l'accès à ces traitements, l'Académie recommande de :

Envisager l'attribution d'une Amélioration du Service Médical Rendu (ASMR) "non-quantifiable", pour des thérapeutiques destinées à des cancers rares, facilitant l'accès à la liste en sus.

Insister sur l'amélioration de la conception, de la conduite et de l'exécution des essais cliniques grâce à l'utilisation de critères d'évaluation pertinents, des bras de comparaison appropriés et la reproduction des résultats.

Il existe parfois une incertitude sur la valeur thérapeutique des nouveaux médicaments, et la soutenabilité budgétaire par les nations ; Il existe une grande hétérogénéité dans l'Union Européenne pour la fixation des prix avec un manque de transparence (prix facial versus prix réel) ce qui permet à l'industrie pharmaceutique d'obtenir des prix élevés lors des négociations initiales.

Limitier strictement l'utilisation par des organismes réglementaires de la procédure d'approbation accélérée aux véritables besoins cliniques non satisfaits.

Développer un effort concerté européen pour aborder la question du prix des médicaments oncologiques de manière coordonnée, visant à équilibrer le prix avec l'efficacité du médicament, la prise en compte des effets indésirables et la distribution équitable des soins de santé.

Les recommandations pour l'industrie pharmaceutique

Le réel bénéfice des anticancéreux sur l'augmentation de la survie n'est pas suffisamment évalué ; il existe une incertitude quant à la transposabilité en vie réelle des résultats des essais d'enregistrement.

Considérant cela, l'Académie recommande de :

Cadrer les prises en charge conditionnelles et s'assurer de la rigueur des études post-AMM ou post-inscription en étroite collaboration avec les enseignants chercheurs des universités et des Établissements publics Scientifiques et Technologiques et avec une utilisation de toutes les ressources disponibles.

Développer le nombre des études médico-économiques de qualité à l'appui de dossiers d'efficience fondées sur des études de cohortes en vie réelle.

Pour les prescripteurs

Une enquête a constaté un contournement plus ou moins justifié par des oncologues de l'usage d'anticancéreux onéreux contribuant à alourdir le poids économique pour les dépenses nationales de santé ; les données publiées ne sont pas toujours convaincantes et les méthodes n'étant pas toujours optimales, l'Académie recommande de :

Veiller au bon usage des médicaments anticancéreux en recourant aux réunions de concertation pluridisciplinaires (RCP) lesquelles sont obligatoires, et en s'assurant de la vigilance des pharmaciens

Savoir reconnaître les limites des preuves générées dans les essais conduisant à l'approbation des médicaments oncologiques.

NOTES

Dotted lines for writing notes.

Académie nationale de médecine
16 rue Bonaparte, 75006
Tél : 01 42 32 57 70
www.academie-medecine.fr

Contact presse : Charles GUSTIN
com@com-en-france.com

Pour suivre toute l'actualité de l'Académie nationale de médecine
Inscrivez vous à la lettre mensuelle

Suivez en direct les séances du mardi sur la chaine Youtube ou
abonnez vous à son compte X



Académie nationale de médecine



@acadmed