



Le 17 février 2023

Objet : Refus répétés de la HAS de donner l'accès aux thérapies ciblées pour des patients atteints d'un cancer du poumon non à petites cellules avec mutations

Monsieur le Président de la République,

Les 4 associations¹ représentant les patients français atteints d'un cancer du poumon, sont réunies dans ce courrier pour partager avec vous leurs inquiétudes et vous interpeller quant aux refus répétés d'accès précoces ou de remboursement par la Haute Autorité de Santé (HAS) concernant des médicaments anti-cancéreux oraux qui visent des altérations génomiques rares. Pourtant le bénéfice risque de chacun de ces médicaments a été auparavant validé par l'Agence Européenne du médicament (EMA) même en l'absence de phase 3 comparative. Ces refus sont inexplicables pour les malades et les oncologues qui les accompagnent.

Les oncologues des comités scientifiques de nos associations ont rédigé le courrier ci-joint pour apporter leur soutien à notre démarche. La presse² commence également à se faire l'écho de ce sujet de santé publique, relayant des témoignages de patients qui attestent de l'incompréhension et des situations délicates que ces refus suscitent. Nos quatre associations se font les porte-voix des malades devant cette situation incompréhensible et injuste.

Incompréhensible car les refus de la HAS portent sur des molécules qui ont fait l'objet d'une évaluation européenne puis d'une autorisation de l'EMA. Nous, malades, nourrissons beaucoup d'espoir sur les textes en attente de publication ou de mise en œuvre. La doctrine sur l'évaluation de la HAS est en attente de publication mais aucun signal n'est entendu pour modifier ces dérèglements. L'article 30 de la loi de financement de la sécurité sociale pour 2023 modifie le dispositif d'accès précoce en supprimant l'obligation d'obtenir un avis favorable de l'ANSM (Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé) sur l'efficacité et la sécurité de la spécialité lorsqu'elle a obtenu un avis positif du comité des médicaments à usage humain (CMUH) de l'EMA dans l'indication concernée. Nous souhaitons vivement qu'à l'instar de plusieurs pays européens, tel l'Allemagne, les patients puissent bénéficier de ces nouveaux traitements dès l'avis positif de l'EMA prononcé.

L'argumentaire de la Commission de la Transparence de la HAS repose sur l'absence d'essais de phase III comparatifs, et ainsi l'intérêt thérapeutique ne saurait être statistiquement démontré. Or, ces patients sont atteints d'une mutation moléculaire rare à ultra-rare. Par définition très peu de patients présentent ces différentes anomalies génétiques ce qui rend irréalisable la mise en place d'essais cliniques de phase III qui nécessitent de

¹ ALK France Cancer Poumon, APOP Foch (Association des Patients en Onco-Pneumologie de l'Hôpital Foch), De l'Air! et MRCP (Mon Réseau Cancer du Poumon)

² « Evaluation des anticancéreux : la HAS est-elle trop frileuse » Journal international de médecine, 2 février 2023, Nicolas BARBET ; « L'immense gâchis des traitements anticancéreux non remboursés », Florence MEREO, Le Parisien 8 février 2023 ; « Pluie de SMR insuffisants pour des anticancéreux », dépêche APM News, 23 janvier 2023 ; « Des traitements contre le cancer approuvés par la FDA et l'EMA... Mais non remboursés en France », Jane Roussel, Top Santé le 9 février 2023.

nombreux patients (des centaines) pour démontrer un effet. La société française de médecine prédictive et personnalisée (SFMPP) a d'ailleurs alerté la HAS dans un communiqué le 2 février dernier à ce sujet.

Nous connaissons, Monsieur le Président de la République, votre volonté d'harmoniser au niveau européen bon nombre de politiques et nous vous sollicitons pour qu'à l'avenir la HAS cesse de refuser l'accès à des molécules innovantes alors mêmes que les autres malades européens y accèdent. Nous échangeons régulièrement avec la HAS sur cette question, nous avons eu plusieurs réunions et des échanges de courrier. Au titre de la démocratie sanitaire nous contribuons aux évaluations des médicaments en vue de leur accès précoces et de leur remboursement et nous sommes dans une démarche constructive mais nos discussions s'avèrent vaines. Nous sommes des malades, mais nous demeurons des citoyens à part entière, doués de sens critique et dotés de libre arbitre quand on sait que ces cancers rares affectent en majorité des gens jeunes, non-fumeurs, souvent sportifs, possiblement parents de jeunes enfants et que certains d'entre eux sont déjà morts faute d'avoir pu accéder à ces nouvelles thérapies. Nous sommes otages de notre maladie et d'un avis médico-administratif incompréhensible si ce n'est peut-être le souci du prix du médicament.

Il est injuste que les patients les plus fortunés puissent obtenir leur traitement dans des pays européens voisins, voire même en France lorsqu'il est autorisé pour d'autres indications, tandis que les autres ne pourront y accéder. Il s'agit d'une rupture d'égalité des citoyens dans l'accès aux soins. Nous sommes convaincus que cette réalité vous heurtera autant que nous.

Monsieur le Président de la République, nous espérons que cette lettre vous permettra de prendre toute la mesure de cette situation qui constitue, pour ces patients, une rupture dans l'égalité de traitement en France au regard des pratiques communautaires et une perte de chance sérieuse d'accès aux soins qui, si cela perdure, pourrait se transformer en un véritable scandale sanitaire. Nous espérons bénéficier de votre écoute face à l'incongruité des refus de la HAS dans le cadre de nos pathologies rares lesquelles requièrent une harmonisation du processus de prise en charge des thérapies innovantes au niveau européen afin que ces traitements soient accessibles à tous quel que soit son niveau de vie ou son réseau.

Nous vous prions de bien vouloir agréer, Monsieur le Président de la République, l'expression de notre haute considération.

Madame la Présidente de l'association ALK France Cancer Poumon

Mme Valérie Montagny

Monsieur le Président de l'association De L'Air

Mr Jean-Pierre Lassaigne

Monsieur le Président de l'association APOP Foch

Mr Jérôme Rivkine

Madame la Directrice Générale,

Fondatrice Patients en réseau

Mme Laure Guérault-Accolas

Destinataires en copie :

Mr François Braun, ministre de la Santé et de la Prévention

Mme Dominique Le Guludec présidente de la HAS

L'association « ALK France Cancer Poumon »

regroupe des patients qui ont développé une forme rare du cancer du poumon avec addiction oncogénique (mutation ALK (3% des cancers du poumon, environ 1000 patients en France), ROS1 (1% des cancers du poumon, environ 300 patients en France, NTRK, RET, MET, NRG1, HER2, BRAF). A ce jour, notre association soutient et accompagne 170 patients ALK, 70 malades ROS1 et une dizaine de patients avec autres mutations. Les buts de notre association sont de faire connaître ces formes rares de cancer du poumon non fumeur, soutenir la recherche, soutenir les patients et leur famille face à la maladie et les aider à être acteur de leur parcours de soins, accompagnés par notre comité scientifique avec 14 experts médicaux nationaux.



1 rue Jean Meunier
69450 Saint-Cyr-Mont d'Or
+ 33 6 72 22 44 12
Info@alkfrancecancerpoumon.com
<http://alkrosfrance.com>

L'Association des Patients en Onco-Pneumologie de l'Hôpital Foch de Suresnes (« APOP Foch »)

est un collectif de patients atteints d'un cancer du poumon adossé à un conseil scientifique constitué de soignants de l'Hôpital. Implantée au cœur de l'Hôpital Foch, l'APOP Foch a pour objet d'accompagner les patients et leur famille dans leur parcours de soins et déployer toutes actions pour leur permettre d'accéder à des soins de qualité et à un meilleur confort de vie.



L'expérience patient

Hôpital Foch Service Pneumologie
40, rue Worth
92150 Suresnes
accueil@apop-foch.org
www.apop-foch.org

L'Association De L'Air !

De l'Air! ce sont des patients, des soignants, des aidants, des amis, tous bénévoles, déterminés à améliorer la lutte contre le cancer du poumon.

De l'Air s'engage à soutenir :

- Les patients et leurs proches
- La recherche
- Le dépistage et La prévention
- L'amélioration des soins

A lutter contre

- L'isolement et la stigmatisation



1, rue Etienne Dolet
69600 Oullins
<https://cancer-poumon.fr/>

L'Association Mon Réseau Cancer du Poumon (MRCP)

L'association **Patients en réseau** regroupe des patients et des proches, concernés par le cancer et a été créée en 2014 à partir de leurs expériences vécues.

Elle s'appuie sur des comités scientifiques pluridisciplinaires et a pour vocation de développer des réseaux sociaux pour rompre l'isolement et faciliter le quotidien face à l'épreuve de la maladie. Ainsi les personnes peuvent échanger, trouver de l'information fiable et des ressources pratiques (adresses utiles, événements). Patients en réseau propose à ce jour www.monreseau-cancerdusein.com, www.monreseau-cancerdupoumon.com, www.monreseau-cancergyneco.com et www.monreseau-cancercolorectal.com

Mon Réseau Cancer du Poumon est né en 2017 à la demande des pneumo-oncologues. A ce jour, plus de 3000 patients et proches sont inscrits sur le site dont 1000 actifs.

L'association a parmi ses membres des patients-experts qui s'impliquent dans différentes initiatives pour un accès équitable aux innovations. La création du comité « Accès et Innovations » au sein de l'association nous permet de rédiger des contributions pour la commission de transparence (près de 15 depuis 2021), de partager avec les autorités (HAS, ministère, académie de médecine...) pour faire entendre la voix des patients.



Patients en réseau
15 rue Gît le Cœur
75006 Paris
www.patientsenreseau.fr