

PUBLIÉ LE 25/07/2018 - MIS À JOUR LE 07/01/2021

Thérapie génique : accès précoce aux premiers médicaments innovants "CAR T-Cells" dans le traitement de certains cancers hématologiques

INNOVATION - AMM

En juin 2018, l'Agence européenne des médicaments (EMA) a rendu un avis positif pour l'autorisation de mise sur le marché des deux premiers médicaments de thérapie génique Kymriah (Novartis) et Yescarta (Gilead) appelés « CAR (Chimeric Antigen Receptor) T-Cells », destinés aux traitements de certains cancers hématologiques, chez des patients en situation d'impasse thérapeutique.

L'autorisation de mise sur le marché (AMM) européenne pour ces médicaments innovants est donc attendue prochainement, après la validation de la Commission européenne.

Afin d'accélérer leur mise à disposition auprès des patients français, l'ANSM a délivré le 17 juillet 2018 deux Autorisations temporaires d'utilisation de cohorte (ATUc). Ces autorisations entreront en vigueur d'ici à la fin du mois de juillet 2018.

Les CAR T-Cells, Kymriah et Yescarta, sont des médicaments de thérapie génique constitués de cellules T génétiquement modifiées grâce à un vecteur viral, de manière à leur conférer une efficacité anti-tumorale (Cellules T génétiquement modifiées avec un vecteur viral (lentiviral ou retroviral) codant pour un récepteur CAR de l'antigène CD19 exprimé par les cellules B).

Ces deux médicaments correspondent à une immunothérapie anticancéreuse selon une approche dite autologue, c'est-à-dire que les cellules T sont prélevées chez un patient pour être génétiquement modifiées, avant d'être réinjectées à ce même patient.

Ils sont indiqués dans le traitement du lymphome B à grande cellule chez l'adulte. Kymriah peut être également utilisé dans le traitement de la leucémie aigue lymphoblastique B (LAL-B) chez l'enfant et le jeune adulte âgés de moins de 25 ans.

Ils sont destinés à des patients en rechute de leur cancer ou réfractaires aux autres traitements.

Depuis environ 1 an, des autorisations temporaires d'utilisation nominatives (ATUn) sont accordées au cas par cas par l'ANSM pour Kymriah. Les ATU permettent en effet une mise à disposition précoce d'un médicament n'ayant pas encore d'autorisation de mise sur le marché. Elles sont délivrées par l'ANSM à titre exceptionnel afin de traiter des maladies graves ou rares lorsqu'il n'existe pas d'autre traitement approprié et que la mise en œuvre du traitement ne peut pas être différée.

Pour permettre un accès anticipé à un plus large groupe de patients, et suite à l'avis positif de l'EMA sur les CAR T-Cells, les deux médicaments seront désormais disponibles d'ici la fin du mois de juillet en France dans le cadre d'ATU de cohorte.

Ces ATU de cohorte prendront fin dès que la mise à disposition de ces médicaments sera possible dans le cadre de leur AMM européenne, soit d'ici la fin de l'année 2018.