

## NUMERO SPECIAL

Accès précoces (tumeurs solides) :  
décisions du collège de la HAS  
rendues du 1<sup>er</sup> juin au 31 décembre  
2023

La lettre d'information sur les médicaments innovants en cancérologie | N° 60 - MARS 2024

La Haute Autorité de Santé a publié un [bilan](#) après deux ans de mise en place du dispositif d'accès précoce.

## JUIN 15

**Renouvellement de KIMOZO°** (temozolomide) dans l'indication : « en monothérapie ou en association à un inhibiteur spécifique de l'ADN topoisomérase I (irinotécan ou topotécan) dans le traitement des patients pédiatriques âgés de 1 à 6 ans et chez les patients âgés de plus de 6 ans dans l'incapacité d'avaler le témozolomide sous forme de gélule et atteints :

- d'un neuroblastome à haut risque réfractaire ou présentant une réponse insuffisante à la chimiothérapie d'induction.

- d'un neuroblastome à haut risque récidivant après une réponse au moins partielle à la chimiothérapie d'induction suivie d'un traitement myéloablatif et d'une greffe de cellules souches ».

## 22

**Refus de renouvellement de LUMYKRAS°** (sotorasib) dans l'indication : « en monothérapie dans le traitement des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) avancé, présentant la mutation KRAS G12C, dont la maladie a progressé après au moins une ligne de traitement systémique antérieur ».

## 29

- **Renouvellement de CRYSVITA°** (burosumab) dans l'indication : « Traitement de l'hypophosphatémie liée au FGF23 chez les enfants et adolescents âgés d'1 an à 17 ans et chez les adultes atteints d'ostéomalacie oncogénique associée aux tumeurs mésenchymateuses phosphaturiques qui ne relèvent pas d'une exérèse à visée curative ou ne peuvent pas être localisées ».

▪ **Autorisation de DABRAFENIB-TRAMETINIB NOVARTIS°** dans les indications : « Traitement des patients pédiatriques âgés de 1 an et plus atteints d'un gliome de bas grade (GBG) porteur d'une mutation BRAF V600E qui nécessitent un traitement par voie systémique » et « Traitement des patients pédiatriques âgés de 1 an et plus atteints d'un gliome de haut grade porteur d'une mutation BRAF V600E qui ont reçu au moins un traitement antérieur par radiothérapie et/ou chimiothérapie ».

## JUILLET

### 6

**Refus de OPDIVO°** (nivolumab) dans l'indication : « en monothérapie dans le traitement adjuvant des patients adultes et adolescents âgés de 12 ans et plus atteints d'un mélanome de stade IIB ou IIC ayant eu une résection complète ».

### 13

▪ **Renouvellement de ATGAM°** (immunoglobuline équine anti-lymphocyte T humain eATG) dans l'indication : « dans le cadre du traitement immunosuppresseur standard, pour le traitement des formes modérées à sévères d'aplasie médullaire acquise d'étiologie immunologique connue ou suspectée chez les adultes et les enfants de 2 ans et plus qui ne peuvent pas recevoir une greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH) ou pour lequel un donneur compatible de CSH n'est pas disponible ».

▪ **Renouvellement de PLUVICTO°** (<sup>177</sup>Lu vipivotide tétraxétan) dans l'indication : « En association avec une suppression androgénique et avec ou sans hormonothérapie inhibitrice de la voie des androgènes est indiqué pour le traitement de patients adultes atteints d'un cancer de la prostate métastatique, résistant à la castration (CPRCm), progressif, positif à l'antigène membranaire spécifique de la prostate (PSMA) qui ont été traités par hormonothérapie inhibitrice de la voie des androgènes et par chimiothérapie à base de taxane ».

### 20

▪ **Renouvellement de ENHERTU°** (trastuzumab deruxtecan) dans l'indication : « Traitement des patients adultes présentant un adénocarcinome de l'estomac ou de la jonction oesogastrique (JOG) HER2 positif localement avancé ou métastatique ayant reçu préalablement au moins deux lignes de traitement incluant le trastuzumab, sur l'avis d'une réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP) ».

▪ **Renouvellement de TRODELVY°** (sacituzumab govitecan) dans l'indication : « Traitement en monothérapie des patients adultes, ayant un cancer du sein triple négatif non résecable ou métastatique, ayant reçu préalablement 2 lignes de traitement systémiques ou plus, dont au moins l'une d'entre elles au stade avancé ».

## SEPTEMBRE

### 7

**Autorisation de OPDIVO°** (nivolumab) dans l'indication : « en association à une chimiothérapie à base de sels de platine dans le traitement néoadjuvant des patients adultes, atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules résecable à haut risque de récurrence, dont les tumeurs expriment PD L1 au seuil  $\geq 1\%$  ».

# 27

**Autorisation de JEMPERLI°** (dostarlimab) dans l'indication : « en combinaison avec une chimiothérapie à base de sels de platine pour le traitement des patientes adultes atteintes de cancer de l'endomètre avancé nouvellement diagnostiqué ou récidivant et candidates à un traitement systémique ».

## OCTOBRE

### 5

**Refus de renouvellement de LUMYKRAS°** (sotorasib) dans l'indication : « en monothérapie dans le traitement des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) avancé, présentant la mutation KRAS G12C, dont la maladie a progressé après au moins une ligne de traitement systémique antérieur ».

### 12

**Renouvellement de IMFINZI°** (durvalumab) dans l'indication : « en association avec une chimiothérapie à base de gemcitabine/cisplatine pour le traitement de première ligne des patients adultes atteints d'un cancer des voies biliaires non résecable ou métastatique ».

### 26

**Renouvellement de ENHERTU°** (trastuzumab deruxtecan) dans l'indication : « en monothérapie pour le traitement des patients adultes atteints d'un cancer du sein HER2- faible (IHC 1+ ou IHC 2+/ISH-) non résecable ou métastatique qui ont reçu au moins une ligne de chimiothérapie au stade métastatique ou qui ont développé une récurrence de la maladie pendant ou dans les 6 mois suivant la fin d'une chimiothérapie adjuvante. Les patients atteints d'un cancer du sein avec des récepteurs hormonaux positifs doivent aussi avoir reçu au moins une hormonothérapie et être non éligibles à une nouvelle ligne d'hormonothérapie ».

## NOVEMBRE

### 16

**Autorisation de PYLCLARI°** (<sup>18</sup>F piflufolostat) dans l'indication : « Ce médicament est destiné à un usage diagnostique uniquement. Pylclari est indiqué pour la détection de lésions positives à l'antigène membranaire spécifique de la prostate (PSMA) par tomographie par émission de positons (TEP) chez les adultes atteints d'un cancer de la prostate (CP) dans les situations cliniques suivantes :

- stadification initiale des patients présentant un CP à haut risque avant un traitement initial à visée curative,

- pour localiser une récurrence du cancer de la prostate, chez les patients présentant une suspicion de récurrence basée sur l'augmentation des concentrations sériques d'antigène prostatique spécifique (PSA) après un traitement initial à visée curative ».

### 30

▪ **Autorisation de KEYTRUDA°** (pembrolizumab) dans l'indication : « en monothérapie dans le traitement adjuvant des patients adultes atteints d'un carcinome rénal à cellules claires, à risque accru de récurrence post-néphrectomie, ou après une néphrectomie et une résection des lésions métastatiques ».

- **Refus de TALZENNA<sup>o</sup>** (talazoparib) dans l'indication : « en association avec l'enzalutamide pour le traitement des patients adultes atteints d'un cancer de la prostate métastatique résistant à la castration (CPRCm), pour lesquels la chimiothérapie n'est pas cliniquement indiquée et les alternatives disponibles ne sont pas appropriées ».
- **Renouvellement de PADCEV<sup>o</sup>** (enfortumab vedotin) dans l'indication : « en monothérapie pour le traitement des patients adultes atteints de carcinome urothélial localement avancé ou métastatique, ayant reçu précédemment une chimiothérapie à base de sels de platine et un inhibiteur du récepteur de mort programmée-1 ou un inhibiteur du ligand du récepteur de mort programmée-1 ».

*Rédacteur : Pr Jean-Louis Cazin*

**COMITE STRATEGIQUE D'EXPERTS**

*Pr D. Allorge (Lille), Pr P. Arnaud (Ajaccio), Pr D. Cuny (Lille), Dr E. Dansin (Lille), Pr B. Décaudin (Lille),  
Dr B. Dervaux (Lille), Pr E. Lartigau (Lille), Dr F. Pinguet (Montpellier), Pr J. Robert (Bordeaux)*

**CPPCC** : Centre de Pharmacologie et de Pharmacie Clinique en Cancérologie  
**Directeur de publication** : Pr E. Lartigau - Directeur Général du Centre Oscar Lambret  
**Rédacteur en chef** : Pr JL Cazin