



Communiqué de presse

Paris le 6 février 2024

ATGAM® désormais inscrit en droit commun dans le traitement des formes modérées à sévères d'aplasie médullaire ne pouvant être traitées par une greffe de cellules souches hématopoïétiques

Pfizer annonce la publication au Journal Officiel des arrêtés de prise en charge (agrément aux collectivités et inscription sur la liste en sus) d'ATGAM® 50 mg/mL (immunoglobuline équine anti-lymphocyte T humain - eATG), solution à diluer pour perfusion, indiqué 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 ne pouvant pas recevoir une greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) ou pour lesquels un donneur compatible de CSH n'est pas disponible¹. Cette publication intervient deux ans après l'obtention de son autorisation de mise sur le marché dans cette indication² et plus de 10 ans après sa 1^{ère} Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU)².

ATGAM est réservé à l'usage hospitalier, sa prescription est réservée aux médecins compétents en maladie du sang ainsi qu'aux spécialistes et services en hématologie

ATGAM le traitement de référence pour les patients non éligibles à la greffe de cellules souches hématopoïétiques

Une aplasie médullaire sévère ou une forme modérée nécessitant des transfusions répétées est une indication à un traitement spécifique. Dans les formes sévères, il s'agit d'une urgence thérapeutique³.

L'aplasie médullaire est une maladie rare qui peut être grave et invalidante⁴ dont le traitement de 1^{ère} intention, dans les formes modérées à sévères est la greffe de cellules souches hématopoïétiques³. Cependant, certains patients sont inéligibles à ce traitement en raison de leur âge, de l'absence de donneur compatible et/ou de pathologies concomitantes³. Pour ces patients, la stratégie thérapeutique comme définie dans le Protocole National de Diagnostic et de Soins (PNDS), positionne ATGAM® en 1^{ère} intention associé à la ciclosporine ainsi qu'à des soins de support (transfusions de globules rouges et de plaquettes, traitements anti-infectieux)⁵.

Pfizer, un engagement de longue date pour améliorer la prise en charge des patients atteints d'aplasie médullaire

Depuis plus de 12 ans, Pfizer œuvre sans relâche et multiplie les démarches afin de permettre aux patients français atteints d'aplasie médullaire modérée à sévère et ne pouvant recevoir une greffe de CSH de bénéficier de la solution thérapeutique offerte par ATGAM® :

- 26 janvier 2012, ATGAM® est indiqué dans le traitement de l'aplasie médullaire modérée à sévère chez les patients ne pouvant pas recevoir une greffe de cellules souches hématopoïétiques disponible dans le cadre d'Autorisations Temporaires d'Utilisation nominatives (ATUn) encadrées par un PUT (Protocole d'Utilisation Thérapeutique)² ;
- 16 janvier 2019 : ATGAM® obtient une ATU de cohorte (ATUc) dans cette même indication en association avec la ciclosporine² ;
- 24 janvier 2022 : après 7 ans d'évaluation, l'ANSM délivre à ATGAM® une autorisation de mise sur le marché (AMM nationale) dans le traitement des formes modérées à sévères d'aplasie médullaire acquise, en association avec la ciclosporine chez l'adulte et l'enfant de plus de 2 ans ne pouvant pas recevoir de greffe de moelle osseuse² ;
- 3 juin 2022, dans l'attente de sa prise en charge par l'Assurance Maladie au titre de son AMM, la Haute Autorité de Santé délivre à ATGAM® une autorisation d'accès précoce (AP2) dans l'indication susmentionnée*² ;
- 13 juillet 2023, toujours dans l'attente de son remboursement, la HAS renouvelle l'autorisation d'accès précoce d'ATGAM® dans cette indication⁶.
- 20 juillet 2022 : la HAS octroie à ATGAM® un service médical rendu (SMR) important et une amélioration du service médical rendu (ASMR) IV, et donne un avis favorable à son remboursement l'indication concernée³ ;
- 6 février 2024 : le Journal Officiel publie les arrêtés de prise en charge d' ATGAM®¹.

L'aplasie médullaire, une maladie rare, grave et invalidante

L'aplasie médullaire est une maladie rare se caractérisant par une incapacité de la moelle osseuse à produire normalement les cellules sanguines. Elle se traduit par un déficit d'un ou de plusieurs types de cellules avec pour conséquence une anémie (déficit en globules rouges), une baisse de la défense immunitaire (déficit en polynucléaires neutrophiles) ou une tendance au saignement et aux hématomes suite à un traumatisme (déficit en plaquettes)⁷. Elle survient sans choix de genre (touche autant les hommes que les femmes), à un âge moyen de 30 ans⁸. Sa prévalence est estimée à 1/250 000 habitants et son incidence est de 2-3 cas par million d'habitants par an en Europe⁵.

L'aplasie médullaire est une maladie grave avec un fort retentissement sur la vie quotidienne des patients qui en sont atteints et dont les effets sont souvent invisibles pour l'entourage mais épuisants pour le patient⁹.

Depuis la mise à disposition d'ATGAM® en 2012, environ 1400 patients ont été inclus dans les différents programmes d'accès précoce (ATUn, ATUc, AP).

« L'annonce de la publication au JO des arrêtés de prise en charge d'ATGAM® représente une avancée importante pour la prise en charge de patients dont le pronostic vital est parfois en jeu » déclare Bruno Valtier, Directeur Médical de l'activité Hôpital chez Pfizer France,

À propos de Pfizer : des avancées qui changent la vie des patients

Chez Pfizer, nous nous appuyons sur la science et toutes nos ressources mondiales pour offrir aux patients des thérapies qui prolongent et améliorent considérablement leur vie. Nous recherchons la qualité, la sécurité et l'excellence dans la découverte, le développement et la production de nos médicaments et vaccins. Chaque jour, dans les pays développés comme dans les pays émergents, les collaborateurs de Pfizer sont engagés pour faire progresser le bien-être, la prévention et les traitements contre les maladies les plus graves de notre époque. Conformément à notre responsabilité en tant que leader des industries biopharmaceutiques, nous collaborons

avec les professionnels de santé, les gouvernements et les populations locales pour soutenir et élargir l'accès à des solutions de santé fiables et abordables partout dans le monde. Depuis 170 ans, nous nous efforçons de faire la différence pour tous ceux qui comptent sur nous. Pour en savoir plus sur nos engagements, vous pouvez visiter notre site internet <https://www.pfizer.fr/> et nous suivre sur Twitter : [@Pfizer France](https://twitter.com/Pfizer_France).

** Pour bénéficier d'une autorisation d'accès précoce, un médicament doit remplir plusieurs critères : la maladie dans laquelle il est indiqué doit être grave, rare et invalidante ; il ne doit pas exister d'alternative thérapeutique ; par conséquent, la mise en œuvre du médicament ne peut être différée ; l'efficacité et la sécurité du médicament, pour l'indication considérée, doivent être fortement présumées au vu des résultats des essais thérapeutiques. Le laboratoire propriétaire de la spécialité doit s'engager à présenter un plan de développement post-autorisation dans le cadre du plan de gestion de risque.*

REFERENCES

1. Arrêté du 1er février 2024 modifiant la liste des spécialités pharmaceutiques prises en charge en sus des prestations d'hospitalisation mentionnée à l'article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale. Journal Officiel. Février 2024
2. Autorisation d'accès précoce. 3 juin 2022. HAS
3. Avis favorable au remboursement. Haute Autorité de Santé (has-sante.fr). 2022
4. Aplasie médullaire sévère : nouvelle perspective dans la prise en charge thérapeutique de cette maladie rare. APHP. 2022
5. Protocole national de diagnostic et de soins. Aplasies médullaires acquises et constitutionnelles. Centre de référence des aplasies médullaires acquises et constitutionnelles. 2023
6. Renouvellement d'accès précoce. HAS. 2022
7. Aplasies médullaires acquises et constitutionnelles. MaRIH - Filière de santé Maladies Rares Immuno-Hématologiques-
8. L'aplasie Médullaire. HPN France
9. L'aplasie médullaire idiopathique Orphanet.

Contact presse

DNA Comms – Manon Torgue
mtorgue@dna-comms.com

Pfizer France - Julie Floch-Ponremy
julie.ponremy@pfizer.com