



Etude

« Accès aux tests compagnons »

Edition 2025 – extension étude 2022



***VOLET 1 : mise à jour de l'état des lieux
de l'accès aux tests moléculaires
associés aux thérapies ciblées et aux
immunothérapies pour les patients
atteints d'un cancer***



Méthodologie

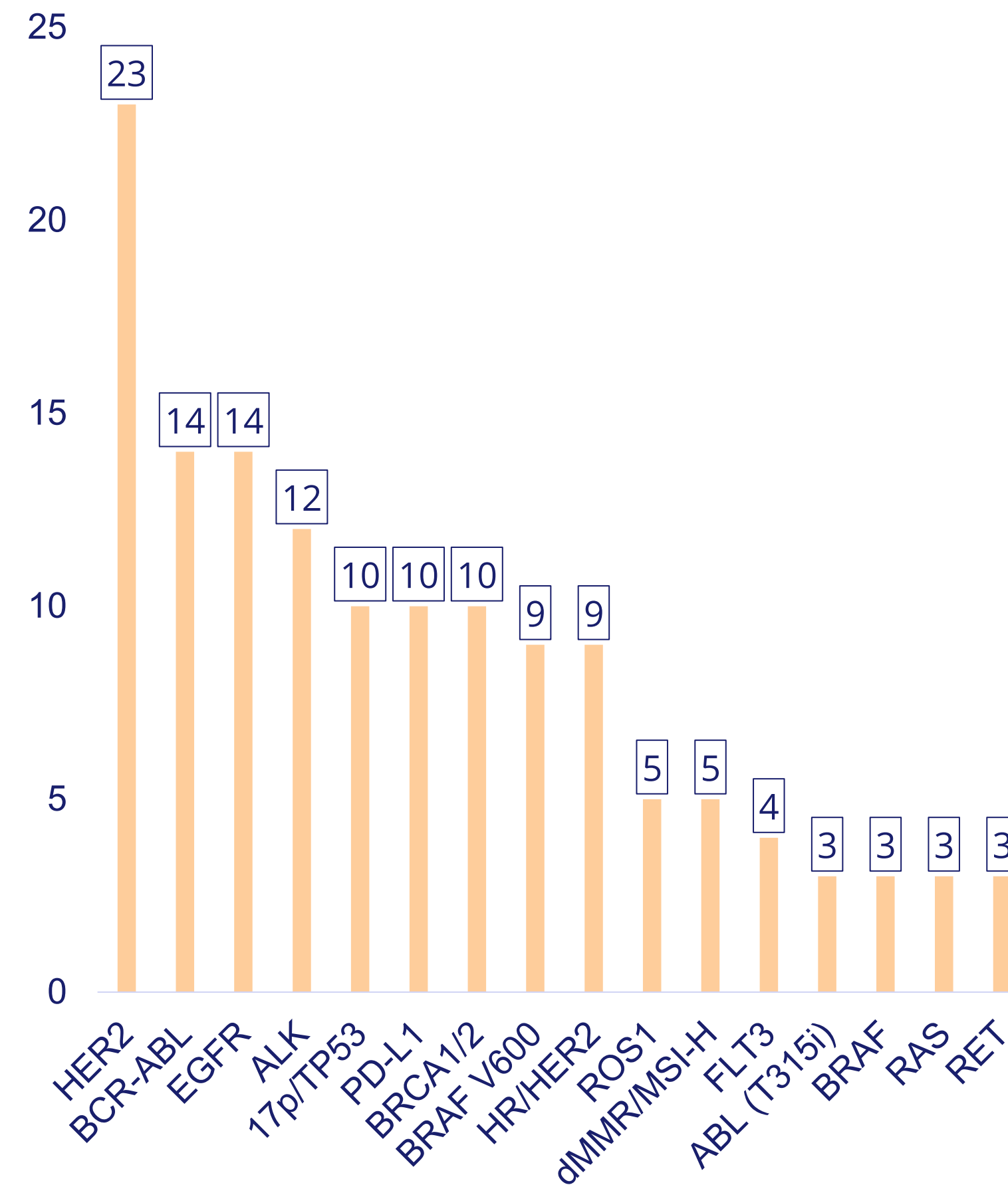
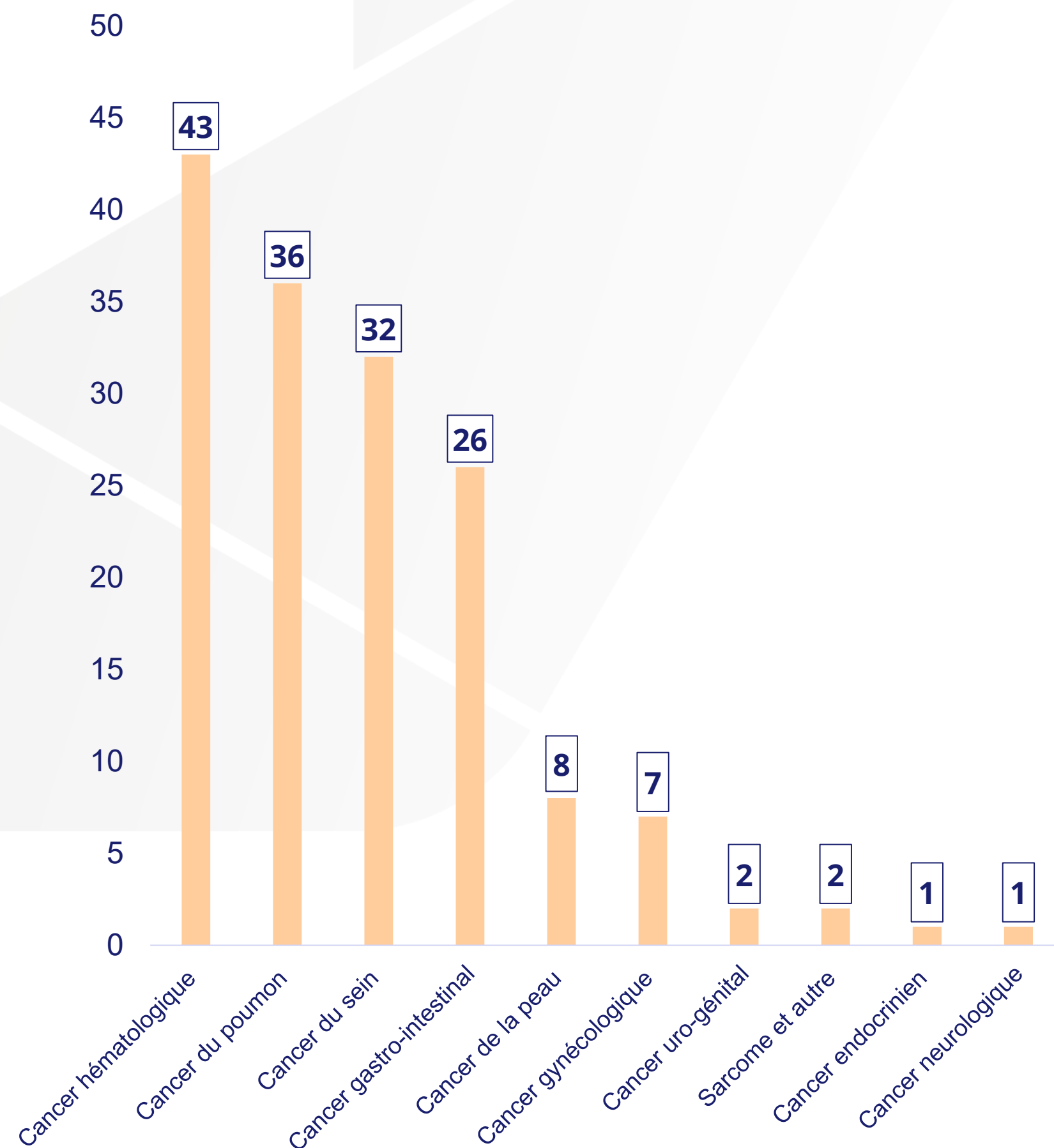


Objectif : actualiser l'estimation du besoin en France en matière de tests moléculaires en cancérologie

Thérapies associées tests	Prise en charge financière	Population cible
1 Traitements ayant une AMM en Europe et accessibles aux patients en France (droit commun ou accès précoce) Biomarqueurs associés à une thérapie ciblée. › <u>INCa</u> : Liste des tests de génétique, des biomarqueurs associés à des syndromes par sous-type de cancer; › <u>Recommandations</u> : INCa, ESMO, NCCN › <u>HAS</u> : Avis de la Commission de la Transparence (CT) sur le droit commun et accès précoce › <u>Autres</u> : ANSM	2 Pour chaque test identifié : Couverture pérenne ? Couverture transitoire ? Absence de prise en charge ? Cas particuliers ? › Ameli.fr (nomenclatures et codages) › Ministère de la santé (RIHN,) › HAS (tests compagnons, forfait innovation)	3 Pour chaque test identifié: population cible incidente éligible à la réalisation du test en France. › HAS : Avis de la CT



87 thérapies ciblées associées à des biomarqueurs sont disponibles en France

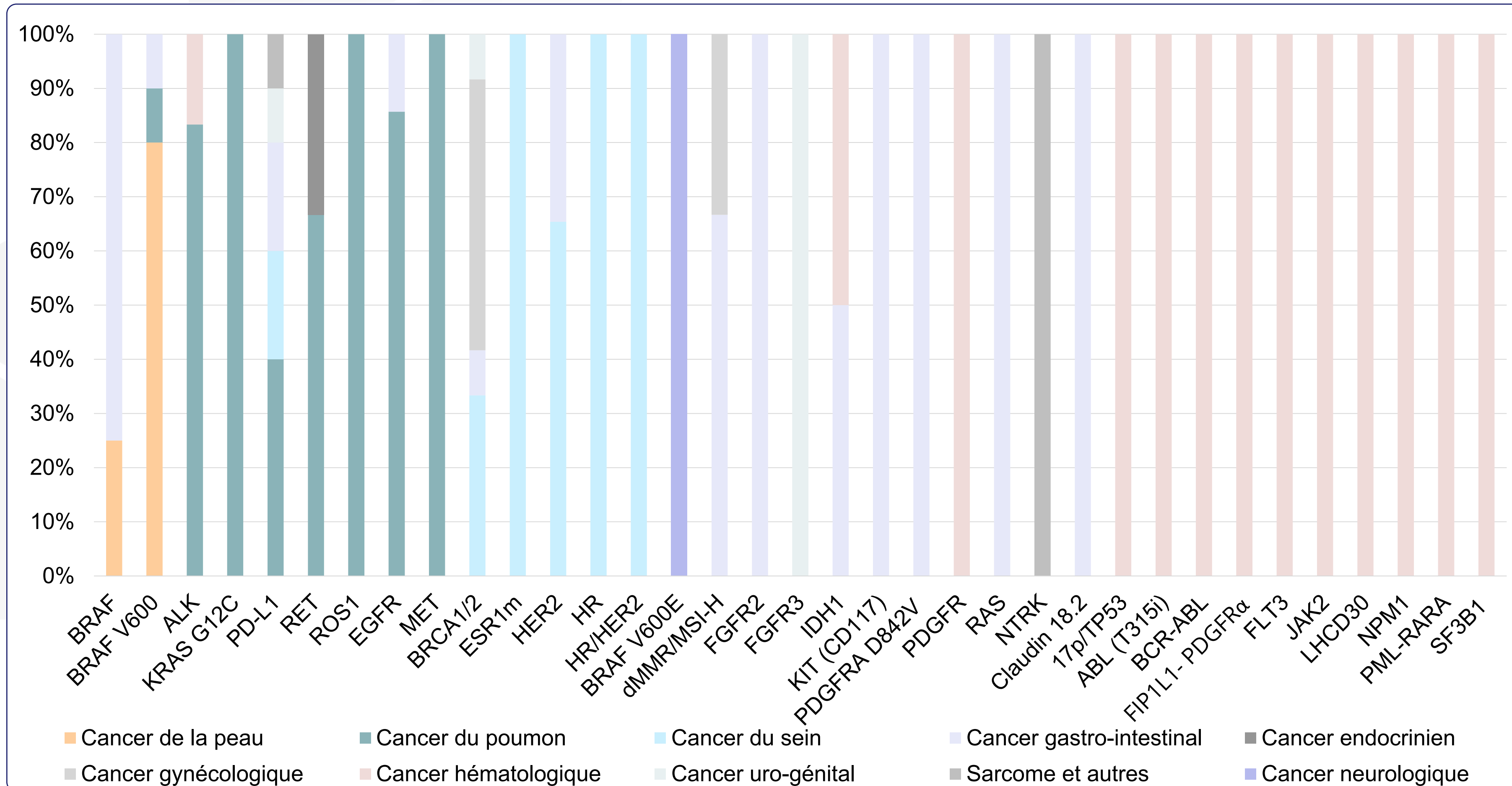


- › **87 thérapies ciblées réparties en 167 combinaisons**
'thérapie/biomarqueur/indication' disponibles pour les patients en France
- › Ces traitements concernent principalement les cancers:
 - **hématologiques (26%)**
 - **du poumon (22%)**
 - **du sein (19%)**
 - **Gastro-intestinaux (16%)**
- › La majorité des biomarqueurs sont **associés à plusieurs thérapies ciblées**
- › **HER2, BCR-ABL et EGFR** sont les 3 biomarqueurs les plus fréquemment associés à des thérapies ciblées:
 - HER2 associé à 14% des combinaisons
 - BCR-ABL et EGFR associés à 8% des combinaisons

Nombre de 'thérapies ciblées /biomarqueur / indication' par cancer ou par biomarqueur
(nombre total de combinaisons = 167)



La majorité des biomarqueurs est recherchée dans un seul type de cancers



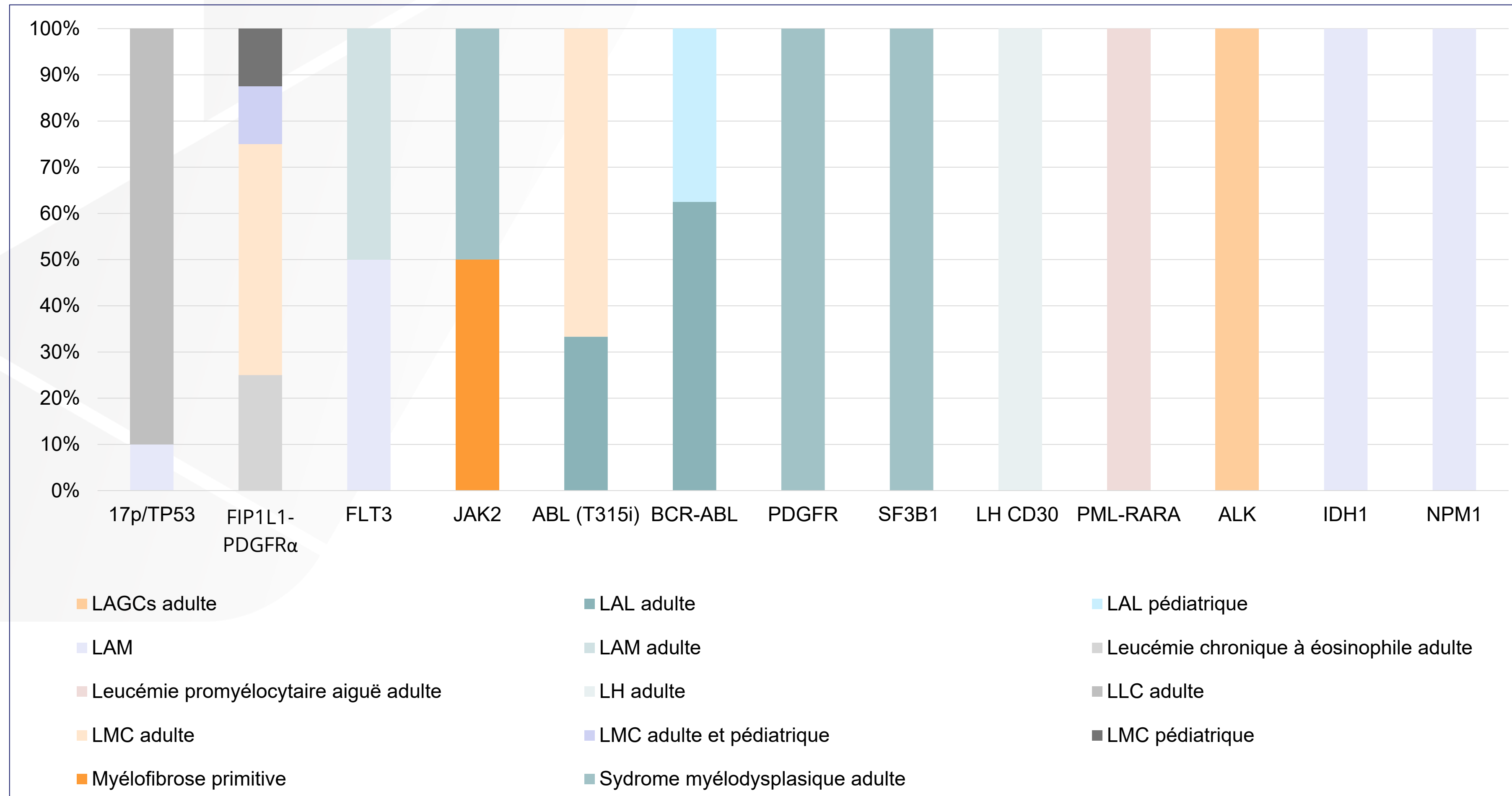
- › De nombreux biomarqueurs ne sont recherchés que pour une seule localisation (ex : MET, ROS1 dans le cancer du poumon, RAS et FGFR2 dans le cancer gastro-intestinal, etc.)
- › Certains biomarqueurs peuvent en revanche être recherchés pour plusieurs cancers (ex : BRAF V600 ; PD-L1 etc.) appuyant ainsi la logique de la médecine de précision.

Cancers en fonction du type de biomarqueur (%)

(nombre de combinaisons thérapie / marqueur / indication intégrées à l'analyse = 167)



En hématologie, la plupart des biomarqueurs sont spécifiques d'un sous-type de cancer



› Peu de marqueurs identifiés au cours de l'analyse sont transverses à plusieurs cancers hématologiques

(ex : ABL (T315i), BCR-ABL, ALK, JAK2 et FIP1L1-PDGFR α)

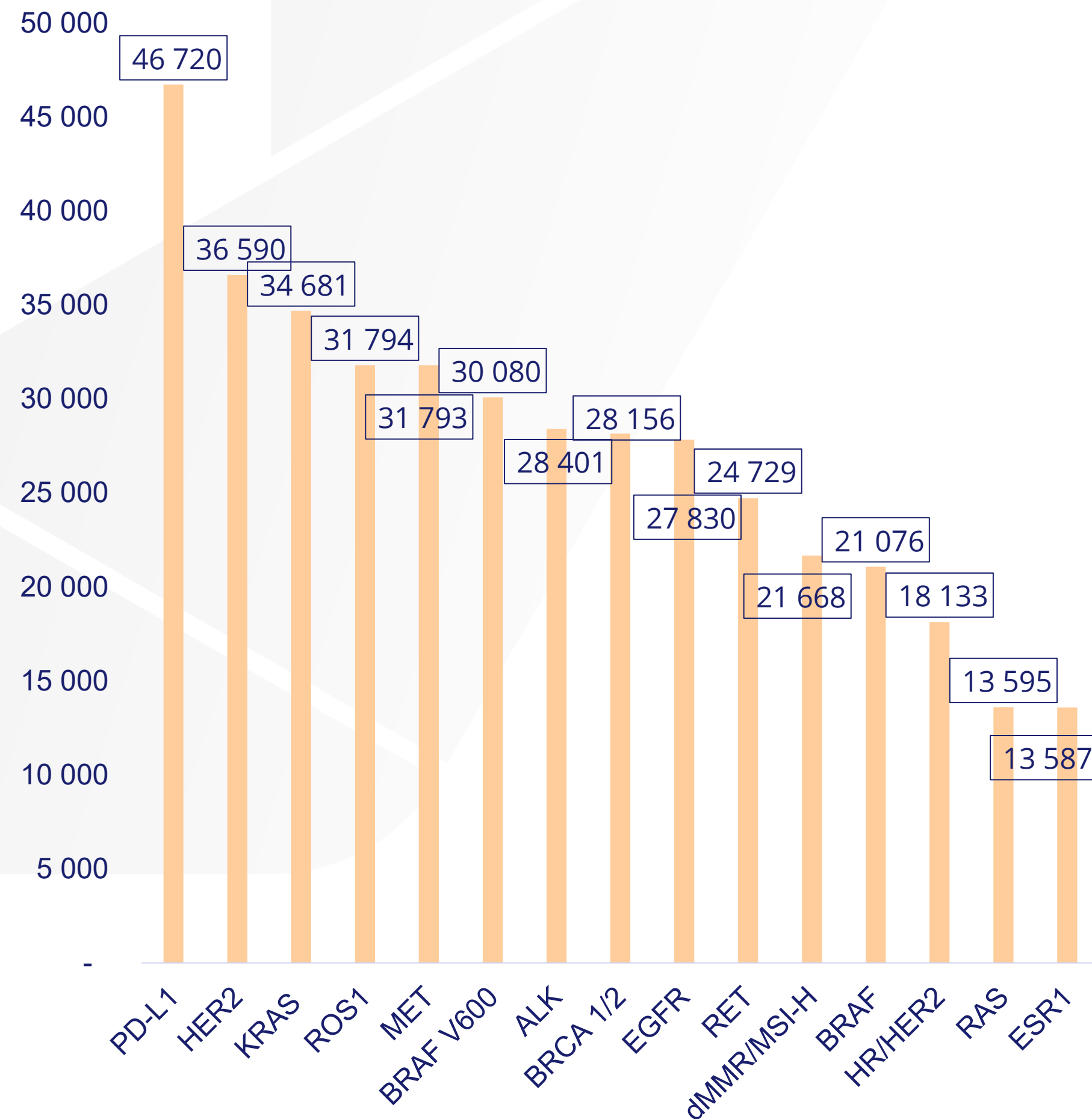
› La majorité des biomarqueurs est **spécifique d'une seule pathologie**

(ex: IDH1 ou NPM1 dans la LAM ou SF3B1 dans le syndrome myélodysplasique adulte).

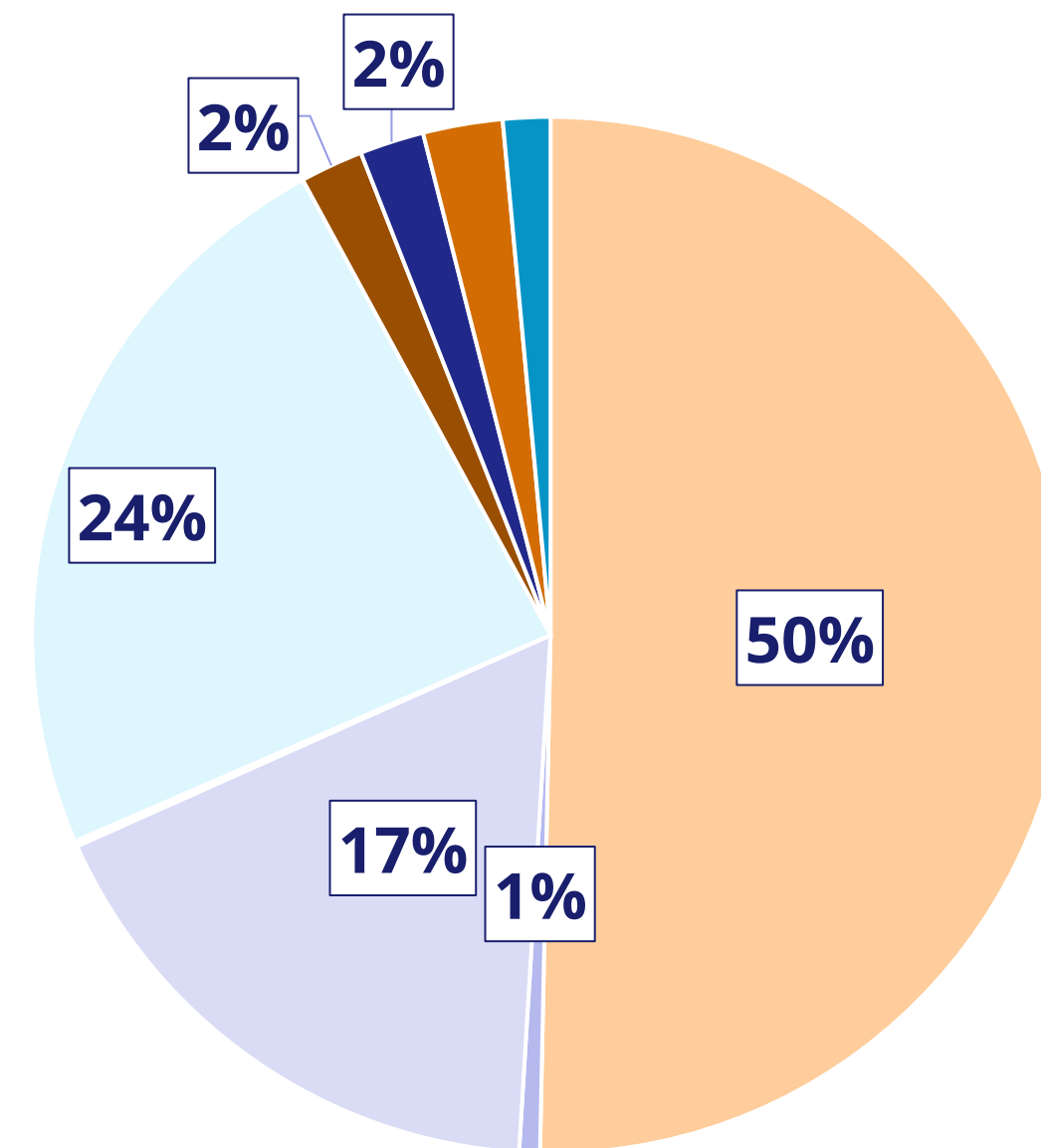
Cancers hématologiques concernés par la recherche de marqueurs pour bénéficier d'une thérapie ciblée



Plus de 420 000 recherches de biomarqueurs à réaliser par an pour garantir l'accès aux thérapies ciblées actuellement disponibles en France



Nombre de recherches annuelles à réaliser par biomarqueur (top 15)
(N= 420 107 recherches totales)

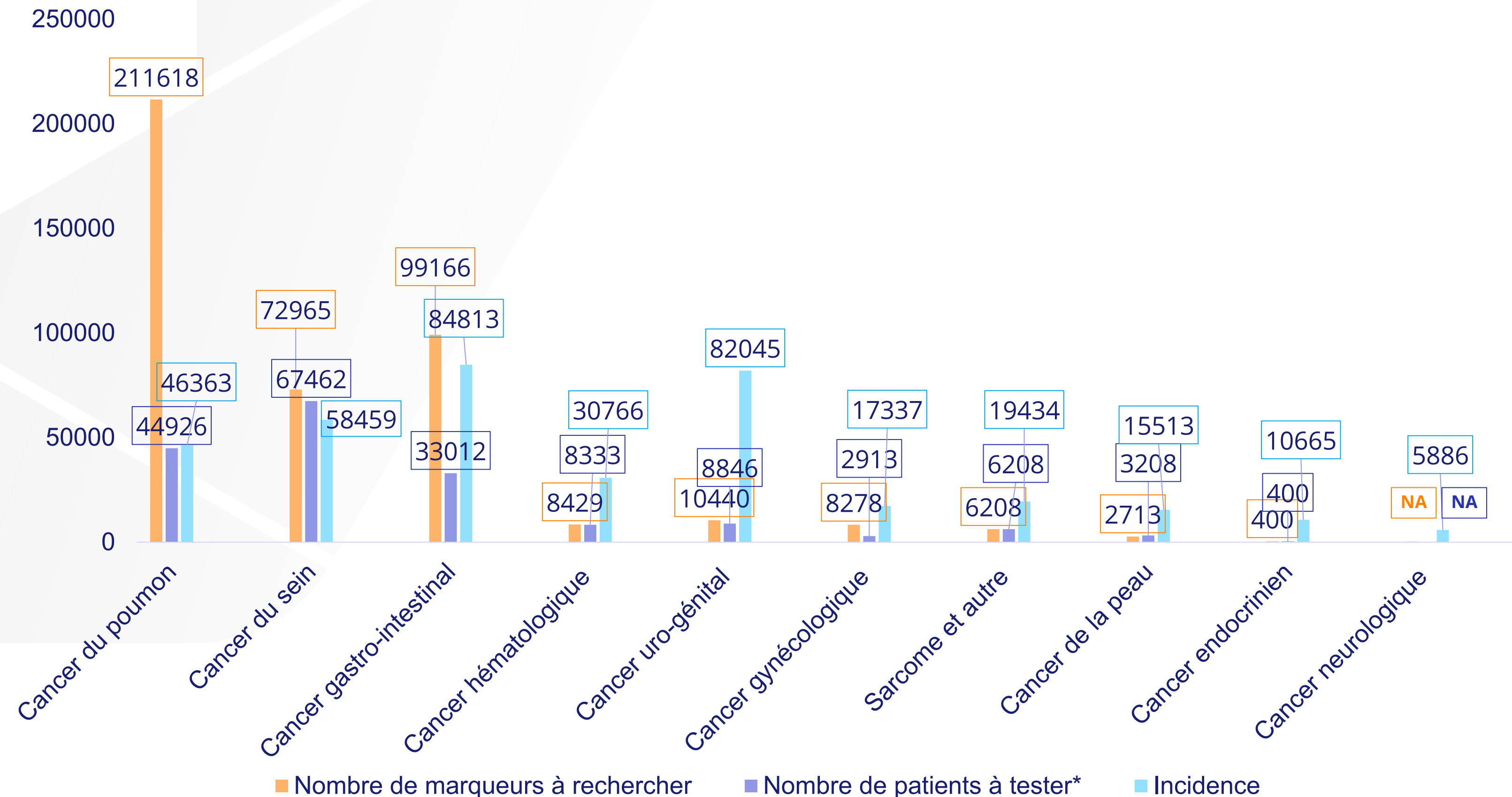


Répartition du nombre de marqueurs à rechercher annuellement, par type de cancer
(N=420 107 marqueurs)

- › Environ **420 107 recherches de biomarqueurs par an** seraient à rechercher en prévision d'un traitement par thérapie ciblée.
- › La recherche de **PDL1, HER2 et KRAS** représente **28% des besoins**
- › Ces recherches de biomarqueurs concernent principalement les cancers:
 - **du poumon**
 - **du sein**
 - **gastro-intestinaux**



Plus de 205 000 patients seraient concernés chaque année par les recherches de biomarqueurs associées aux thérapies ciblées disponibles en France

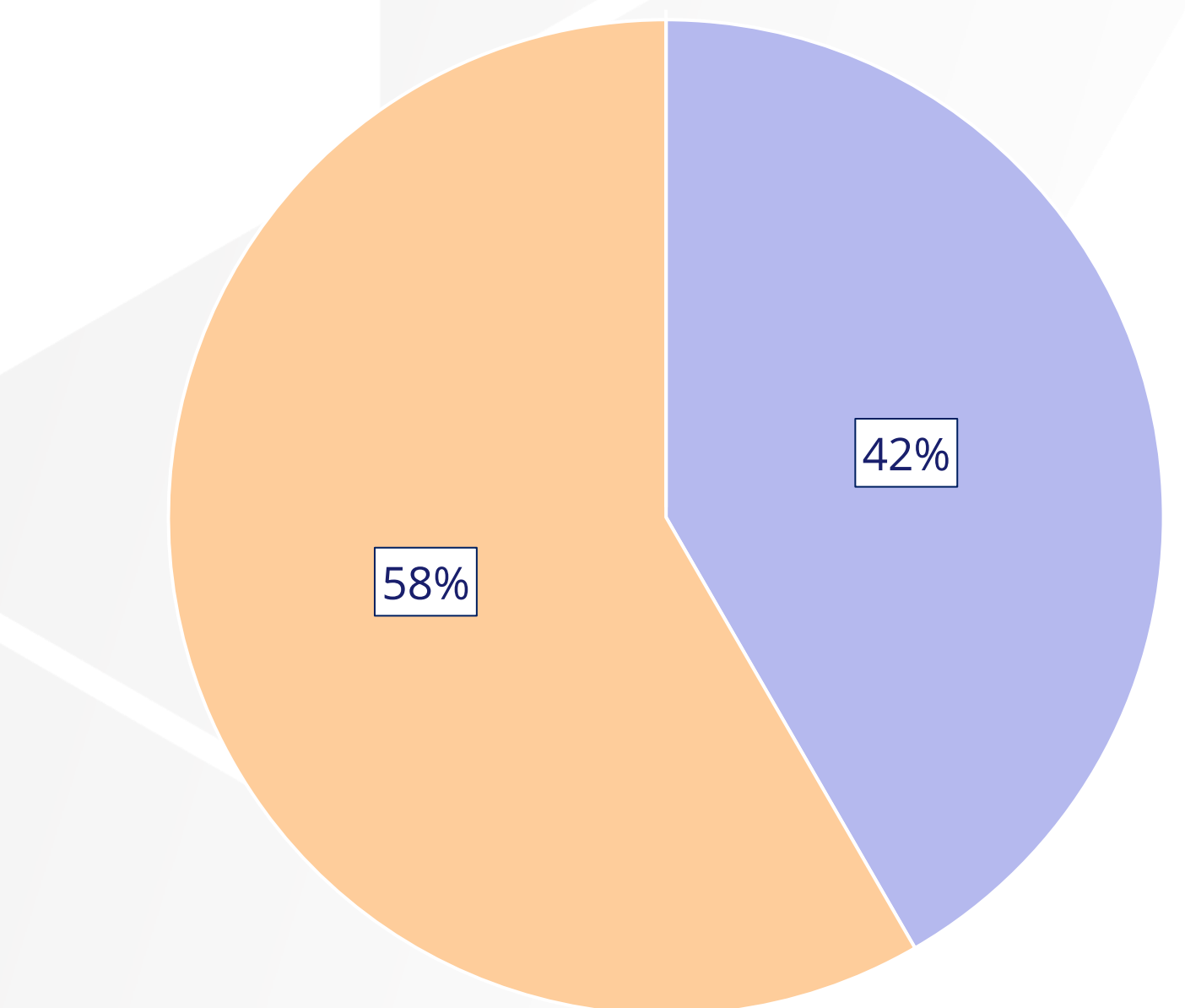


Nombre de marqueurs à rechercher et de patients à tester chaque année, par type de cancer

(N= 420 107 marqueurs ; 205 407 patients)

- › Le **nombre total de patients** concernés chaque année est de plus de **205 000**
- › Les patients les plus impactés sont les patients atteints d'un cancer
 - **du sein (33%)**
 - **du poumon (22%)**
 - **gastro-intestinal (16%)**

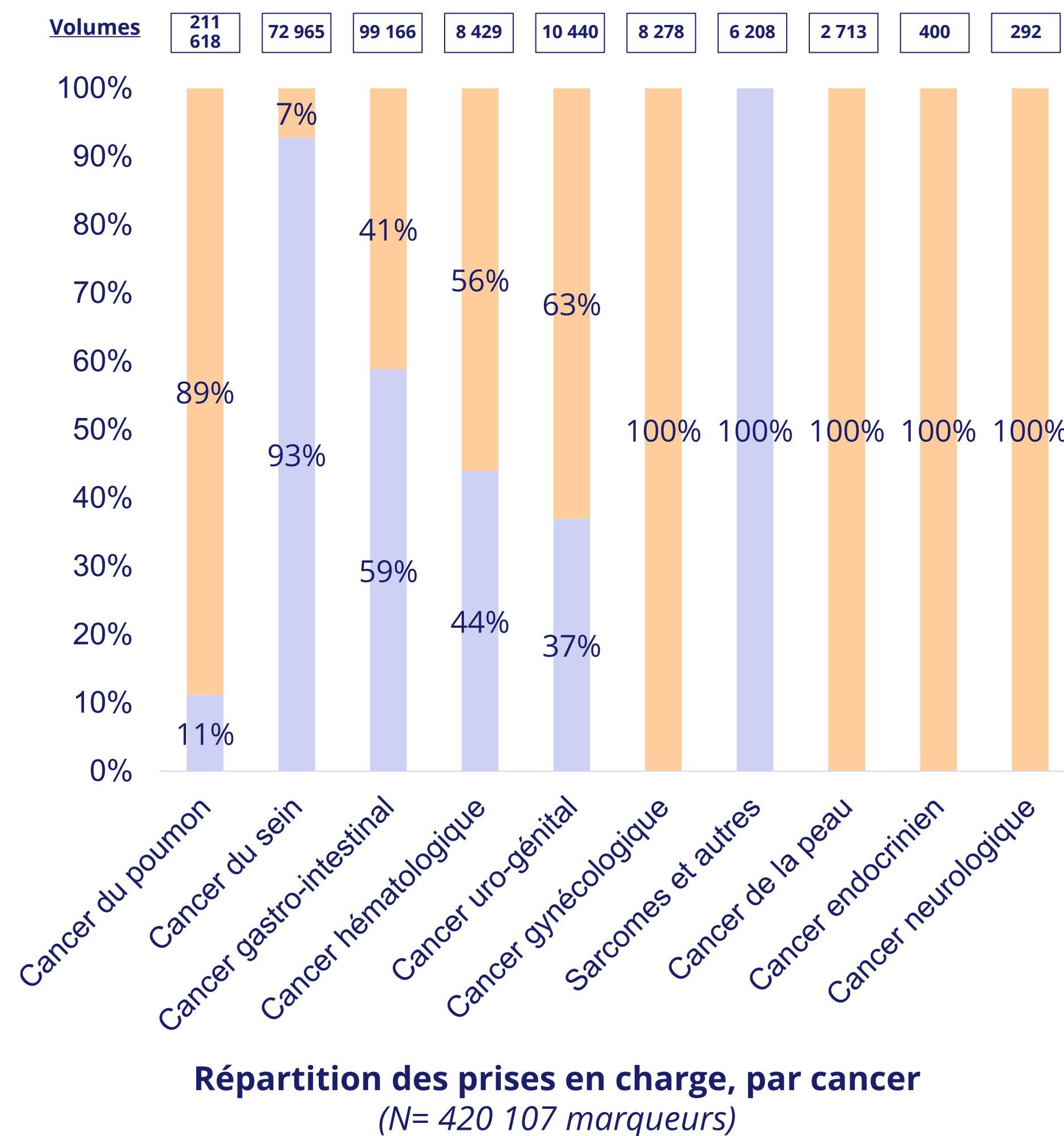
Seuls 42% des recherches de biomarqueurs associés aux thérapies ciblées disponibles en France bénéficient d'un financement pérenne



■ Prise en charge complète ■ Prise en charge partielle

■ Absence de prise en charge

Répartition des biomarqueurs
par prise en charge
(N= 420 107 marqueurs)



- › 42 % des recherches de biomarqueurs associés à une thérapie ciblée sont pris en charge dans le droit commun
- › Les autres recherches (58%) sont financées par le RIHN qui actuellement n'assure qu'une prise en charge partielle
- › Pour les cancers du poumon, près de 90% d'entre eux sont pris en charge de manière transitoire et partielle.

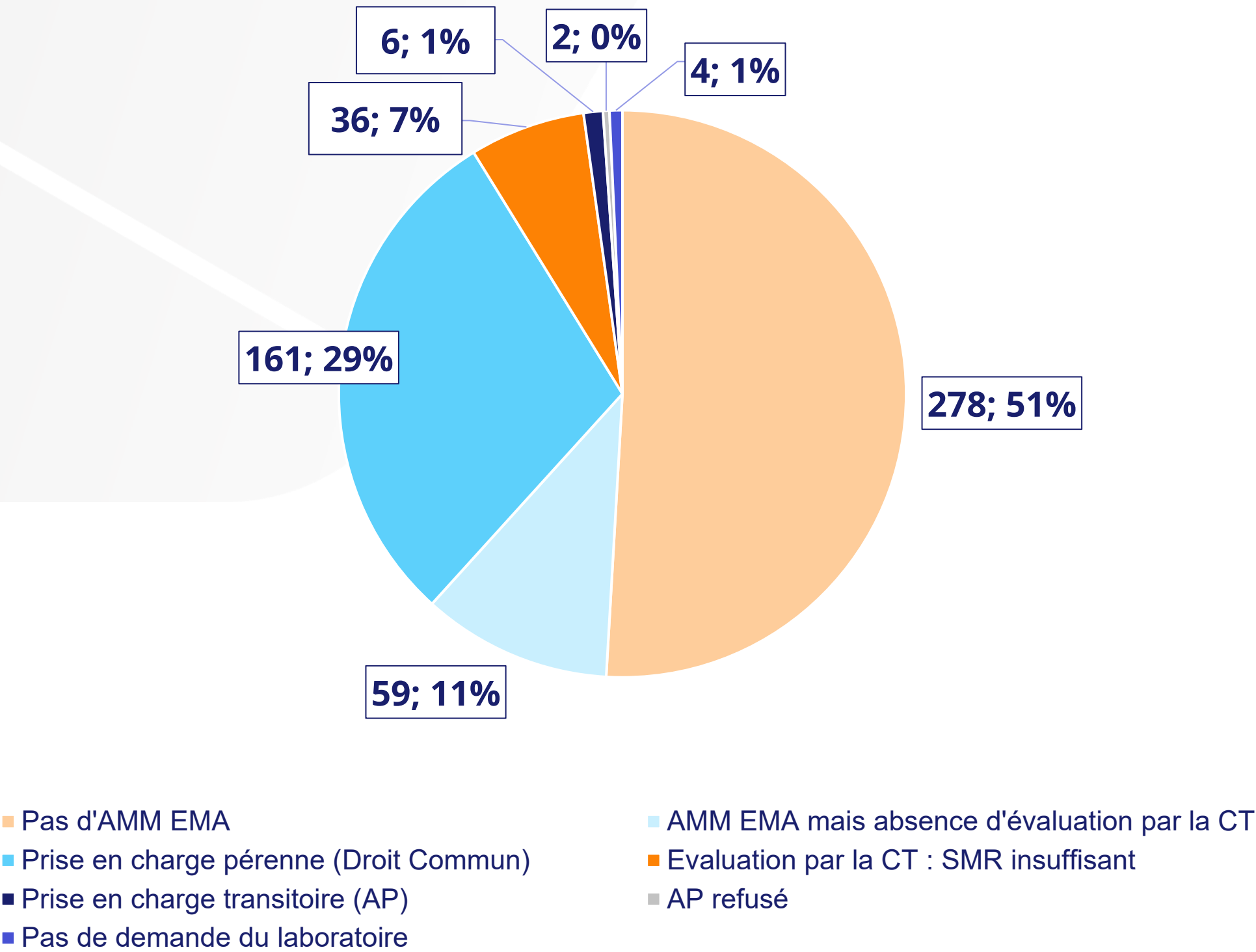


Conclusion & perspectives



	Étude 2022	Extension 2025
Thérapies ciblées ou immunothérapies associées à un biomarqueur disponible en France	72	87
Combinaison avec une approche par indication	111	167
Recherches annuelles de biomarqueurs à effectuer	375 000	420 000
Patients concernés chaque année	205 000	205 000
Part des actes recherchant les biomarqueurs bénéficiant d’une prise en charge transitoire et partielle (RIHN)	60%	58%

Combinaisons ‘thérapie / biomarqueur / indication’ recommandées à l’international (N = 546)



› Trois ans après le vote de la réforme du RIHN (LFSS 2022) :

- **Besoin d’accélérer la mise en œuvre de la réforme RIHN** pour que les difficultés de financement des tests moléculaires ne bloquent pas l’accès aux thérapies ciblées et immunothérapies disponibles en France pour les patients

› 546 combinaisons thérapie / marqueur / indication issues des recommandations internationales dont:

- **59 combinaisons** avec AMM européenne qui pourraient être évaluées par la HAS
- **278 combinaisons** qui pourraient obtenir une AMM européenne

***VOLET 2 : état des lieux de l'accès aux tests
moléculaires associés aux dispositifs
dérogatoires pour les patients atteints d'un
cancer ou d'une maladie rare***



Méthodologie



Objectif : dresser un état des lieux des dispositifs dérogatoires pour les traitements des cancers et des maladies rares associés à des biomarqueurs

Quantification des accès dérogatoires associés à des biomarqueurs

1

Mesure de la volumétrie des accès dérogatoires entre juillet 2021 et décembre 2024 :

1. Pour **l'ensemble des traitements** en accès dérogatoire: accès précoces (pré-AMM AP1, post-AMM AP2) et des accès compassionnels (autorisation d'accès compassionnel AAC, cadre de protocole compassionnel CPC)
2. Pour les thérapies en **cancérologie et dans les maladies rares**,
 1. Pour les **thérapies nécessitant un test compagnon** de biologie moléculaire pour le diagnostic, le ciblage ou le suivi.



Caractérisation du financement des tests associés

2

Pour chaque traitement associé à un test compagnon et bénéficiant d'un accès dérogatoire:

Caractériser la **prise en charge des actes** (droit commun, RIHN, ou absence de prise en charge) **au moment de la demande d'accès précoce (AP) ou compassionnel (AC)**.

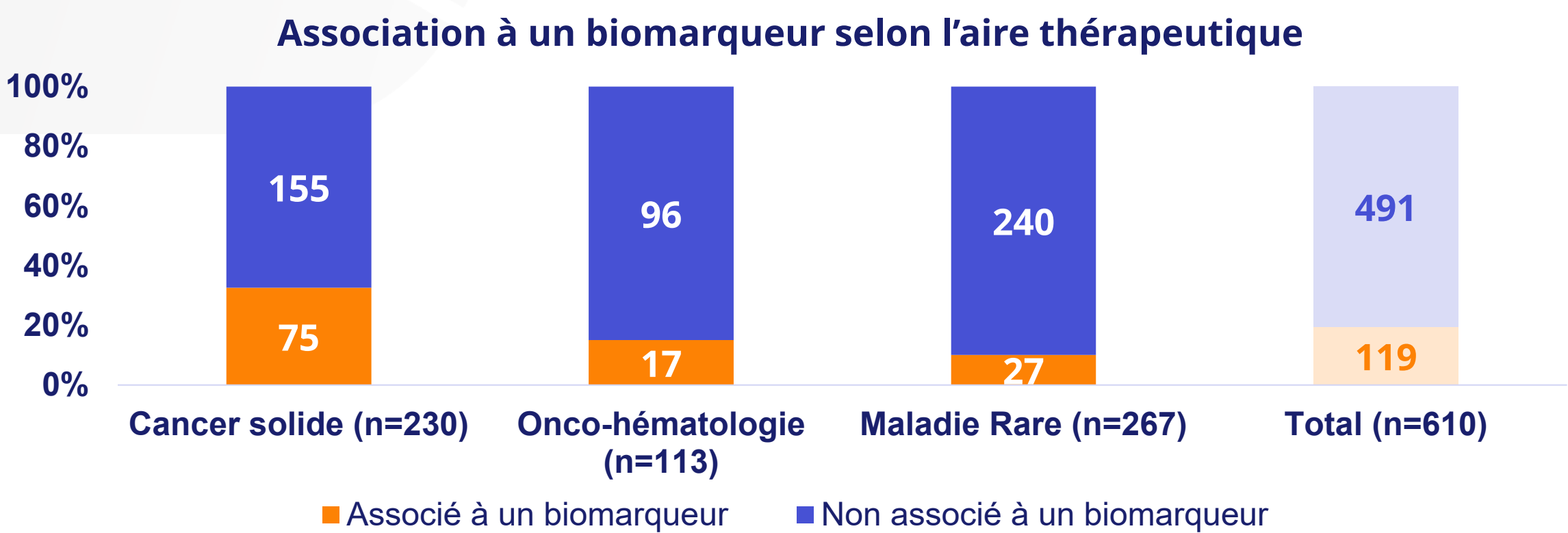
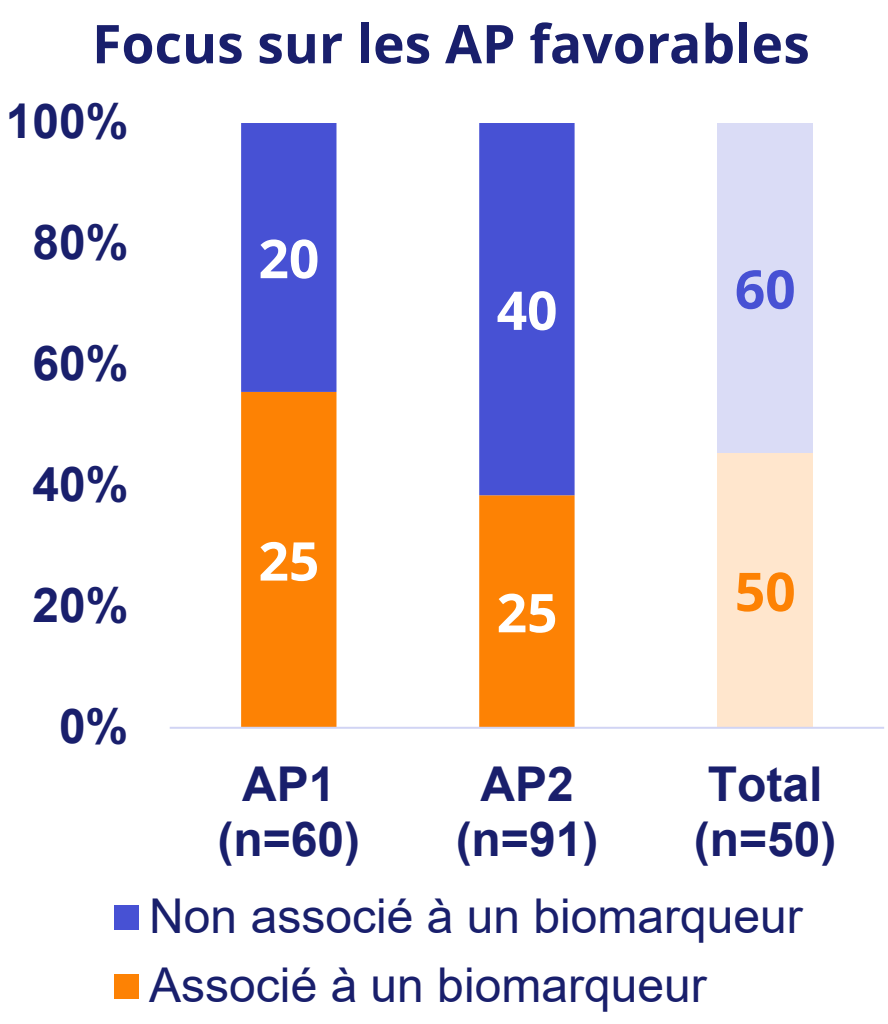
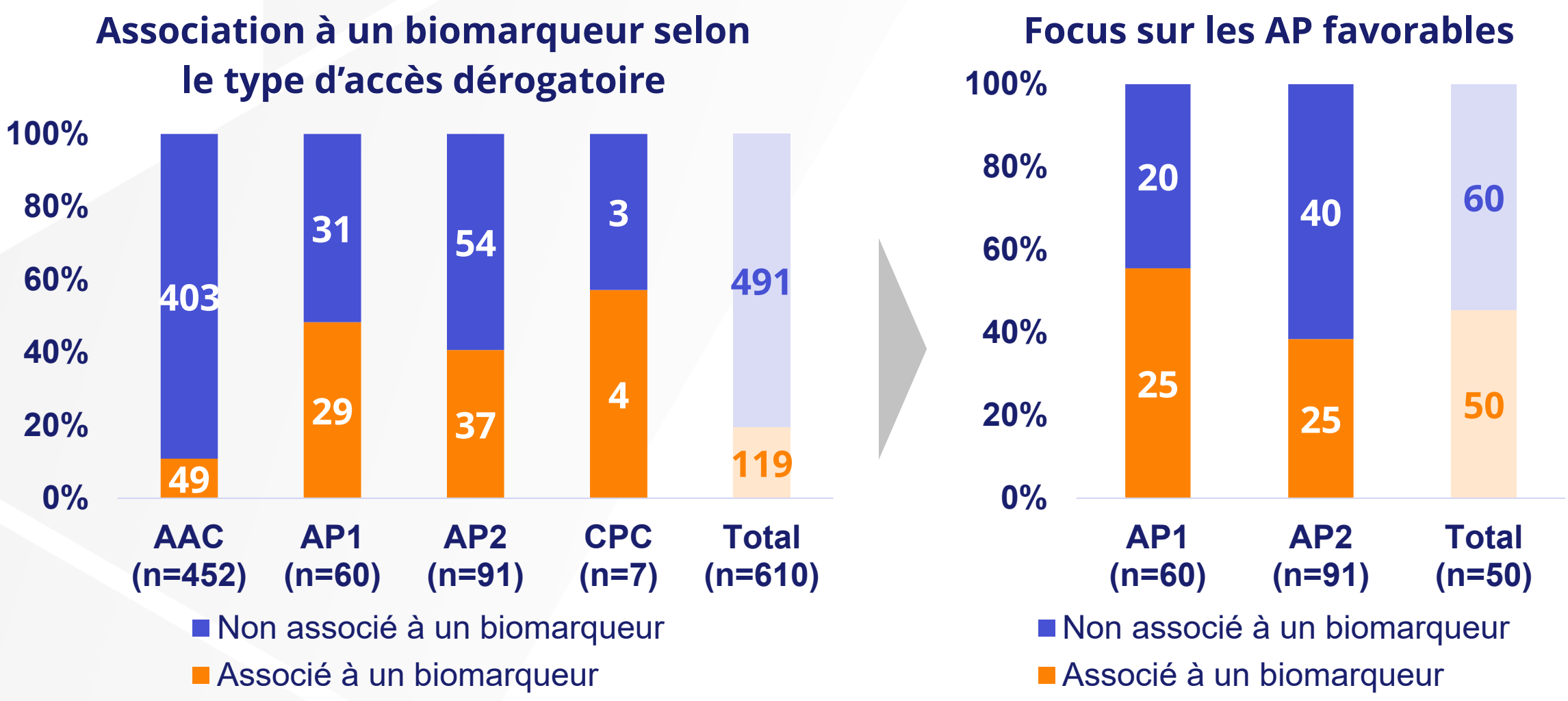
Source :

- › HAS et ANSM
- › Base de données des AP du Leem

Source :

- › Ameli.fr (nomenclatures et codages) ;
- › Ministère de la santé (RIHN) ;
- › HAS (tests compagnons, forfait innovation)

Une part importante des accès précoces (44%) est associée à un biomarqueur, en particulier en oncologie solide

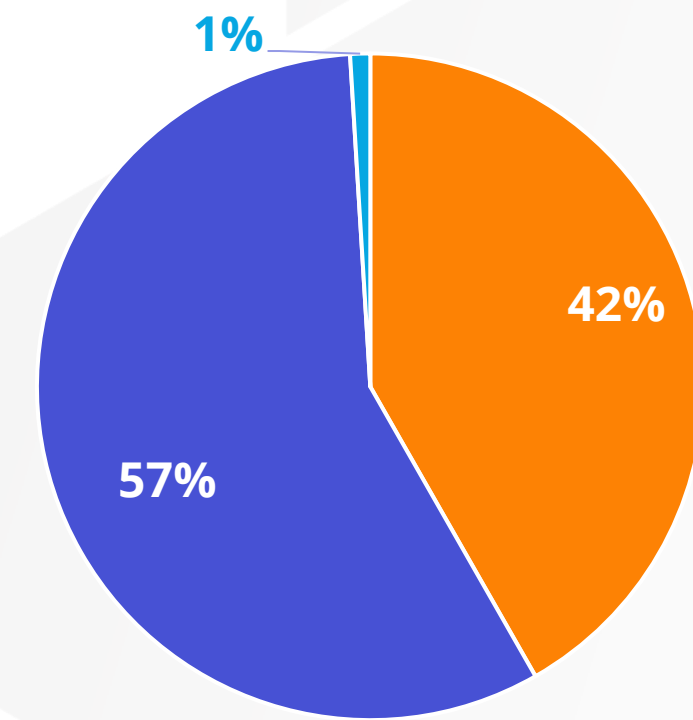


- › **610 accès dérogatoires en cancérologie et maladies rares:**
452 AAC + 7 CPC : 54% en cancérologie / 46% en maladies rares
60 AP1 + 91 AP2 : 63% en cancérologie / 37% en maladies rares
- › Accès dérogatoires en cancérologie et maladies rares **associés à un biomarqueur** :
12% des accès compassionnels (AAC + CPC)
44% des accès précoces (AP1 + AP2)
- › En **oncologie solide**, **34% des accès dérogatoires sont associés à un biomarqueur**,

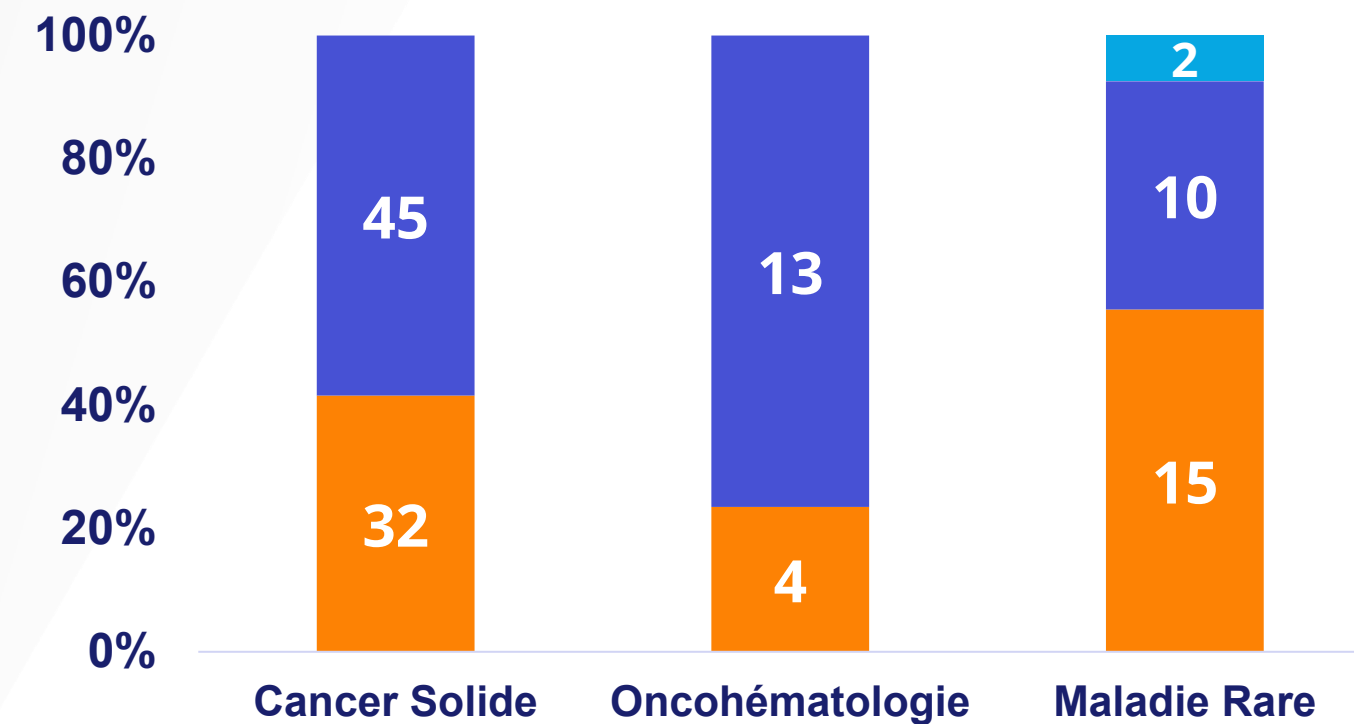
› 57% des tests compagnons associés à un accès dérogatoire sont pris en charge par le RIHN



Financement des tests compagnons



Financement des tests compagnons par aire thérapeutique

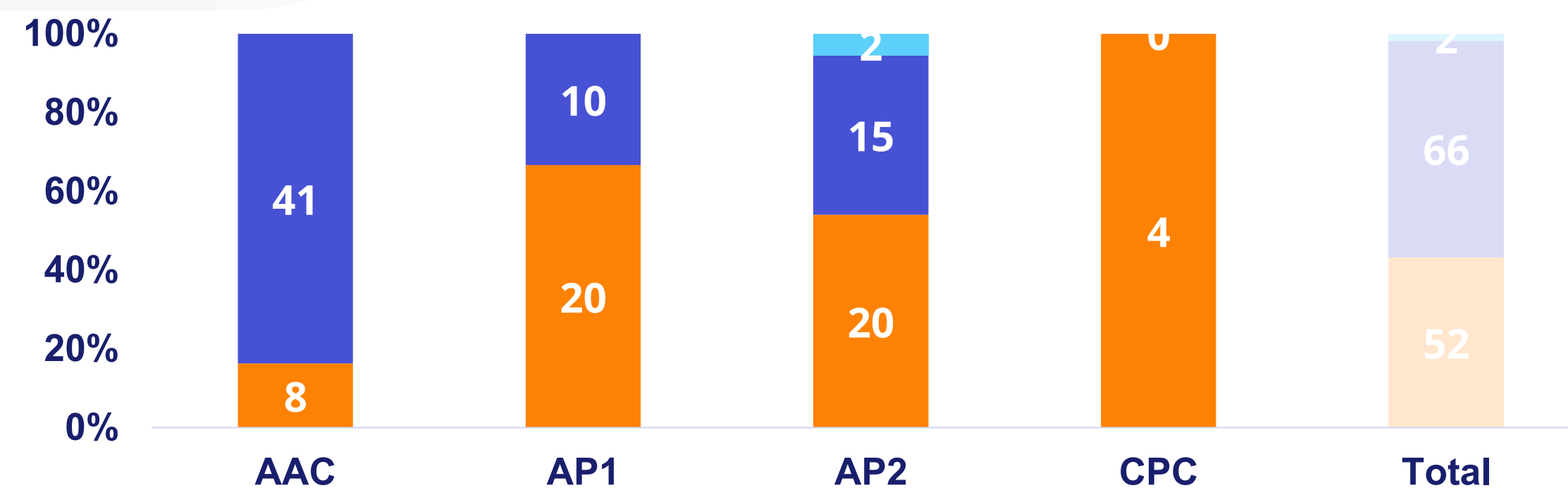


■ Financement pérenne ■ Financement transitoire ■ Absence de financement

› Tests compagnons associés à un accès dérogatoire bénéficiant d'un financement transitoire (RIHN)

57% pour l'ensemble des dispositifs dérogatoires
37% pour les accès précoces (AP1 + AP2)
80% pour les accès compassionnels (AAC + CPC)

Financement des tests compagnons par accès dérogatoire



■ Financement pérenne ■ Financement transitoire ■ Absence de financement

› EN CONCLUSION, trois besoins ont été identifiés:

- 1/ Nécessaire articulation entre les industriels du diagnostic in vitro et du médicament sur les sujets RIHN (demande, recueil de la donnée, sortie en vue d'une prise en charge de droit commun)
- 2/ Circuit simplifié et rapide piloté par la HAS entre AP et RIHN (RIHN 1.0, suivi réforme RIHN avec le RIHN 2.0)
- 3/ Lien à garantir entre AAC et prise en charge du test compagnon



Thank You

Let's Keep in Touch

 info@alirahealth.com

 alirahealth.com

 @Alira Health

 @AliraHealth