Décision n° 2025.0281/DC/SEM du 26 novembre 2025 du collège de la Haute Autorité de santé portant autorisation d'accès précoce de la spécialité TEPEZZA (téprotumumab)

Le collège de la Haute Autorité de santé ayant valablement délibéré en sa séance du 26 novembre 2025.

Vu le code de la sécurité sociale, notamment ses articles L. 161-37 et R. 161-78-1 et suivants ;
Vu le code de la santé publique, notamment ses articles L. 5121-12 et R. 5121-68 et suivants ;
Vu le règlement intérieur du collège ;
Vu le règlement intérieur de la commission de la transparence ;
Vu l'autorisation de mise sur le marché délivrée à la spécialité TEPEZZA (téprotumumab) ;
Vu la demande d'autorisation d'accès précoce présentée par le laboratoire AMGEN SAS pour la spécialité TEPEZZA (téprotumumab) reçue le 18 juillet 2025 ;
Vu la demande d'inscription sur l'une des listes des spécialités remboursables déposée par le demandeur ;
Vu l'accusé d'enregistrement de demande complète notifié le 31 juillet 2025 au demandeur ;
Vu la demande d'informations complémentaires adressée par la HAS le 6 août 2025 au demandeur ;
Vu les informations complémentaires reçues le 13 août 2025 ;
Vu la notification de la HAS indiquant la prorogation du délai d'instruction de la demande d'autorisation d'accès précoce, adressée le 31 juillet 2025 au demandeur ;
Vu l'avis de la commission de la transparence du 19 novembre 2025 ;

DÉCIDE :

Article 1er

La demande d'autorisation d'accès précoce susvisée concerne le médicament **TEPEZZA (téprotumumab)**, dans l'indication « Traitement des patients adultes atteints d'ophtalmopathie basedowienne modérée à sévère au stade actif avec exophtalmie et/ou diplopie. », ayant obtenu une autorisation de mise sur le marché attestant de son efficacité et de sa sécurité.

Le laboratoire AMGEN SAS a déposé une demande d'inscription de cette indication sur la liste visée à l'article L. 5123-2 du code de la santé publique.

La commission de la transparence (CT) a considéré que :

- L'indication visée dans la demande constitue une maladie grave, rare et invalidante, dès lors que l'ophtalmopathie basedowienne affecte 10/10 000 personnes en Europe parmi lesquels 5 à 6 % ont une forme modérée à sévère. Dans sa phase active (inflammatoire), modérée à sévère en présence d'une exophtalmie liée au remodelage (épaississement) des structures externes de l'œil, elle provoque des douleurs intra-orbitaires, des troubles oculomoteurs (diplopie), une rétraction palpébrale, et expose le patient à des risques de complications cornéennes (ulcère, abcès, kératites d'exposition, syndrome sec, perforations cornéennes…) et de compression du nerf optique qui peuvent engendrer une perte de vision voire engager le pronostic visuel des patients. La qualité de vie, les relations sociales, professionnelles et affectives sont fortement altérées par les symptômes douloureux, les troubles oculaires incapacitants et la défiguration liée à l'exophtalmie.

- Il n'existe pas de traitement approprié dans l'indication considérée dans la mesure où les corticoïdes par voie intraveineuse ont une efficacité limitée sur les symptômes d'exophtalmie et de diplopie et ne sont plus considérés comme le traitement de référence dans ces formes. Par ailleurs, les données publiées sur le tocilizumab, utilisé en pratique courante pour ces patients, ne permettent pas de le considérer comme un traitement approprié au regard des données disponibles et présentées pour le téprotumumab.

- La mise en œuvre du traitement ne peut pas être différée puisqu'il s'agit d'une maladie grave pour laquelle il n'existe plus de traitement approprié.

- Ce médicament est présumé innovant au regard des comparateurs cliniquement pertinents car c'est une nouvelle modalité de prise en charge bloquant les récepteurs de l'IGF-1, ayant démontré sa supériorité versus placebo chez des patients atteints d'ophtalmopathie basedowienne modérée à sévère, dans deux études cliniques, dont une étude de phase II et une étude de phase III (OPTIC), randomisées en double-aveugle, multicentriques, d'une durée de 24 semaines, sur des critères cliniquement pertinents tels que l'inflammation, l'exophtalmie et la diplopie, avec une quantité d'effet cliniquement pertinente. La supériorité d**e TEPEZZA (téprotumumab)**, a également été démontrée dans ces deux études sur le score total de qualité de vie GO-QOL (spécifique de la maladie) avec une quantité d'effet cliniquement pertinente. Les résultats exploratoires dans le sous-groupe des patients avec ophtalmopathie basedowienne active modérée à sévère associée à une exophtalmie et/ou une diplopie, représentant 90 % de l'effectif de l'étude de phase II et 84 % de celui de l'étude OPTIC, sont cohérents avec ceux obtenus dans la population globale. Le médicament dispose d'un plan de développement clinique adapté dans la mesure où les formes d'ophtalmopathies basedowiennes modérées à sévères actives associées à une exophtalmie et/ou une diplopie, ciblées par la demande, représentent la quasi-totalité des patients des deux études (91 % et 84 %) et où, la corticothérapie intraveineuse n'étant pas un comparateur cliniquement pertinent dans ces formes, la comparaison au placebo est acceptable. Il est susceptible de combler un besoin insuffisamment couvert, notamment dans les formes les plus sévères.

S'appropriant les motifs de l'avis de la CT, le collège considère que les critères énoncés à l'article L. 5121-12 du code de la santé publique sont donc remplis en l'espèce.

Par conséquent, l'autorisation d'accès précoce prévue au III de l'article L. 5121-12 du code de la santé publique est octroyée à la spécialité :

TEPEZZA (téprotumumab) 500 mg,
poudre pour solution à diluer pour perfusion
Boite de 1 flacon de 20 mL (CIP : 34009 551 081 2 2)

du laboratoire AMGEN SAS

dans l'indication « Traitement des patients adultes atteints d'ophtalmopathie basedowienne modérée à sévère au stade actif avec exophtalmie et/ou diplopie ».

Cette spécialité relève de la catégorie des médicaments soumis à prescription restreinte, dans les conditions prévues par son autorisation de mise sur le marché.

Article 2

La présente autorisation est subordonnée au respect du protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données, mentionné au IV de l'article L. 5121-12 du code de la santé publique.

Article 3

La présente autorisation est valable pour une durée de 12 mois à compter de sa date de notification. Elle peut être renouvelée dans les conditions prévues à l'article R. 5121-69-4 du code de la santé publique.

Article 4

Le directeur général de la Haute Autorité de santé est chargé de l'exécution de la présente décision qui sera publiée au Bulletin officiel de la Haute Autorité de santé.

Fait le 26 novembre 2025.

Pour le collège :
Le président de la Haute Autorité de santé,
Pr Lionel COLLET
Signé