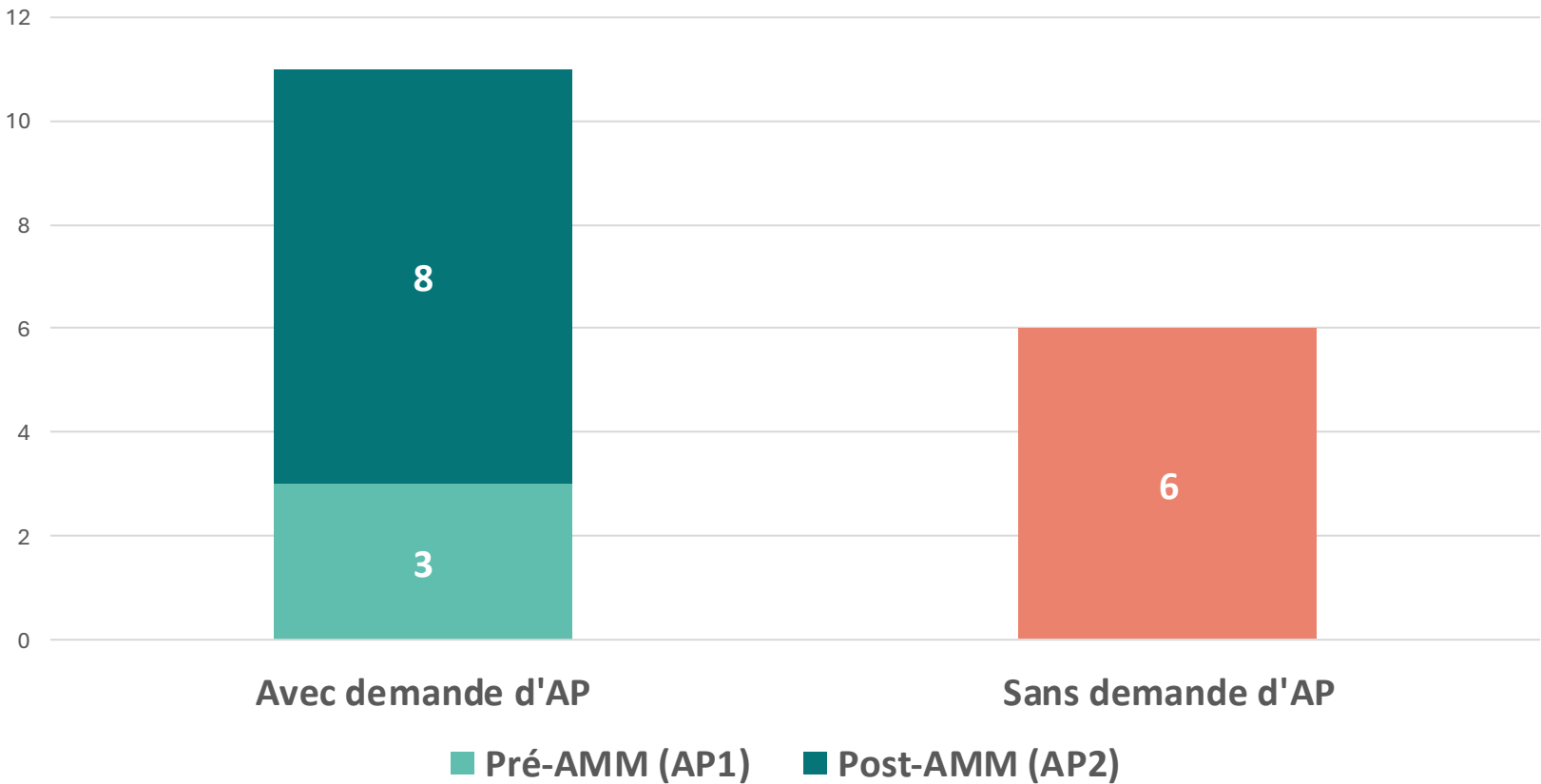




NEOVIDENCE

Deux tiers des médicaments orphelins en 2025 ont sollicité un accès précoce en France

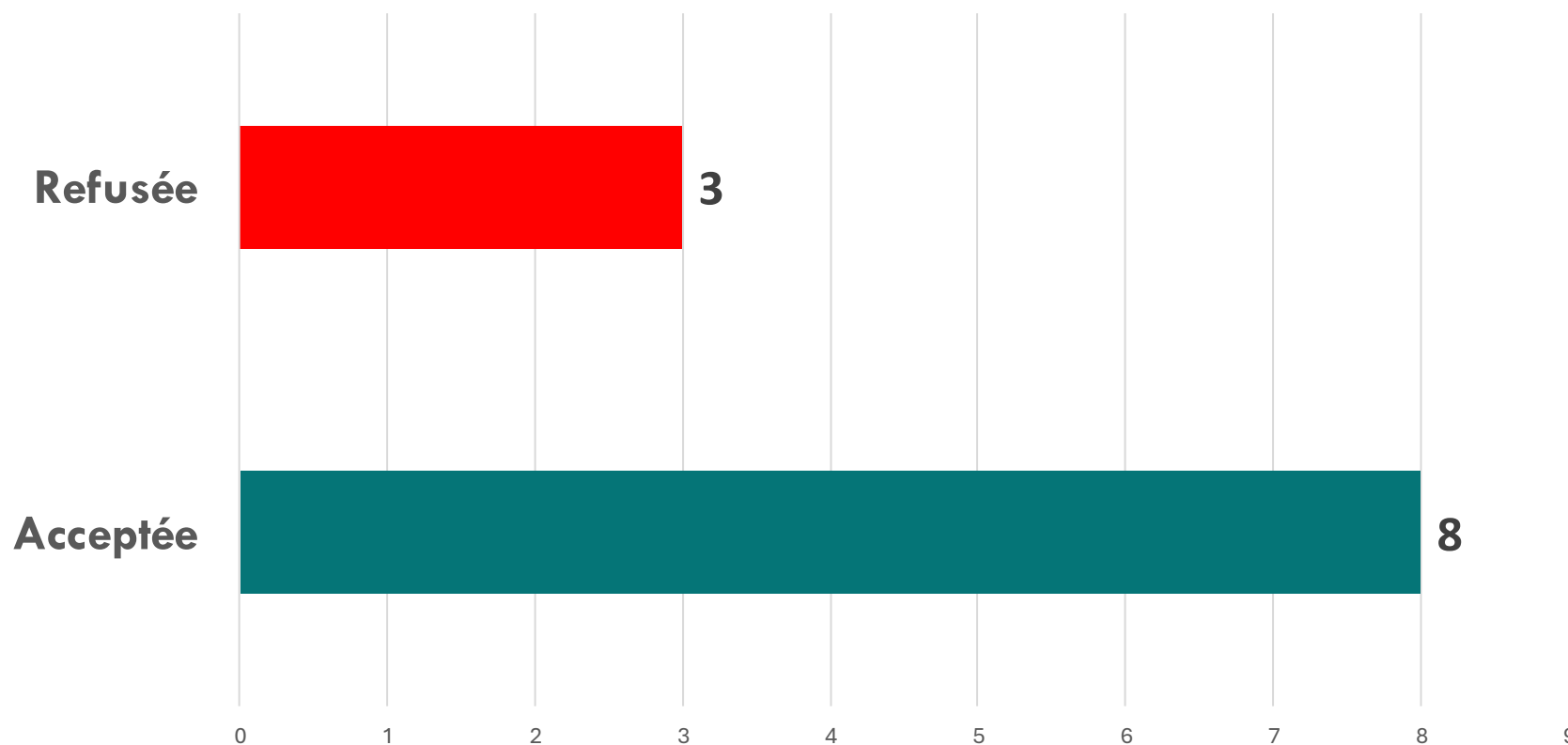




NEOVIDENCE

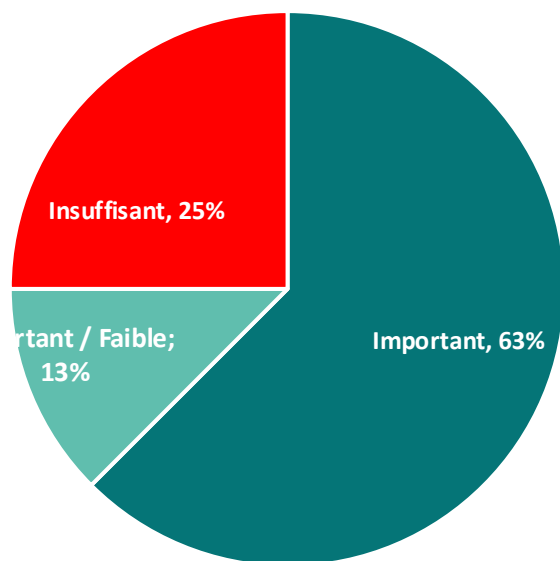
## Décisions d'Accès Précoce

Accès précoce des médicaments orphelins en 2025 :  
près d'une demande sur trois refusée par la HAS



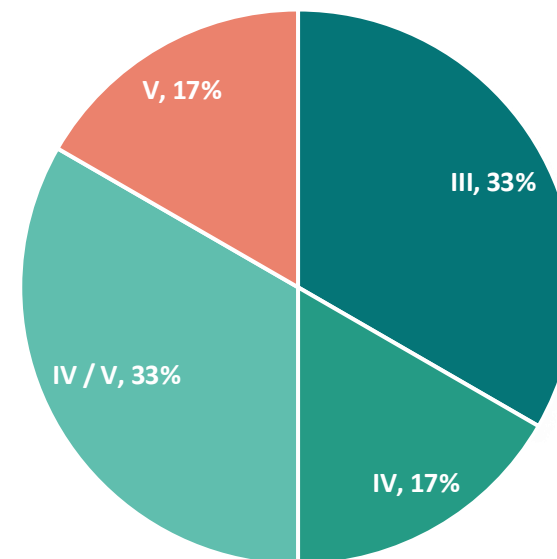
### 8 médicaments orphelins en 2025 avec demande d'accès précoce ont franchi l'étape du droit commun

SMR (N=8)



■ Important ■ Important / Faible ■ Modéré ■ Faible ■ Insuffisant

ASMR (N=6)



■ III ■ IV ■ IV / V ■ V



NEOVIDENCE

# Médicaments orphelins et Accès Précoce

Médicaments orphelins en oncologie en 2025 :  
recours systématique à l'accès  
précoce,  
avec un refus sur 6

| A                                          | B          | C                                  | E                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                 | F          | G                  | H            | I                           | J                       | K                              | L              |
|--------------------------------------------|------------|------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------|--------------------|--------------|-----------------------------|-------------------------|--------------------------------|----------------|
| DCI                                        | Spécialité | Laboratoire Titulaire (Exploitant) | Indication AMM                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    | Date d'AMM | AMM conditionnelle | AAP demandée | AP pre / post AMM (AP1/AP2) | Date de la demande d'AP | Date de la décision d'AP (HAS) | Décision d'AAP |
| Mirdametinib                               | EZMEKLY    | Deciphera (CEVIDRA)                | en monothérapie pour le traitement des neurofibromes plexiformes (NFF) symptomatiques inopérables chez les adultes et les enfants âgés de 2 ans et plus atteints de neurofibromatose de type 1 (NF1)                                                                                                                                                                                                                                                              | 17/07/2025 | Oui                | Oui          | AP2                         | 21/08/2025              | 26/11/2025                     | Acceptée       |
| Zanidatamab                                | ZIIHERA    | JAZZ PHARMACEUTICALS               | En monothérapie pour le traitement des patients adultes atteints d'un cancer des voies biliaires (CVB) HER2-positif (IHC3+) non résectable, localement avancé ou métastatique, précédemment traités par au moins une ligne antérieure de traitement systémique (pour la sélection des patients sur la base de biomarqueurs, voir rubrique 4.2 du RCP).                                                                                                            | 27/06/2025 | Oui                | Oui          | AP1                         | 25/07/2024              | 20/11/2024                     | Acceptée       |
| Nirogacestat                               | OGSIVEO    | Merck Europe B.V. (CEVIDRA)        | OGSIVEO en monothérapie est indiqué dans le traitement des patients adultes qui présentent des tumeurs desmoldes progressives et nécessitent un traitement systémique.                                                                                                                                                                                                                                                                                            | 14/08/2025 | Non                | Oui          | AP1                         | 30/08/2024              | 19/12/2024                     | Acceptée       |
| Vimseletinib                               | ROMVIMZA   | Deciphera (PHARMA BLUE)            | Traitement des patients adultes atteints d'une tumeur ténosynoviale à cellules géantes (TGCT, tenosynovial giant cell tumour) symptomatique associée à une détérioration cliniquement significative de la fonction physique et pour lesquels les options chirurgicales ont été épuisées ou induiraient une morbidité ou un handicap inacceptable                                                                                                                  | 17/09/2025 | Non                | Oui          | AP2                         | 17/10/2025              | 08/01/2026                     | Acceptée       |
| Vorasidenib                                | VORANIGO   | SERVIER                            | En monothérapie est indiqué pour le traitement de l'astrocytome ou de l'oligodendrogliome de grade 2 ne prenant majoritairement pas le contraste, avec une mutation IDH1 R132 ou IDH2 R172 chez les patients adultes et adolescents âgés de 12 ans et plus et ayant un poids corporel d'au moins 40 kg, ayant uniquement eu une intervention chirurgicale et ne nécessitant pas de radiothérapie ou de chimiothérapie dans l'immédiat (voir rubrique 5.1 du RCP). | 17/09/2025 | Non                | Oui          | AP2                         | 29/09/2025              | 15/01/2026                     | Acceptée       |
| Dorocubicel + cellules CD34+ non expansées | ZEMCELPRO  | CORDEX BIOLOGICS INTERNATIONAL LTD | Traitement des patients adultes atteints d'hémopathies malignes nécessitant une greffe de cellules souches hématopoïétiques allogéniques après un conditionnement myéloblatif et pour lesquels aucun autre type de cellules de donneur appropriées n'est disponible.                                                                                                                                                                                              | 25/08/2025 | Oui                | Oui          | AP2                         | 24/09/2025              | 08/01/2026                     | Refusée        |

Sources : Rapport d'activité de l'EMA : *Human Medicines in 2025* et site de la HAS

## Médicaments orphelins hors oncologie en 2025 : 2 refus sur 5 demandes

| DCI                   | Spécialité | Laboratoire Titulaire (Exploitant)            | Aire thérapeutique                          | Indication AMM                                                                                                                                                                                                      | Date d'AMM | AMM conditionnelle | AAP demandée | AP pre / post AMM (AP1/AP2) | Date de la demande d'AP | Date de la décision d'AP (HAS) | Décision d'AAP |
|-----------------------|------------|-----------------------------------------------|---------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------|--------------------|--------------|-----------------------------|-------------------------|--------------------------------|----------------|
| Beremagene geperpavec | VYJUVEK    | KRISTAL BIOTECH NETHERLANDS B.V (PHARMA BLUE) | Dermatologie                                | Traitement des plaies chez les patients atteints d'épidermolyse bulleuse dystrophique (EBD) présentant une ou plusieurs mutations du gène de la chaîne alpha 1 du collagène de type VII (COL7A1), dès la naissance. | 23/04/2025 | Non                | Oui          | AP1                         | 29/05/2024              | 12/09/2024                     | Acceptée       |
|                       |            |                                               |                                             |                                                                                                                                                                                                                     |            |                    | Oui          | AP2                         | 23/05/2025              | 02/10/2025                     | Acceptée       |
| Sebetralstat          | EKTERLY    | Kalvista Pharmaceuticals (PHARMA BLUE)        | Immunology / Rheumatology / Transplantation | Traitement symptomatique des crises aiguës d'angioedème héréditaire (AOH) chez les adultes et les adolescents âgés de 12 ans et plus.                                                                               | 17/09/2025 | Non                | Oui          | AP2                         | 21/10/2025              | 12/02/2026                     | Refusée        |
| Sepiapterin           | SEPHIENCE  | PTC THERAPEUTICS France                       | Métabolisme                                 | Traitement de l'hyperphénylalaninémie (HPA) chez les patients adultes et pédiatriques atteints de phénylcétonurie (PCU).                                                                                            | 19/06/2025 | Non                | Oui          | AP2                         | 23/01/2026              | 16/04/2026                     | Acceptée       |
| Givinostat            | DUVYZAT    | Italfarmaco (EFFIK SA)                        | Neurologie                                  | Traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) chez les patients ambulants, âgés de 6 ans et plus, recevant un traitement concomitant par corticostéroïdes                                                | 06/06/2025 | Oui                | Oui          | AP2                         | 25/07/2025              | 04/12/2025                     | Refusée        |



NEOVIDENCE

## Médicaments orphelins en 2025 n'ayant pas sollicité d'autorisation d'accès précoce

| DCI                                         | Spécialité | Laboratoire Titulaire<br>(Exploitant) | Aire thérapeutique                                | Indication AMM                                                                                                                                                                                                                                                                                                | Date d'AMM | AMM<br>conditionnelle                            |
|---------------------------------------------|------------|---------------------------------------|---------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------|--------------------------------------------------|
| Rizabrutinib                                | WAYRILZ    | Sanofi B.V.                           | Hématologie                                       | Thrombopénie immunologique (TPI) chez les patients adultes réfractaires aux autres traitements (voir rubrique 5.1 du RCP)                                                                                                                                                                                     | 22/12/2025 | Non                                              |
| Etuvetidigene autotemcel                    | WASKYRA    | Fondazione Telethon<br>ETS            | Immunology /<br>Rheumatology /<br>Transplantation | Traitement du syndrome de Wiskott-Aldrich (WAS) chez des patients âgés de 6 mois et plus atteints qui présentent une mutation du gène WAS, éligibles à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH), mais pour lesquels aucun donneur apparenté HLA (antigène leucocytaire humain) n'est disponible. | 09/01/2026 | Non                                              |
| Levacetylleucine                            | AQNEURSA   | Intrabio Ireland Limited              | Métabolisme                                       | Chez les adultes et les enfants âgés de 6 ans et plus et pesant au moins 20, traitement des manifestations neurologiques de la maladie de Niemann-Pick de type C (NPC), en association avec le miglustat, ou en monothérapie chez les patients chez lesquels le miglustat n'est pas toléré.                   | 19/01/2026 | Non                                              |
| Acides aminés                               | MAAPLIV    | Recordati Rare Diseases               | Métabolisme                                       | Traitement de la maladie des urines à l'odeur de sirop d'érable (MSUD) se manifestant par un épisode de décompensation aiguë chez les patients à partir de la naissance chez qui une formulation orale et entérale sans acides aminés à chaîne ramifiée (AACR) ne peut être utilisée.                         | 28/07/2025 | Non (AMM sous<br>circonstance<br>exceptionnelle) |
| Olezarsen                                   | TRYNGOLZA  | SOBI                                  | Métabolisme                                       | Chez les patients adultes en complément d'un régime alimentaire dans le traitement du syndrome d'hyperchylomicroémie familiale (SHCF) confirmé par analyse génétique                                                                                                                                          | 17/09/2025 | Non                                              |
| Deutivacaftor / tezacaftor /<br>vanzacaftor | ALYFTREK   | Vertex                                | Pneumologie                                       | Traitement des patients atteints de mucoviscidose âgés de 6 ans et plus porteurs d'au moins une mutation autre que de classe I du gène CFTR (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator) (voir rubriques 4.2 et 5.1 du RCP).                                                                         | 30/06/2025 | Non                                              |