

SYNTHÈSE D'AVIS DE LA COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

SUBCUVIA, immunoglobuline humaine

Pas d'avantage clinique démontré par rapport aux autres immunoglobulines administrées par voie sous-cutanée dans le traitement de substitution des syndromes de déficits immunitaires primitifs de l'enfant

L'essentiel

- ▶ Cette spécialité est indiquée chez l'enfant de moins de 12 ans dans le traitement de substitution des syndromes de déficits immunitaires primitifs tels que : agammaglobulinémie et hypogammaglobulinémie congénitales, déficit immunitaire commun variable, déficit immunitaire combiné sévère, déficits en sous-classes d'IgG avec infections récurrentes.
- ▶ Les études fournies suggèrent une bonne tolérance et une efficacité de SUBCUVIA, mais on ne dispose pas d'études de méthodologie rigoureuse.

Indications préexistantes

- La présente synthèse d'avis ne porte pas sur ces indications.
- Cette spécialité avait déjà la même indication chez l'adulte, ainsi que celle du traitement du myélome ou des leucémies lymphoïdes chroniques avec hypogammaglobulinémie secondaire sévère et infections à répétition.

Stratégie thérapeutique

- Le traitement par immunoglobulines (Ig) par voie IV concerne les patients atteints de déficits immunitaires primitifs avec défauts de production d'anticorps. L'intérêt de ce traitement substitutif du déficit humoral est établi.
- Chez l'enfant, le traitement par les Ig par voie IV (IgIV) concerne tous les types de déficits immunitaires génétiques responsables d'un déficit en IgG et/ou d'un défaut de production d'anticorps. Il peut aussi être recommandé dans les déficits immunitaires primitifs d'une ou plusieurs sous-classes d'IgG, associés ou non à un déficit en IgA, en cas d'infections répétées. En revanche, le déficit isolé en IgA n'est pas une indication des IgIV.
- Le traitement par les IgIV diminue la fréquence des épisodes infectieux, la consommation d'antibiotiques, l'absentéisme scolaire et professionnel. Les IgIV préviennent les infections chroniques sinusiennes et bronchiques.
- Le traitement doit assurer un taux d'IgG résiduel (c'est-à-dire juste avant l'injection suivante d'IgIV) d'au moins 5 g/l et approchant 8 g/l. Après le début du traitement par IgIV, l'équilibre est atteint en 3 à 6 mois.
L'administration par voie sous-cutanée peut être substituée à la voie IV.
- **Place de la spécialité dans la stratégie thérapeutique**
SUBCUVIA peut être utilisé chez les patients pour lesquels la voie intraveineuse est impossible ou très difficile ou chez qui l'injection d'immunoglobulines par voie IV est mal tolérée, mais aussi chez les patients pouvant bénéficier d'un traitement à domicile.
L'administration par voie SC permet un traitement plus facile.
La teneur en IgA (4,8 mg/ml) permet une administration, sous surveillance rapprochée, chez les patients ayant un déficit en IgA.

Données cliniques

- La méthodologie des études fournies, toutes de nature exploratoire, limite la validité de leurs résultats. Une étude comparative chez l'enfant *versus* l'administration d'immunoglobulines par voie IV ou *versus* une autre immunoglobuline administrée par voie SC aurait permis d'apprécier un éventuel bénéfice de SUBCUVIA.
- Les effets indésirables les plus fréquemment rapportés ont été des troubles généraux (frissons, malaises), des anomalies au site d'administration (gonflement, douleur locale), des affections de la peau et du tissu sous-cutané (urticaire, prurit), des affections gastro-intestinales (nausées) et des affections du système nerveux (céphalées).

Intérêt du médicament

- Le service médical rendu* par SUBCUVIA est important.
- SUBCUVIA n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu** (ASMR V) par rapport aux autres immunoglobulines administrées par voie sous-cutanée dans le traitement de substitution chez les enfants atteints de syndromes de déficits immunitaires primitifs. Il s'agit d'un moyen thérapeutique supplémentaire.
- Avis favorable à la prise en charge à l'hôpital.

* Le service médical rendu par un médicament (SMR) correspond à son intérêt en fonction notamment de ses performances cliniques et de la gravité de la maladie traitée. La Commission de la transparence de la HAS évalue le SMR, qui peut être important, modéré, faible, ou insuffisant pour que le médicament soit pris en charge par la solidarité nationale.

** L'amélioration du service médical rendu (ASMR) correspond au progrès thérapeutique apporté par un médicament par rapport aux traitements existants. La Commission de la transparence de la HAS évalue le niveau d'ASMR, cotée de I, majeure, à IV, mineure. Une ASMR de niveau V (équivalent de « pas d'ASMR ») signifie « absence de progrès thérapeutique ».

