

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

SYNTHÈSE D'AVIS

2 OCTOBRE 2019

emicizumab

HEMLIBRA 30 mg/ml, solution injectable

HEMLIBRA 150 mg/ml, solution injectable

Nouvelle indication

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement en prophylaxie pour prévenir les épisodes hémorragiques chez les patients atteints d'hémophilie A sévère (déficit congénital en facteur VIII, FVIII < 1%) sans inhibiteur anti-facteur VIII. HEMLIBRA peut être utilisé dans toutes les tranches d'âge.

► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique mais de faible ampleur dans la prise en charge de l'hémophilie A

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

Le traitement de 1^{ère} intention de l'hémophilie A est substitutif et repose sur l'administration de concentrés de facteur VIII de coagulation. Ils peuvent être administrés :

- en curatif (traitement « à la demande ») lors de la survenue d'un accident hémorragique non contrôlable par les moyens hémostatiques locaux ou ne relevant pas d'un traitement par l'acide tranexamique,

- en prévention des saignements : en prophylaxie primaire chez les enfants hémophiles sévères avant l'âge de deux ans et avant la survenue de la deuxième hémarthrose, en prophylaxie secondaire (à long terme ou périodique) après la survenue de la deuxième hémarthrose, ou en cas de chirurgie ou d'actes invasifs (selon la sévérité et le risque hémorragique attendu).

La prophylaxie au long cours est le traitement de référence chez l'enfant hémophile sévère. Il n'existe pas de consensus sur la place de la prophylaxie chez l'adulte.

Place d'HEMLIBRA dans la stratégie thérapeutique

L'emicizumab (HEMLIBRA) est un traitement de 1^{ère} intention chez les patients atteints d'hémophilie A congénitale sévère sans inhibiteur ayant l'indication d'une prophylaxie. Il représente une alternative aux concentrés de FVIII.

Ce document a été élaboré à partir de l'avis de la Commission de la transparence disponible sur www.has-sante.fr