



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

SYNTHÈSE D'AVIS

8 JANVIER 2020

blinatumomab

BLINCYTO 38,5 microgrammes, poudre pour solution à diluer et solution pour solution pour perfusion

Nouvelle indication

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement en monothérapie dans le traitement des enfants à partir de l'âge de 1 an, ayant une leucémie aiguë lymphoblastique (LAL) à précurseurs B exprimant le CD19 avec chromosome Philadelphie négatif, réfractaire ou en rechute après au moins deux traitements antérieurs ou en rechute après une allogreffe de cellules souches hématopoïétiques antérieure.

► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique mais de faible ampleur par rapport à la prise en charge historique.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

En situation de deuxième rechute ou de maladie réfractaire d'une LAL B à chromosome Ph -, les traitements sont peu standardisés ; l'allogreffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) est recommandée si elle n'a pas été reçue après la 1^{ère} rechute et qu'une rémission complète peut être obtenue. Des soins de support à visée palliative peuvent être proposés. Une deuxième greffe est parfois envisagée.

Le CAR-T anti-CD 19 tisagenlecleucel (KYMRIAH), a récemment obtenu une AMM dans le traitement des enfants et jeunes adultes jusqu'à 25 ans atteints de leucémie aigüe lymphoblastique (LAL) à cellules B réfractaire, en rechute après greffe ou après la deuxième rechute ou plus, et est recommandé par la Commission comme un traitement de 1ère intention chez les enfants et jeunes adultes jusqu'à 25 ans atteints de LAL B réfractaire, en rechute après greffe ou à partir de la 2ème rechute, tout en soulignant les incertitudes qui persistent sur l'efficacité et la sécurité de KYMRIAH et la complexité du processus de traitement.

Place du médicament

BLINCYTO (blinatumomab) représente une alternative aux traitements de rattrapage par chimiothérapie dans le traitement de la LAL à précurseurs B exprimant le CD19 avec chromosome Philadelphie négatif, réfractaire ou en rechute après au moins deux traitements antérieurs ou en rechute après une allogreffe de CSH antérieure chez les enfants à partir de l'âge de 1 an.

La Commission souligne que BLINCYTO peut être administré au domicile des patients dans le cadre d'une activité d'hospitalisation à domicile (HAD), contrairement aux traitements de rattrapage par chimiothérapie, qui nécessitent des hospitalisations en raison notamment du risque de complications infectieuses liées à l'hémo-toxicité des chimiothérapies.

En l'absence de donnée comparative par rapport à KYMRIAH (tisagenlecleucel), la place de BLINCYTO par rapport à KYMRIAH n'est pas connue. Néanmoins, chez les patients ayant un état général et une espérance de vie compatibles avec l'administration d'un traitement par CAR-T, la Commission considère que KYMRIAH devrait être privilégiée. La Commission rappelle que l'efficacité et la tolérance de KYMRIAH chez les patients prétraités par BLINCYTO n'est pas établie (cf. avis de la Commission pour KYMRIAH du 12 décembre 2018). Par ailleurs, KYMRIAH n'est pas recommandé si le patient a rechuté avec une leucémie CD19-négative après un traitement antérieur par une thérapie anti-CD19.

Enfin, comme chez l'adulte, en l'état actuel des données, la place de BLINCYTO par rapport à l'allogreffe de CSH, soit comme un « pont » vers l'allogreffe ou l'allogreffe différée, soit en substitution à l'allogreffe, notamment chez les patients non éligibles, n'est pas connue.

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