



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

SYNTHÈSE D'AVIS

5 FEVRIER 2020

romiplostim
NPLATE 125 microgrammes, poudre pour solution injectable

Première évaluation

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement chez les enfants âgés de un an et plus présentant un purpura thrombopénique auto-immun (PTI) (idiopathique) chronique, réfractaire aux autres traitements (par exemple corticoïdes, immunoglobulines).

► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique mais de faible ampleur dans la prise en charge du PTI chronique de l'enfant âgé de un an et plus, réfractaire aux traitements de première ligne (corticoïdes, immunoglobulines) et en échec d'un des traitements de deuxième ligne (immunosuppresseur, rituximab)

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

Le PTI nécessite une prise en charge spécialisée en collaboration avec le médecin traitant.

En l'absence de signes cliniques ou hématologiques de sévérité du PTI et de retentissement sur la qualité de vie, l'abstention thérapeutique ou le traitement par corticoïdes/IgIV (à la demande ou programmé) peuvent être proposés.

Selon avis d'expert, une utilisation ponctuelle des agonistes du R-TPO (romiplostim et eltrombopag) peut être envisagée dans la prise en charge d'une thrombopénie marquée réfractaire aux traitements de première ligne, à l'occasion d'un syndrome hémorragique sévère, dans le cadre de la préparation à une intervention chirurgicale ou dans l'attente de l'effet d'un traitement de deuxième ligne déjà instauré.

En dehors de ces utilisations ponctuelles, compte tenu de l'effet essentiellement suspensif et des incertitudes sur les données de tolérance à long terme de ces produits, les agonistes du R-TPO (romiplostim et eltrombopag), pourront être envisagés dans la prise en charge du PTI chronique, réfractaire aux médicaments de première ligne (corticoïdes, immunoglobulines), après échec d'un des traitements de deuxième ligne (immunosuppresseur, rituximab).

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