



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

## COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHÈSE D'AVIS 4 MARS 2020

*trientine dichlorhydrate*<sup>1</sup>  
CUFENCE 200 mg, gélule

Première évaluation

### ► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement de la maladie de Wilson chez les adultes, les adolescents et les enfants âgés de 5 ans et plus qui ne tolèrent pas le traitement par la D-pénicillamine.

### ► Quel progrès ?

Pas de progrès dans la prise en charge de la maladie de Wilson

### ► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

En l'absence de traitement, la maladie de Wilson est mortelle. Le pronostic dépend de la sévérité des atteintes hépatiques et neurologiques. Le traitement de la maladie de Wilson comporte un régime pauvre en certains aliments riches en cuivre (chocolat, noisettes, coquillages, champignons, foie), l'acétate ou le sulfate de zinc qui réduisent l'absorption intestinale de cuivre et surtout, et principalement, la D-pénicillamine ou la trientine qui sont des agents chélateurs du cuivre. L'objectif du traitement est de maintenir le taux de cuivre libre sérique dans des limites acceptables. Les sels de zinc et/ou la D-pénicillamine sont recommandés en 1<sup>ère</sup> intention alors que la trientine est recommandée en 2<sup>ème</sup> intention. Plusieurs effets indésirables de la D-pénicillamine peuvent entraîner

<sup>1</sup> Chaque gélule contient 300 mg de dichlorhydrate de trientine équivalent à 200 mg de trientine.  
HAS - Direction de l'Évaluation Médicale, Économique et de Santé Publique  
Synthèse d'Avis

l'arrêt du traitement. Il s'agit de troubles cutanéomuqueux (précoces : éruption, prurit ; tardifs : gingivite, stomatite, lésion aphtoïde, toxidermie, pemphigus), rénaux (protéinurie), respiratoires (pneumopathie interstitielle et bronchiolite oblitérante), hématologiques (thrombopénie, agranulocytose et aplasie médullaire) et auto-immuns (myasthénie, polymyosite, lupus induit). Dans ce cas, les patients sont traités par trientine.

#### **Place du médicament**

CUFENCE (trientine dichlorhydrate) est un médicament de 2<sup>ème</sup> intention chez les patients intolérants à la D-pénicillamine.

### **► Recommandations particulières**

La Commission recommande que la prescription initiale de CUFENCE- trientine dichlorhydrate (et de CUPRIOR- autre spécialité à base de trientine) et les modifications du traitement soient effectuées par un centre spécialisé dans la prise en charge des patients atteints de maladie de Wilson afin de garantir un suivi clinique et biologique optimal et d'inclure tous ces patients au sein du registre national de la maladie de Wilson.

*Ce document a été élaboré à partir de l'avis de la Commission de la transparence disponible sur [www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr)*