HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE
SYNTHESE D'AVIS
22 JUIILLET 2020

tréosulfan

TRECONDI 1 g et 5 g, poudre pour solution pour perfusion

Première évaluation

L'essentiel

Avis favorable au remboursement en association avec la fludarabine, comme traitement de conditionnement préalable à une greffe allogénique de cellules souches hématopoïétiques (CSH) chez les patients adultes et chez les enfants âgés de plus d'1 mois et les adolescents atteints de pathologies malignes.

Avis défavorable au remboursement en association avec la fludarabine, comme traitement de conditionnement préalable à une greffe allogénique de CSH chez les patients adultes atteints de pathologies non malignes.

Quel progrès ?

Chez les patients adultes atteints de pathologies malignes : Pas de progrès par rapport au busulfan, en association à la fludarabine, comme traitement de conditionnement préalable à une greffe allogénique de CSH.

Chez les patients pédiatriques âgés de plus de 1 mois atteints de pathologies malignes : Pas de progrès dans la stratégie thérapeutique, comme traitement de conditionnement préalable à une greffe allogénique de CSH.

◗ Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

Le choix du protocole de conditionnement de la greffe allogénique de cellules souches hématopoïétiques (CSH) dépend de nombreux critères, notamment l'état général, l'âge du patient, les co-morbidités et le type d'hémopathies.
Deux types de conditionnements existent selon leur intensité.
Le conditionnement myéloablatif, réservé aux patients avec bon état général, fait appel à divers protocoles de chimiothérapie pouvant comporter des agents alkylants ou antimétabolites (cyclophosphamide, busulfan, melphalan, thiotépa, cytarabine), et pouvant être associé à une irradiation corporelle totale (en cas d'hémopathie maligne notamment). Les protocoles utilisés sont, notamment :

- irradiation corporelle totale (ICT) + cyclophosphamide ;
- ICT + cytarabine +/- melphalan ;
- busulfan + cyclophosphamide,…

Le conditionnement à intensité réduite est préféré chez les patients adultes âgés, porteurs de comorbidités ou avec un état général altéré dans la mesure où les conditionnements myéloablatifs s'avèrent plus toxiques. Il repose sur l'utilisation d'immunosuppresseurs puissants et notamment de la fludarabine avec une association variable avec d'autres immunosuppresseurs (sérum anti-lymphocytaire, mycophénolate mofétil), et de faibles doses de chimiothérapie (cyclophosphamide, busulfan, aracytine) ou de faibles doses d'ICT.

Place du médicament

Chez les patients adultes et les adolescents et enfants âgés de plus d'un mois atteints de pathologies malignes : TRECONDI (tréosulfan) en association à la fludarabine constitue une nouvelle option thérapeutique, comme protocole de conditionnement à intensité réduite préalable à une allogreffe de CSH. A noter que chez l'adulte, une étude a démontré la non-infériorité de l'association tréosulfan-fludarabine versus busulfan-fludarabine en termes de taux de survie sans évènement à 2 ans (critère de jugement principal). Chez l'enfant, aucune donnée comparative à un autre protocole de conditionnement n'était disponible.

Chez les patients adultes atteints de pathologies non malignes : Faute de donnée, TRECONDI (tréosulfan) n'a pas de place dans la stratégie thérapeutique dans cette population.

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