



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

SYNTHÈSE D'AVIS

24 JUIN 2020

giltéritinib
XOSPATA 40 mg, comprimé pelliculé

Première évaluation

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement des adultes atteints d'une leucémie aigüe myéloïde (LAM) en rechute ou réfractaire avec une mutation du gène FLT3.

► Quel progrès ?

Un progrès dans la stratégie thérapeutique.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

Selon les recommandations, la prise en charge thérapeutique des patients atteints de LAM a pour objectifs d'une part l'obtention d'une rémission complète permettant la récupération de fonction de la moelle osseuse et d'autre part à limiter le risque et le délai de la rechute généralement associé à un mauvais pronostic. La nature des traitements est fondée sur l'éligibilité à une chimiothérapie intensive, et à une greffe allogénique de cellules souches hématopoïétiques (CSH). La prise en charge est ainsi déterminée par la mise en balance des objectifs et des risques encourus dépendant des caractéristiques du patient (état général, âge, comorbidités), de la maladie (groupe de risque génétique, ligne de traitement) et de la disponibilité d'un donneur de CSH.

Chez les patients ayant une LAM en rechute ou réfractaires (à partir de la 2ème ligne de traitement), la stratégie thérapeutique dépend du délai de rechute et des caractéristiques relatives au patient, la

maladie et la possibilité de réaliser une greffe allogénique de CSH. Les options reposent sur une chimiothérapie intensive de rattrapage par la cytarabine associée à une anthracycline chez les patients éligibles à une chimiothérapie intensive, ou par l'azacitidine (VIDAZA), la cytarabine faible dose ou les soins de support pour les patients non éligibles à une chimiothérapie intensive. En cas de rémission complète, une allogreffe de CSH peut être envisagée.

Place du médicament

Compte tenu de la supériorité démontrée sur la durée de survie globale d'une stratégie thérapeutique comprenant XOSPATA (giltéritinib), en monothérapie par voie orale, par rapport à une stratégie thérapeutique basée sur la chimiothérapie de rattrapage, XOSPATA (giltéritinib) est un traitement de première intention à utiliser chez les patients atteints d'une LAM en rechute ou réfractaires avec une mutation FLT3.

La Commission souligne toutefois que l'on ne dispose pas de données chez les patients en 3^{ème} ligne et plus et que les données sont limitées chez les patients avec une mutation FLT3-TKD, chez les patients avec un score ECOG > 1 et chez les patients traités en 1^{ère} ligne par un inhibiteur de FLT3. De plus, il n'est pas possible d'évaluer l'utilité propre du traitement d'entretien post-greffe par XOSPATA (giltéritinib).

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