HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE
SYNTHESE D'AVIS
16 SEPTEMBRE 2020

eculizumab
SOLIRIS 300 mg, solution à diluer pour perfusion

Nouvelle indication

L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement de la maladie du spectre de la neuromyélite optique chez les patients adultes ayant des anticorps anti-aquaporine 4 atteints de la forme récurrente de la maladie (2 crises au cours de la dernière année ou 3 crises au cours des deux dernières années dont une au cours de l'année précédente), et étant en échec des traitements de fond immunosuppresseurs (rituximab, azathioprine, mycophénolate mofétil).

Avis défavorable au remboursement dans les autres situations cliniques.

Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge de la maladie.

Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

La prise en charge de la neuromyélite optique (NMOSD) repose actuellement sur des études ouvertes, avis d'experts et expérience du clinicien. Les traitements de fond utilisés en pratique (hors AMM) sont les traitements immunosuppresseurs, notamment le rituximab, l'azathioprine et le mycophénolate mofétil. A ce jour, SOLIRIS (eculizumab) est le seul traitement de la NMOSD ayant une AMM.

Place du médicament

Compte tenu de la supériorité de l'eculizumab démontrée dans une étude en double aveugle versus placebo chez une majorité de patients recevant un traitement immunosuppresseur et en l'absence de données comparatives versus les traitements immunosuppresseurs utilisés en pratique (hors AMM), SOLIRIS (eculizumab) est un traitement de fond de la maladie du spectre de la neuromyélite optique chez les patients adultes ayant des anticorps anti-aquaporine 4 atteints de la forme récurrente de la maladie (2 crises au cours de la dernière année ou 3 crises au cours des deux dernières années dont une au cours de l'année précédente) et en échec des traitements de fond immunosuppresseurs (rituximab, azathioprine, mycophénolate mofétil).

Recommandations particulières

La Commission recommande que la prise en charge de SOLIRIS (eculizumab) soit faite dans un centre de ressources et de compétences de la sclérose en plaques ou dans un centre du réseau MIRCEM (maladies inflammatoires rares du cerveau et de la moelle), avec une prescription restreinte aux neurologues dans le cadre d'une RCP pluridisciplinaire, justifiée au regard du risque d'utilisation de SOLIRIS (eculizumab) au-delà du périmètre de remboursement défini par la Commission sur la base des données disponibles d'efficacité et de tolérance, notamment une utilisation en 1ère intention ou chez des patients n'ayant pas d'anticorps anti-AQP4 (hors AMM).

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