



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

SYNTHESE D'AVIS

16 DECEMBRE 2020

catridécacog
NOVOTHIRTEEN, 2 500 UI poudre et solvant pour solution injectable
Première évaluation

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement prophylactique à long terme des hémorragies chez les patients présentant un déficit congénital en facteur XIII-A.

► Quel progrès ?

Pas de progrès par rapport au concentré de facteur XIII d'origine plasmatique FIBROGAMMIN.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

La prise en charge thérapeutique repose sur le plasma frais congelé et le concentré de FXIII dérivé du plasma FIBROGAMMIN.

Les épisodes hémorragiques peuvent être traités par un concentré du facteur XIII ou à défaut par du plasma frais congelé.

Un traitement prophylactique substitutif par concentré de facteur XIII est généralement mis en place chez l'ensemble des patients diagnostiqués, le plus souvent dès la 1^{ère} hémorragie inaugurale, pour prévenir les hémorragies les plus fréquentes et les plus graves, en particulier les hémorragies intracrâniennes qui peuvent survenir spontanément dès l'enfance. En l'absence de prophylaxie pendant la grossesse, le risque de fausse couche spontanée est très élevé.

En pratique, l'usage du plasma frais congelé (PFC) est limité, et très rarement utilisé en prophylaxie, au long cours du fait de la très longue durée des injections et du risque de surcharge volémique et de

réactions allergiques (grand nombre de substances en plus du facteur XIII). Les avantages de FIBROGAMMIN par rapport au PFC sont la concentration en FXIII (62,5 UI/mL versus 1 UI/ml dans le PFC) permettant d'administrer des volumes plus réduits, le haut degré de sécurisation virale apportée par la pasteurisation et la bonne tolérance du concentré.

Place du médicament

NOVOTHIRTEEN (catridécacog) est une alternative au seul concentré de FXIII actuellement disponible, FIBROGAMMIN, pour le traitement prophylactique à long terme des hémorragies chez les patients ayant un déficit congénital en facteur XIII-A. Tous deux s'administrent une fois par mois.

NOVOTHIRTEEN (catridécacog) est le premier concentré de FXIII recombinant et a ainsi l'avantage d'un plus haut degré de sécurisation en comparaison aux produits dérivés du sang, tel que FIBROGAMMIN, qui exposent au risque potentiel de transmission de maladies infectieuses.

Ce FXIII recombinant est par ailleurs nettement plus concentré que le FXIII plasmatique (FIBROGAMMIN) disponible (833 UI/ml contre 62,5 UI/ml après reconstitution), ce qui permet l'injection d'un volume plus réduit et une administration en bolus. Néanmoins, compte tenu de cette concentration élevée, pour les jeunes enfants de moins de 24 kg il est nécessaire de diluer la solution après reconstitution afin de permettre le prélèvement de la dose nécessaire, et par conséquent d'utiliser une autre formule de calcul du volume à prélever que celle utilisée chez les patients d'un poids plus élevé.

Il convient de souligner que NOVOTHIRTEEN (catridécacog) est uniquement destiné à la prise en charge des patients atteints d'un déficit en sous-unité A du FXIII, contrairement au FIBROGAMMIN qui est également indiqué chez les patients ayant un déficit en sous-unité B. Bien que le déficit en sous-unité A soit largement prédominant (environ 95% des cas), l'utilisation du catridécacog implique d'avoir au préalable identifié le type de sous-unité manquant afin de s'assurer que ce concentré soit approprié. Cette identification n'est à l'heure actuelle pas systématique dans l'ensemble des centres prenant en charge ces patients.

La Commission rappelle qu'en accord avec le RCP les données sont très limitées chez la femme enceinte. Par conséquent, elle considère que l'utilisation de NOVOTHIRTEEN (catridécacog) ne doit être envisagée que si elle est dûment justifiée et après une discussion pluridisciplinaire.

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