

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

SYNTHÈSE D'AVIS

16 DECEMBRE 2020

fostamatinib
TAVLESSE 100 mg et 150 mg, comprimés pelliculés

Première évaluation

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement de la thrombocytopénie immunitaire (PTI) chronique chez les patients adultes réfractaires aux autres traitements.

► Quel progrès ?

Pas de progrès dans la prise en charge du PTI chronique, en l'état actuel des données.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

Le PTI chronique nécessite une prise en charge spécialisée en collaboration avec le médecin traitant.

En l'absence de signes cliniques ou hématologiques de sévérité du PTI et de retentissement sur la qualité de vie (asthénie, retentissement scolaire...), l'abstention thérapeutique ou le traitement par corticoïdes/Ig IV (à la demande ou programmé) peuvent être proposés.

En cas de PTI chronique c'est à dire d'évolution supérieure à 12 mois, plusieurs médicaments de deuxième ligne peuvent être proposés chez l'adulte ; peu de ces traitements ont été évalués dans des études contrôlées randomisées. Seuls les agonistes du récepteur de la thrombopoïétine (romiplostim, eltrombopag) et l'azathioprine ont une indication dans le PTI validée par une AMM. Le rituximab dispose d'une RTU dans cette indication. Selon le PNDS (protocole national de diagnostic et de soins) de 2017, la splénectomie fait également partie des options thérapeutiques de 2^{ème} ligne en cas de PTI chronique. Malgré les risques accrus d'infections graves et de thromboses veineuses et/ou artérielles chez l'adulte, la splénectomie est le seul traitement dont le caractère curatif est actuellement établi. Sa place dans la séquence hiérarchique des traitements de

deuxième ligne n'est pas consensuelle et peut intervenir avant ou après rituximab et/ou agonistes du R-TPO.

En l'absence de stratégie thérapeutique consensuelle, le choix du traitement parmi les options disponibles doit rester personnalisé et discuté au cas par cas.

Conformément aux derniers avis de la Commission relatifs aux agonistes R-TPO ¹ (eltrombopag et romiplostim), une utilisation ponctuelle des agonistes du R-TPO peut être envisagée dans la prise en charge d'une thrombopénie marquée réfractaire aux traitements de première ligne, à l'occasion d'un syndrome hémorragique sévère, dans le cadre de la préparation à une intervention chirurgicale ou dans l'attente de l'effet d'un traitement de deuxième ligne déjà instauré (selon avis d'expert). En dehors de ces utilisations ponctuelles, compte tenu de l'effet essentiellement suspensif et des incertitudes sur les données de tolérance à long terme de ces médicaments, ils pourront être envisagés dans la prise en charge du PTI chronique réfractaire aux médicaments de première ligne (corticoïdes, immunoglobulines) et en échec d'un des traitements de deuxième ligne (immunosuppresseur, rituximab ou splénectomie) ou en alternative à ces traitements lorsqu'ils ne sont pas jugés appropriés.

Place du médicament :

En l'état actuel des données et prenant en compte le besoin médical identifié, la Commission considère que l'utilisation de TAVLESSE (fostamatinib) peut être envisagée uniquement comme traitement de dernier recours du PTI chronique multiréfractaire résistant aux traitements de 2^{ème} ligne (qui selon le PNDS de 2017 incluent la splénectomie, les ARTPO [switch inclus] et le rituximab). Chez les patients non splénectomisés multiréfractaires aux traitements médicamenteux, TAVLESSE peut être une option thérapeutique lorsque la splénectomie est jugée inappropriée par les centres de référence ou de compétence.

La Commission rappelle que la prescription de ce médicament est hospitalière et réservée à certains médecins spécialistes (PRS). De plus, le renouvellement de la prescription est limité à certains professionnels de santé.

Compte tenu des spécificités de la prise en charge de cette maladie rare, la Commission préconise que les décisions d'instauration et d'arrêt de traitement par fostamatinib soient prises après proposition documentée issue d'une réunion de concertation pluridisciplinaire au sein d'un centre de référence ou de compétence dans la prise en charge du PTI. Un suivi régulier des patients au sein de l'un de ces centres est indispensable pour s'assurer de l'efficacité du traitement et surveiller sa tolérance.

► Recommandations particulières

Compte tenu des spécificités de la prise en charge de cette maladie rare, la Commission préconise que les décisions d'instauration et d'arrêt de traitement par fostamatinib soient prises après proposition documentée issue d'une réunion de concertation pluridisciplinaire au sein d'un centre de référence ou de compétence dans la prise en charge du PTI. Un suivi régulier des patients au sein de l'un de ces centres est indispensable pour s'assurer de l'efficacité du traitement et surveiller sa tolérance.

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

¹ Avis de la Commission de la Transparence du 5 février 2020 REVOLADE 25 mg, 50 mg et 75 mg (modifications de RCP). Site HAS.