



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

SYNTHÈSE D'AVIS

10 MARS 2021

turoctocog alfa pégol
ESPEROCT 500 UI, 1 000 UI, 1 500 UI, 2 000 et 3 000 UI,
poudre et solvant pour solution injectable

Première évaluation

► L'essentiel

Avis défavorable au remboursement dans le traitement et la prophylaxie des épisodes hémorragiques chez les patients âgés de 12 ans et plus présentant une hémophilie A (déficit congénital en facteur VIII).

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

L'objectif de la prise en charge thérapeutique de l'hémophilie A est de contrôler précocement et/ou de prévenir les épisodes hémorragiques et leurs complications à court et long terme, et plus particulièrement l'arthropathie hémophilique.

Les patients peuvent être pris en charge selon deux modalités de traitement : un traitement à la demande des accidents hémorragiques, ou bien une prophylaxie de façon continue, intermittente et/ou avant une circonstance favorisant les hémorragies telle qu'une intervention chirurgicale.

La prophylaxie au long cours est le traitement de référence chez l'enfant hémophile sévère. Il n'existe pas de consensus sur la place de la prophylaxie chez l'adulte.

Jusqu'à récemment, le seul traitement de 1^{ère} intention de l'hémophilie A en l'absence d'inhibiteurs était substitutif et reposait sur l'administration intraveineuse de concentrés de facteur VIII de coagulation, recombinants ou d'origine plasmatique. Pour la prophylaxie au long cours des patients avec une hémophilie A sévère uniquement, on dispose désormais d'une alternative représentée par

l'emicizumab (HEMLIBRA), un anticorps monoclonal humanisé bispécifique qui imite la fonction coagulatrice du FVIII et qui s'administre par voie sous-cutanée.

Place du médicament

Considérant :

- la démonstration de l'efficacité d'ESPEROCT (turoctocog alfa pégol) dans le traitement et la prévention des saignements en cas d'hémophilie A sévère dans une étude non comparative,
- l'absence de donnée démontrant un bénéfice, notamment en termes d'efficacité et de qualité de vie, par rapport aux alternatives disponibles,
- l'état actuel des connaissances, qui ne permet pas d'exclure tout risque d'apparition d'effets cliniques délétères liés à une potentielle accumulation de PEG notamment dans les plexus choroïdes, au terme de nombreuses années de traitement, risque potentiel mentionné dans le PGR, dans un contexte où les alternatives disponibles ne présentent pas ce risque,
- et au regard des nombreuses alternatives thérapeutiques disponibles, aussi bien pour le traitement des saignements que pour la prophylaxie au long cours, qui contribuent à la couverture du besoin médical,

la Commission considère qu'ESPEROCT (turoctocog alfa pégol) n'a pas de place dans le traitement et la prophylaxie des épisodes hémorragiques chez les patients atteints d'hémophilie A à partir de 12 ans.

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