



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

SYNTHÈSE D'AVIS

17 FEVRIER 2021

midostaurine
RYDAPT 25 mg, capsule molle

Réévaluation

► L'essentiel

Avis favorable au maintien du remboursement dans le traitement des patients adultes ayant une mastocytose systémique agressive (MSA), une mastocytose systémique associée à une autre hémopathie maligne (MS-AHM), ou une leucémie à mastocytes (LM), en monothérapie.

► Quel progrès ?

Pas de progrès dans la prise en charge.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

La prise en charge de la mastocytose systémique agressive (MSA), de la mastocytose systémique associée à une autre hémopathie maligne (MS-AHM), ou de la leucémie à mastocytes (LM), est complexe, compte-tenu de l'hétérogénéité de la maladie et des besoins thérapeutiques différents selon les patients.

Des traitements spécifiques cytoréducteurs (hors AMM) comme l'interféron alpha, la cladribine, la rapamycine ou les inhibiteurs de tyrosine kinase, et des traitements symptomatiques notamment les antihistaminiques, les corticoïdes ou le cromoglycate de sodium sont utilisés en pratique clinique dans le but d'améliorer les symptômes et de prolonger la survie des patients.

Place du médicament

En dépit du faible niveau de preuve des données fournies et regrettant en particulier que les données du registre déjà existant CEREMAST n'aient pas été fournies, mais prenant en compte le besoin médical dans ces maladies rares, graves et hétérogènes dont la prise en charge est complexe, la Commission de la Transparence considère que RYDAPT (midostaurine) en monothérapie reste à l'heure actuelle un traitement de la mastocytose systémique agressive (MSA), associée ou non à une autre hémopathie maligne, ou de la leucémie à mastocytes (LM).

En l'absence de données comparatives d'efficacité versus les alternatives disponibles en particulier la cladribine (hors AMM) chez les patients éligibles à ce traitement (formes symptomatiques de MSA sans hémopathies associées), la place de RYDAPT (midostaurine) vis-à-vis de la cladribine n'est toujours pas connue.

La Commission sera attentive à l'évolution de la stratégie thérapeutique dans la prise en charge de la mastocytose systémique agressive, la mastocytose systémique associée à une autre hémopathie maligne et la leucémie à mastocytes. Toute évolution dans cette stratégie pourra conduire la Commission à réévaluer RYDAPT (midostaurine), dans cette indication.

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