

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHESE D'AVIS 21 AVRIL 2021

amikacine
ARIKAYCE LIPOSOMAL 590 mg, dispersion pour inhalation par nébuliseur

Première évaluation

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement des infections pulmonaires à mycobactéries non tuberculeuses (MNT) causées par le complexe *Mycobacterium avium* (MAC) chez l'adulte dont les options de traitement sont limitées et n'ayant pas de mucoviscidose.

► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

La prise en charge des infections pulmonaires à *Mycobacterium avium* (MAC) est bien codifiée dans les recommandations internationales et repose sur une association d'antibiotiques : la multithérapie antibiotique [MTA]. Celle-ci se compose de rifampicine ou de rifabutine, d'un macrolide (clarithromycine ou azithromycine) et de l'éthambutol poursuivie pendant 12 mois après la négativation des cultures. L'ajout de l'amikacine parentérale est envisagé dans les formes cavitaires ou sévères et pour les infections résistantes aux macrolides.

En cas d'échec (patients qui ne négativent pas leurs cultures après 6 mois consécutifs de traitement standard par une MTA), l'utilisation de l'amikacine liposomale par voie inhalée en association à une MTA, est recommandée.

Place du médicament

Considérant la démonstration de son efficacité microbiologique (négativation durable des cultures chez des patients lourdement prétraités), la Commission de la Transparence considère qu'ARIKAYCE LIPOSOMAL (amikacine) est un traitement de recours, en association à une MTA, en cas d'échec à une MTA orale seule (au moins 6 mois de traitement), chez des patients atteints d'infection pulmonaire à MAC sensible à l'amikacine, dont les options thérapeutiques sont limitées et n'ayant pas de mucoviscidose. Les patients atteints de mucoviscidose n'ont pas été inclus dans l'étude pivot.

► Recommandations particulières

La Commission souligne que ce traitement doit être instauré et surveillé par des médecins expérimentés dans la prise en charge de ces infections invalidantes et difficiles à traiter. Par ailleurs, les patients doivent être informés à la fois des bénéfices du traitement et des problématiques de tolérance à savoir : la mauvaise tolérance respiratoire (liée à l'aérosolisation), les risques à long terme, notamment les acouphènes pouvant nuire à la qualité de vie et l'ototoxicité pouvant être plus problématique et irréversible. Pour limiter ce risque, les doses cumulatives approximatives avec une probabilité accrue d'ototoxicité doivent être déterminées, particulièrement lorsqu'existe une atteinte de la fonction rénale.

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