COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHESE D'AVIS 24 MARS 2021

hydroxycarbamide
XROMI 100 mg/mL, solution buvable

Première évaluation

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans la prévention des complications vaso-occlusives de la drépanocytose chez les patients âgés de plus de 2 ans.

► Quel progrès ?

Pas de progrès par rapport à SIKLOS (hydroxycarbamide).

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

Les complications aiguës telles que notamment crises vaso-occlusives, syndromes thoraciques aigus, priapisme et accidents vasculaires cérébraux constituent des urgences thérapeutiques.

Les traitements de fond actuellement disponibles traitent l'anémie (transfusions sanguines) et permettent de diminuer les taux d'HbS (hydroxycarbamide et échanges transfusionnels). Ces traitements sont réservés à certains patients sur avis d'un médecin spécialisé dans la prise en charge de la drépanocytose. La greffe de cellules souches hématopoïétiques est la seule approche thérapeutique curatrice. Réservée aux formes graves, elle est généralement effectuée à partir d'un donneur HLA identique issu de la fratrie.

L'hydroxycarbamide est efficace pour réduire la fréquence et la sévérité des crises douloureuses chez l'enfant et l'adulte ainsi que les récurrences de syndrome thoracique aigu chez les adultes.

Place du médicament

Au même titre que SIKLOS comprimé pelliculé sécable (hydroxycarbamide), XROMI solution buvable (hydroxycarbamide) a une place dans la stratégie thérapeutique en tant que traitement préventif des complications vaso-occlusives de la drépanocytose chez les patients âgés de plus de 2 ans, telle que préconisée dans les recommandations en vigueur. Il convient de s'assurer de la bonne observance du traitement.

► Recommandations particulières

La présence de 2 seringues doseuses (une seringue rouge graduée de 3 mL et une seringue blanche graduée de 12 mL) pour mesurer avec précision la dose prescrite de la solution buvable nécessite une vigilance des professionnels de santé et des patients. Le professionnel de santé doit conseiller au patient ou au soignant la seringue à utiliser pour s'assurer que le volume correct est administré, ceci dans l'objectif de minimiser le risque d'erreur.

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