



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHESE D'AVIS 19 JANVIER 2022

velmanase alfa

LAMZEDE 10 mg, poudre pour solution pour perfusion

Réévaluation

► L'essentiel

Avis favorable au maintien du remboursement dans le traitement enzymatique substitutif des manifestations non neurologiques chez les patients atteints d'alpha-mannosidose légère à modérée. Le service médical rendu est désormais important, auparavant il était modéré.

► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

Les objectifs du traitement des patients atteints d'alpha-mannosidose légère à modérée sont d'améliorer leur état de santé et leur qualité de vie en diminuant les symptômes invalidants et de prévenir les complications, notamment infectieuses. La prise en charge symptomatique doit être proactive et peut notamment faire appel à un traitement otolaryngologique, à la kinésithérapie, à la chirurgie orthopédique, à l'utilisation d'appareillage auditif ou encore à une aide éducative précoce.

Place du médicament

Chez les patients avec un diagnostic confirmé d'alpha-mannosidose légère à modérée, LAMZEDE (velmanase alfa), administré une fois par semaine en perfusion intraveineuse, est un traitement enzymatique substitutif de 1^{ère} intention des manifestations non neurologiques de cette maladie. Ce traitement substitutif, qui stabilise l'évolution de la maladie, devrait être mis en place aux stades les plus précoces de la maladie, d'où l'importance du diagnostic le plus anticipé possible de cette maladie.

La durée optimale de ce traitement n'est actuellement pas connue.

Un traitement par LAMZEDE (velmanase alfa) ne doit pas être instauré chez un patient atteint d'alpha-mannosidose sévère, ce qui correspondrait à une utilisation hors AMM.

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

