



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHESE D'AVIS 19 JANVIER 2022

idébénone
RAXONE 150 mg, comprimés pelliculés

Réévaluation

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement des troubles de la vision chez les patients adolescents et adultes atteints de neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL).

Le Service médical rendu est désormais modéré (auparavant il était insuffisant) dans cette indication.

► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

D'après le consensus international de 2017 composé d'experts d'Europe et d'Amérique du Nord, la prise en charge de la NOHL comprend le conseil génétique, l'information du patient sur les facteurs de risque liés au mode de vie potentiellement évitables (fumer, boire, facteurs environnementaux toxiques) et pour les cas subaigus et dynamiques, l'utilisation de l'idébénone à la dose actuellement approuvée de 900 mg par jour. Selon le consensus international, le traitement par idébénone doit être interrompu chez les patients non-répondeurs et n'est actuellement pas recommandé chez les patients en phase chronique de la maladie.

La Commission de la Transparence avait rendu un avis défavorable au remboursement de RAXONE (idébénone), dans la prise en charge de la NOHL, lors de l'examen initial de ce médicament en raison des résultats négatifs de l'étude de phase II RHODOS *versus* placebo. Il a été, toutefois, mis à disposition dans le cadre d'une ATU de cohorte qui a pris fin en juin 2021.

En pratique, des médicaments (glutathion, vitamine E ou co-enzyme Q1010) sont utilisés en raison d'un mécanisme d'action (médicaments antioxydants) laissant supposer un intérêt dans cette maladie, toutefois, leur efficacité n'a pas été démontrée et ils ne sont pas recommandés.

Récemment, LUMEVOQ (lenadogene nolpharvovec), médicament de thérapie génique, a été mis à disposition par le biais d'une ATU nominative en 2019 puis d'une ATU de cohorte en juillet 2021. Son utilisation est limitée aux patients ayant une perte de vision due à la NOHL du fait d'une mutation confirmée G11778A du gène mitochondrial ND4, principale mutation observée dans la NOHL.

En plus des mesures hygiéno-diététiques, la prise en charge comporte une rééducation de la basse vision.

Place du médicament

RAXONE (idébénone) est un traitement de 1^{ère} intention dans la prise en charge des troubles de la vision chez les patients adolescents et adultes atteints de neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL).

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