



TRANSPARENCY COMMITTEE SUMMARY 24 MARCH 2021

The legally binding text is the original French opinion version

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.

CONCLUSIONS DE LA COMMISSION

Considérant l'ensemble de ces informations et après débat et vote, la Commission estime :

Service Médical Rendu

- ▶ La drépanocytose est une maladie d'évolution très variable. Les complications entraînent une dégradation marquée de la qualité de vie et sont susceptibles de menacer le pronostic vital.
- ▶ La spécialité XROMI (hydroxycarbamide) est un traitement préventif des crises vaso-occlusives.
- ▶ Le rapport efficacité/effets indésirables de XROMI (hydroxycarbamide) est important.
- ▶ Il existe une alternative thérapeutique à base du même principe actif.
- ▶ 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.

Intérêt de santé publique

Compte tenu :

- de la gravité de la maladie et de sa prévalence et incidence
 - du besoin médical identifié de disposer de molécules efficaces, bien tolérées, facilitant l'observance et améliorant la qualité de vie des patients,
 - de la réponse partielle apportée par XROMI (hydroxycarbamide) au besoin identifié de disposer de molécules efficaces, bien tolérées, facilitant l'observance et améliorant la qualité de vie des patients,
 - de l'absence d'impact supplémentaire démontré par XROMI (hydroxycarbamide) sur la morbi-mortalité ou sur la qualité de vie, compte tenu des données disponibles d'efficacité et de tolérance consistant en des données bibliographiques et de l'absence d'étude clinique réalisée avec XROMI (hydroxycarbamide),
 - de l'absence d'impact supplémentaire de XROMI (hydroxycarbamide) sur l'organisation des soins et d'impact attendu sur le parcours de soins et/ou de vie,
- XROMI (hydroxycarbamide) n'est pas susceptible d'avoir un impact supplémentaire sur la santé publique.

Compte tenu de l'ensemble de ces éléments, la Commission considère que le service médical rendu par XROMI (hydroxycarbamide) est important dans l'indication de l'AMM.

La Commission donne un avis favorable à l'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux et sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités dans l'indication et aux posologies de l'AMM.

▶ **Taux de remboursement proposé : 65 %**

Amélioration du Service Médical Rendu

Compte tenu :

- de l'efficacité bien établie de l'hydroxycarbamide dans la prévention des complications vaso-occlusives de la drépanocytose avec un profil de tolérance connu,

mais tenant compte :

- des données d'efficacité et de tolérance fournies à l'appui de la demande d'inscription de XROMI (hydroxycarbamide) reposant uniquement sur des études bibliographiques,
- de l'absence d'étude clinique réalisée avec la solution buvable XROMI (hydroxycarbamide) et notamment de l'absence de donnée fournie étayant un éventuel avantage en termes d'acceptabilité, d'observance ou de qualité de vie, de la solution buvable XROMI (hydroxycarbamide) par rapport aux comprimés de SIKLOS (hydroxycarbamide), qui peuvent être désagregés dans un peu d'eau et mélangés à un peu de sirop ou de nourriture pour en masquer l'amertume chez l'enfant et le patient dysphagique,

la Commission de la Transparence considère que XROMI (hydroxycarbamide) n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport à SIKLOS (hydroxycarbamide).