

## Décision n°2022.0307/DC/SEM du 22 septembre 2022 du collège de la Haute Autorité de santé acceptant le recours gracieux formé contre une décision relative à l'accès précoce de la spécialité OXBRYTA

Le collège de la Haute Autorité de santé ayant valablement délibéré en sa séance du 22 septembre 2022.

Vu le code de la sécurité sociale, notamment les articles L. 161-37 et R. 161-78-1 et suivants ;

Vu le code de la santé publique, notamment les articles L. 5121-12 et R. 5121-68 et suivants ;

Vu le règlement intérieur du collège ;

Vu la décision de la HAS n°2022.0188 du 23 juin 2023 portant autorisation de la demande d'accès précoce de la spécialité OXBRYTA ;

Vu le recours gracieux formé par le laboratoire Pharma Blue, reçu le 19 juillet 2022 ;

DÉCIDE :

### Article 1<sup>er</sup>

A l'article 1<sup>er</sup> de la décision n°2022.0188/DC/SEM, les mots :

*« Par conséquent, l'autorisation d'accès précoce prévue au III de l'article L. 5121-12 du code de la santé publique est octroyée à la spécialité : OXBRYTA 500 mg, comprimé pelliculé Flacon de 90 comprimés du laboratoire PHARMA BLUE dans l'indication « En association à l'hydroxyurée/hydroxycarbamide (HU/HC), traitement de l'anémie hémolytique sévère causée par la drépanocytose chez les adultes et les adolescents âgés de 12 ans et plus ne répondant pas suffisamment à un traitement bien conduit par HU/HC et nécessitant des apports transfusionnels réguliers »*

sont remplacés par les mots :

*« Par conséquent, l'autorisation d'accès précoce prévue au III de l'article L. 5121-12 du code de la santé publique est octroyée à la spécialité : OXBRYTA 500 mg, comprimé pelliculé Flacon de 90 comprimés du laboratoire PHARMA BLUE dans l'indication*

*Traitement de l'anémie hémolytique sévère causée par la drépanocytose chez les adultes et les adolescents âgés de 12 ans et plus et après avis d'un centre spécialisé dans la prise en charge de la drépanocytose :*

- *en association à l'hydroxyurée/hydroxycarbamide (HU/HC), chez les patients ne répondant pas suffisamment à un traitement bien conduit par HU/HC*
- *en monothérapie chez les patients intolérants ou non éligibles à HU/HC »*

Le Collège rappelle qu'Oxbryta n'est pas indiqué dans la prévention des crises vaso occlusives. Au contraire, une attention particulière devra être portée à la bonne adhésion au traitement, en particulier dans la population d'adolescents-jeunes adultes, d'autant qu'il existe des interrogations quant à l'existence d'un risque de crises vaso occlusives, en lien avec le mécanisme du voxelotor, en cas d'interruption temporaire du traitement.

Article 3

La directrice générale de la Haute Autorité de santé est chargée de l'exécution de la présente décision qui sera publiée au Bulletin officiel de la Haute Autorité de santé.

Fait le 22 septembre 2022.

Pour le collège :  
*La présidente de la Haute Autorité de santé,*  
P<sup>r</sup> Dominique LE GULUDEC  
*Signé*