SYNTHÈSE

éladocagène exuparvovec

UPSTAZA 2.8 x 10 11 génomes de vecteur/0,5 mL,

solution pour perfusion

Première évaluation

Adopté par la Commission de la transparence le 7 décembre 2022

- **Maladie rare**
- **Secteur : Hôpital**

L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement de patients âgés de 18 mois et plus présentant un diagnostic clinique, moléculaire et génétiquement confirmé de déficit en décarboxylase d'acide L-aminé aromatique (aromatic L amino acid decarboxylase, AADC) associé à un phénotype sévère.

Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la stratégie thérapeutique actuelle.

Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

Il n'existe à ce jour aucun traitement étiologique de la maladie. La prise en charge d'un patient atteint de déficit en AADC est essentiellement symptomatique, avec une approche pluridisciplinaire neurologique, orthopédique, éducationnelle, psychologique et sociale.

Le besoin médical est actuellement non couvert dans le traitement de patients âgés de 18 mois et plus présentant un diagnostic clinique, moléculaire et génétiquement confirmé de déficit en décarboxylase d'acide L-aminé aromatique (aromatic L-amino acid decarboxylase, AADC) associé à un phénotype sévère.

Place du médicament

UPSTAZA (éladocagène exuparvovec) est un traitement de 1ère intention des patients âgés de 18 mois et plus présentant un diagnostic clinique, moléculaire et génétiquement confirmé de déficit en décarboxylase d'acide L-aminé aromatique associé à un phénotype sévère.

Dans les études cliniques, les patients traités par UPSTAZA (éladocagène exuparvovec) avaient des caractéristiques cliniques typiques du déficit en AADC telles que crises oculogyres, hypotonie et retard de développement.

L'indication de l'AMM ne définit pas de limite d'âge supérieur mais l'expérience est limitée chez les patients âgés de plus de 12 ans. Le gain sur la fonction motrice est plus incertain chez les patients plus âgés (plasticité cérébrale, intégrité des réseaux neuronaux). La thérapie génique chez ces patients doit également pouvoir se discuter au cas par cas en définissant les objectifs pour chaque patient.

Les complications liées à la procédure chirurgicale (pouvant inclure une fuite de LCR et une pseudo-méningocèle) ou les exacerbations des symptômes de la maladie sous-jacente (apnée, hypotension artérielle, troubles du rythme cardiaque, bradycardie et arrêt cardiaque) suite à l'intervention chirurgicale et à l'anesthésie du fait du déficit en adrénaline et noradrénaline et du dysfonctionnement du système nerveux sympathique doivent faire l'objet d'une surveillance post-opératoire étroite. Une hospitalisation de plusieurs jours avec un suivi à J7 et J14 semble adaptée.

Ce document a été élaboré à partir de l'avis de la Commission de la transparence
UPSTAZA 2.8 x 10 11 génomes de vecteur/0,5 mL, 7 décembre 2022
Toutes nos publications sont téléchargeables sur www.has-sante.fr

© Haute Autorité de santé – **décembre 2022**