

Décision n°2023.0221/DC/SEM du 15 juin 2023 du collège de la Haute Autorité de santé portant renouvellement de l'autorisation d'accès précoce de la spécialité OXBRYTA

Le collège de la Haute Autorité de santé ayant valablement délibéré en sa séance du 15 juin 2023.

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 le règlement intérieur de la commission de la transparence ;
Vu la décision d'autorisation d'accès précoce de la Haute Autorité de santé n°2022.0188 du 23 juin 2022 modifiée par la décision n°2022.0307/DC/SEM du 22 septembre 2022 ;
Vu la demande de renouvellement d'autorisation d'accès précoce présentée par le laboratoire Pharma Blue reçue le 14 mars 2023 ;
Vu la notification de la HAS indiquant les éléments manquants adressée le 24 mars 2023 au demandeur ;
Vu les éléments reçus le 24 mars 2023 ;
Vu l'accusé d'enregistrement de demande complète notifié le 27 mars 2023 au demandeur ;
Vu l'avis de la commission de la transparence du 7 juin 2023 ;

DÉCIDE :

Article 1^{er}

L'autorisation d'accès précoce, délivrée le 23 juin 2022 à la spécialité OXBRYTA 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 » est renouvelée pour une durée de 12 mois à compter de la notification de la présente décision.

Article 2

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 15 juin 2023.

Pour le collège :
La présidente de séance
Pr Anne-Claude CREMIEUX
Signé

**AVIS SUR LES
MÉDICAMENTS****Voxelotor****OXBRYTA 500 mg,****comprimés pelliculés****Renouvellement de l'autorisation d'accès précoce****Adopté par la Commission de la transparence le 7 juin 2023**

1

- ➔ Drépanocytose
- ➔ Adulte / Adolescent (≥ 12 ans)

Synthèse

Avis favorable au renouvellement de l'autorisation d'accès précoce de OXBRYTA (voxelotor) dans l'indication suivante :

« 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 »**

Sommaire

1.	Contexte	3
2.	Environnement médical	5
3.	Synthèse des nouvelles données	5
3.1	Nouvelles données cliniques	5
3.2	Données d'utilisation (notamment PUT-RD)	5
4.	Discussion	9
5.	Conclusions de la Commission de la Transparence	10
5.1	Maladie grave, rare ou invalidante	10
5.2	Absence de traitement approprié	10
5.3	Impossibilité de différer la mise en œuvre du traitement	10
5.4	Caractère présumé innovant notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent	10
5.5	Recommandations	11
6.	Annexes	11

1. Contexte

Résumé du motif d'évaluation	Renouvellement de l'autorisation d'accès précoce post-AMM
DCI (code ATC) Présentation concernée	Voxelotor (B06AX03) OXBRYTA 500 mg, comprimé pelliculé Flacon de 90 comprimés (CIP : 34009 302 471 5 0)
Laboratoire	PFIZER (Exploitant)
Indication concernée par l'évaluation	Autorisation initiale d'accès précoce (AP) post-AMM par le collège de la HAS le 23/06/2022 modifiée le 22/09/2022 en application de l'article L.5121-12 du code de la santé publique¹ dans l'indication suivante : « 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 laboratoire revendique un renouvellement de l'autorisation d'accès précoce dans un périmètre identique à celui en vigueur. En date du 20 juillet 2022, la CT a rendu un avis favorable² au remboursement dans un périmètre restreint de l'indication AMM à savoir uniquement dans le « traitement de l'anémie hémolytique sévère causée par la drépanocytose, chez les adultes et les adolescents âgés de 12 ans et plus, en monothérapie ou en association avec l'hydroxyurée » (périmètre plus large que celui de l'AP), et lui a octroyé un SMR faible et une ASMR V dans ce périmètre (SMR insuffisant pour une prise en charge par la solidarité nationale dans les autres populations de l'AMM).
AMM (Autorisation de mise sur le marché)	– Date initiale (AMM centralisée) : 14 février 2022. – L'AMM est associée à un PGR.
Conditions et statuts	Conditions de prescription et de délivrance – Liste I – Médicament soumis à prescription initiale hospitalière annuelle – Médicament de prescription réservée aux spécialistes en hématologie ou aux médecins compétents en maladie du sang, en pédiatrie ou en médecine interne – Renouvellement non restreint Statuts particuliers – Médicament orphelin (date octroi du statut : 18/11/2016) – Statut PRIME de l'EMA

¹ [Décision n°2022.0188 du 23 juin 2022 du collège de la Haute Autorité de santé portant autorisation de la demande d'accès précoce de la spécialité OXBRYTA](#)
[Décision n°2022.0307 du 22 septembre 2022 du collège de la Haute Autorité de santé relative à l'accès précoce de la spécialité OXBRYTA](#)

² [Avis de la Commission de la Transparence relatif à l'inscription de OXBRYTA 500 mg \(voxelotor\).](#)

	– ATU de cohorte accordée le 30/06/2021 (« VOXELOTOR est indiqué pour le traitement de l'anémie hémolytique chez les patients adultes et des adolescents à partir de 12 ans atteints de drépanocytose qui sont insuffisamment améliorés sous l'hydroxyurée/l'hydroxycarbamide ou présentant une intolérance à l'hydroxyurée/l'hydroxycarbamide. VOXELOTOR peut être administré seul ou en association avec l'hydroxyurée(HU)/de l'hydroxycarbamide »)
Posologie dans l'indication évaluée	La dose recommandée d'OXBRYTA (voxelotor) est de 1500 mg par voie orale une fois par jour. La dose recommandée chez les patients âgés de 12 à moins de 18 ans est la même que chez les adultes. La dose recommandée de voxelotor chez les patients présentant une insuffisance hépatique sévère (classe C de Child-Pugh) est de 1 000 mg. Pour plus de précisions, se référer au RCP.
Classe pharmacothérapeutique	Il s'agit du premier médicament de la classe des inhibiteurs de la polymérisation de l'hémoglobine S (HbS) désoxygénée.
Mécanisme d'action	Le voxelotor se lie à l'HbS avec une stœchiométrie de 1/1 et présente une répartition préférentielle dans les érythrocytes. En augmentant l'affinité de l'hémoglobine pour l'oxygène, le voxelotor induit une inhibition dose-dépendante de la polymérisation de l'HbS. Le voxelotor inhibe la falciformation des érythrocytes et diminue leur déformabilité.
Informations au niveau international	Selon les informations transmises par le laboratoire à la date du dépôt du dossier : – Pour l'Europe : demande de prise en charge en cours d'évaluation en Allemagne. – Pour les Etats-Unis : AMM dans l'indication « Traitement de la drépanocytose chez les adultes et les enfants âgés de 4 ans et plus ». L'agence américaine (FDA) avait accordé au produit le statut de <i>Breakthrough Therapy</i> et le médicament a bénéficié du programme <i>Accelerated Approval</i> de la FDA avec une exigence post-commercialisation de fournir la preuve d'un bénéfice clinique.
Autre(s) indications(s) de l'AMM	Sans objet.
Evaluation par la Commission	– Calendrier d'évaluation • Date de l'avis : 7 juin 2023. – Contributions de parties prenantes : non – Expertise externe : non

Pour les renouvellements ultérieurs, le rapport de synthèse déposé doit être le plus récent possible en tenant compte du dépôt du dossier 3 mois avant la fin de l'autorisation et du gel de base accepté de 1 mois avant l'envoi du dossier. La nouvelle période couverte doit débiter à la suite de celle du rapport de synthèse précédent.

2. Environnement médical

Depuis le précédent avis rendu, l'environnement médical est inchangé.

3. Synthèse des nouvelles données

3.1 Nouvelles données cliniques

Il n'existe pas de nouvelles données cliniques depuis le dernier avis de la CT.

3.2 Données d'utilisation (notamment PUT-RD)

Le laboratoire a fourni les données recueillies dans le cadre du PUT-RD sur la période du 1/07/2022 au 31/01/2023. Pour rappel, la partie clinique du second rapport d'ATUc couvrait la période du 14/03/2022 au 31/03/2023, il y a donc un chevauchement d'un mois entre ces deux rapports.

Au cours de la période considérée, des données ont été collectées pour des patients inclus dans l'accès précoce (AP) post-AMM et pour des patients initialement inclus dans l'ATUc qui ont basculé dans l'AP.

Au total, 97 fiches ont été collectées pour 80 patients (dont 30 patients ayant basculé de l'ATUc vers l'AP).

Rappel de la population cible évaluée par la Commission	Adultes et adolescents âgés de 12 ans et plus avec anémie hémolytique sévère causée par 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
Nombre de patients ayant complétés	– la fiche de demande : 50 patients (ne concerne pas les patients ayant basculé de l'ATU) – la fiche d'initiation : 14 patients – au moins une fiche de suivi : 34 patients (dont 29 patients ayant basculé de l'ATU vers l'AP) Sur les 192 fiches attendues pour les patients inclus dans l'AP2 (n=50), seules 56 ont été reçues (29%).
Durée médiane ou moyenne d'exposition au traitement	Durée médiane de suivi du traitement (n=79) : 83 jours (min : 10 max : 176)
Nombre de patients toujours sous traitement au moment du rendu du rapport de synthèse	Non renseigné

Patients inclus dans l'accès précoce

Au total, sur la période 54 demandes d'accès au traitement ont été reçues (hors bascules d'ATUc) et 50 patients ont été inclus dans l'accès précoce post AMM (2 patients ont été refusés car le diagnostic de la drépanocytose n'a pas été confirmé par un test génétique et 2 patients étaient en attente d'inclusion au moment de la rédaction du rapport du fait d'information manquante sur leurs

fiches de demande d'accès au traitement). **Quarante-deux (42) des patients inclus ont été exposés au traitement³.**

De plus parmi les 95 patients acceptés dans le cadre de l'ATUc, 27 ont été acceptés dans l'AP2 avec au moins une de traitement complétée.

Caractéristiques des patients et des prescripteurs

Ces données ne concernent que les patients acceptés dans l'AP de novo (hors bascule ATUc) (n=50)

Caractéristiques des patients

Sur la période analysée, les caractéristiques des patients inclus dans l'AP pour lesquels une fiche de demande d'accès a été complétée sont les suivantes (n=50) : l'âge moyen était de 39 ans (min : 14 ; max : 71) dont 7 enfants ou des adolescents (12 à 18 ans) et 61% étaient des hommes.

Caractéristiques de la maladie

A l'inclusion, tous les patients présentaient une anémie hémolytique due à la drépanocytose et le diagnostic de la drépanocytose avait été confirmé par un test génétique.

La concentration d'hémoglobine a été évaluée au moment de la demande d'accès au traitement (n=50) et était en moyenne de 7,2 g/dL (médiane 7,1 ; min : 3 ; max : 10,5). Celle-ci a été jugée par le prescripteur (absence de seuils d'hémoglobine prédéfinis) :

- normale : n=1
- anormale : n=47
- donnée non communiquée : n=2

Lors de la demande d'accès au traitement, tous les patients présentaient de la fatigue (100%), 43 (86%) un essoufflement et 23 (46%) des douleurs.

Le nombre moyen de crise vaso-occlusive ayant nécessité une hospitalisation au cours des 12 derniers mois était de 1,28 (min: 0 ; max: 6).

Lors de la demande d'accès, les principaux antécédents de traitements reçus dans le cadre de la prise en charge de la drépanocytose étaient les suivants :

- Hydroxyurée : 40 patients étaient sous traitement, 9 patients avaient été précédemment traités et avaient arrêté le traitement avant la 1ère dose de voxelotor (motifs : intolérance, myélodysplasie, ulcère, inefficacité) et 1 patient n'en avait jamais pris.
- L-Glutamine : 1 patient sous traitement et 47 patients n'en avaient jamais pris (donnée manquante n=2).
- Crizanlizumab : aucun patient sous traitement, 1 patient avait été précédemment traité et avait arrêté le traitement et 47 patients n'en avaient jamais pris (donnée manquante n=2),
- Transfusions : 18 patients avaient déjà reçu au moins une transfusion sanguine au cours des 12 derniers mois (min : 1 ; max : 79). Treize patients avaient des antécédents d'allo-immunisation

Caractéristiques des prescripteurs

³ A noter qu'il s'agit de 42 patients avec une commande de traitement, avec néanmoins au moins une fiche de traitement (initiation, suivi ou arrêt) pour seulement 5 patients. Pour les 37 autres patients, aucune fiche de traitement n'a été reçue ce qui n'a pas permis au laboratoire de confirmer l'exposition au traitement .

Les demandes d'accès au traitement reçues ont émané de 27 médecins (pédiatre, hématologue ou praticien en médecine interne) répartis dans 20 hôpitaux, dont 15 centres de référence ou de compétence en maladies rares (CRM/CCMR) ayant recruté la majorité des patients inclus dans l'AP2 (92% ; n=46/50).

Conditions d'utilisation du médicament

Les variables recueillies dans le cadre du PUT-RD étaient :

- Indication du traitement
- Posologie et durée prescrite du traitement
- Traitements concomitants

Indication du traitement

Parmi les 50 patients ayant intégré l'AP post-AMM :

- 23 patients recevaient le voxelotor en association avec l'hydroxyurée (HU) car « ne répondant pas suffisamment à un traitement bien conduit par HU »,
- 8 patients recevaient le voxelotor en monothérapie car « intolérants ou non éligibles à HU »,
- l'information n'était pas disponible pour 31 patients.

Posologie

La dose recommandée par l'AMM d'OXBRYTA (voxelotor) est de 1 500 mg (trois comprimés pelliculés de 500 mg) pris par voie orale en une fois par jour (adultes et enfants/adolescents).

Sur la période considérée **une utilisation hors AMM/un mésusage lié à la posologie (100% des cas de mésusage) a été rapporté pour 62% (n=26/42) des patients exposés au traitement dans le cadre de l'AP : il s'agissait dans tous les cas d'un traitement administré à une posologie réduite (500 ou 1 000 mg/jour) par rapport à celle recommandée par l'AMM.**

Selon le laboratoire, 23 de ces 26 cas (88%) ont été associés à des événements indésirables, le plus souvent à une mauvaise tolérance gastrointestinale. Les données présentées par le laboratoire ne permettent pas d'identifier avec certitude les cas où la tolérance au voxelotor a été le motif justifiant la réduction de dose.

D'après les informations fournies, le traitement par voxelotor avait débuté d'emblée à dose réduite (500 ou 1 000 mg/j) dans la majorité des cas, en notant qu'une augmentation progressive était renseignée pour certains patients (jusqu'à 1 000 ou 1 500 mg/jour selon les cas). Dans une moindre mesure, les patients avaient débuté le traitement à la posologie recommandée de 1 500 mg pour être ensuite réduite, réduction justifiée par la survenue d'un événement indésirable (EI) dans les 4 cas pour lesquels l'information était disponible (EI gastro-intestinal/prurit ; asthénie intense ; EI gastro-intestinal/occlusion de la veine rétinienne ; éruption cutanée toxique).

Arrêts de traitement

D'après le rapport de synthèse fourni, une fiche d'arrêt définitif de traitement a été reçue pour 8 patients pendant la période considérée (dont 7 patients ayant basculé depuis l'ATUc), dont 3 en raison d'un événement indésirable (cf. paragraphe pharmacovigilance ci-dessous pour les arrêts déclarés dans le cadre de la pharmacovigilance). Les motifs de ces arrêts sont présentés dans le tableau ci-après.

Table 1. Motifs d'arrêts définitifs du voxelotor dans le cadre de l'accès précoce

Patient	Motif d'arrêt	Durée du traitement (jours)
1	Souhait du patient Douleur épigastrique et crise vaso-occlusive.	56
2*	Souhait du patient	133
3	Survenue d'un événement indésirable suspecté d'être lié au traitement. Souhait du patient	176
4*	Effet indésirable lié au voxelotor	86
5*	Effet indésirable lié au voxelotor	10
6	Souhait du patient	36
7	Progression de la maladie Effet thérapeutique insatisfaisant.	80
8	Décès du patient. Raison du décès : COVID-19 entraînant une chute de l'hémoglobine à 2,7 g/dl. patient non transférable et comorbide (drépanocytose, dialyse, diabète, insuffisance cardiaque).	106

*Ces arrêts ont déjà été rapportés dans le deuxième rapport de la ATUc.

Données d'efficacité dont la qualité de vie

Les variables d'efficacité recueillies dans le cadre du PUT-RD étaient :

- Marqueurs indiquant une hémolyse :
 - Hématologie : hémoglobine, hématocrite, leucocytes, neutrophiles, réticulocytes, plaquettes, TP
 - Biochimie : bilirubine sérique totale, aspartate aminotransférase, alanine aminotransférase, clairance de la créatinine, LDH ;
 - Signes cliniques :
 - Symptômes : douleur, fatigue, essoufflement, autre...
 - Nombre de crises vaso-occlusives (CVO) nécessitant un traitement hospitalier
 - Nombre d'épisodes d'hypertension pulmonaire nécessitant une consultation à l'hôpital
 - Besoin en transfusions.
- ➔ Le très faible nombre de fiches de suivi reçues et complétées ne permet pas d'analyser l'évolution des variables d'efficacité (biologiques et cliniques) recueillies.
- ➔ Le PUT-RD ne prévoyait pas de recueil de la qualité de vie.

Pharmacovigilance

Les données de pharmacovigilance françaises ont été recueillies auprès de l'ensemble des patients exposés sur la période considérée (patients entrés directement dans l'AP et patients ayant basculé de l'ATUc vers l'AP).

Sur la période couverte par le rapport de synthèse, 44 cas de pharmacovigilance ont été rapportés en France :

- Dont 19 cas graves (pour un total de 30 événements indésirables),
- Dont 42 considérés comme étant liés au traitement par les médecins.

Au total, dans le cadre de la pharmacovigilance, 110 effets indésirables ont été rapportés par ces 44 patients :

- **dont 30 graves (chez 19 patients),**
- **et 3 cas d'évolution fatale : thrombose intracardiaque / défaillance multi-organe / crises vaso-occlusives , choc cardiogénique, décès sans précision.**

Les événements les plus fréquents, toutes gravités confondues, ont été les événements gastro-intestinaux (n=21).

Parmi les cas graves :

- 4 « désordres cutanéomuqueux » : 1 éruption cutanée toxique, 1 rash érythémateux et 2 réactions avec éosinophilie et symptômes systémiques ;
- Désordres hépatobiliaires (n=4) : 1 cholelithiase, 2 cholestases, 1 cytolysé hépatique ;
- Désordre du système lymphatique et sanguin : 1 anémie, 1 hémolyse, 4 crise drépanocytaires, 1 thrombose ;
- 1 décès ;
- 1 choc cardiogénique ayant conduit au décès.

Concernant les données internationales, depuis la date de référence internationale du développement jusqu'à la date la date limite de collecte des données du DSUR n°8 (6 novembre 2021 au 5 novembre 2022), un total de 1024 sujets a reçu au moins une dose du médicament à l'étude. Cumulativement 9 912 patients ont reçu du voxelotor, et pendant l'intervalle de déclaration, 3 676 patients ont reçu du voxelotor dans l'environnement post-marketing.

Pendant la période considérée, de nouveaux risques de sécurité ont été identifiés sur la base des données de l'accès précoce : DRESS (réaction médicamenteuse avec éosinophilie et systémie), prurit, et angioœdème (gonflement/œdème du visage, gonflement des paupières, gonflement périorbitaire et gonflement des lèvres). A noter que ces cas, survenus chez des patients sous ATU, étaient déjà connus et avaient été pris en compte par la HAS dans sa décision initiale d'octroi de l'AP. Le DRESS sera prochainement inclus parmi les effets indésirables du voxelotor dans son RCP.

D'après le rapport de synthèse fourni, sur la période considérée, les événements indésirables ont conduit à :

- **L'arrêt définitif du voxelotor pour 9 patients, dont 3 adolescents âgés de 12 à 14 ans,**
- **Une interruption temporaire du voxelotor pour 8 autres patients, 7 patients anciennement inclus dans l'ATUc et ayant basculé dans l'accès précoce et 1 patient inclus dans l'AP2**

4. Discussion

Les données recueillies dans le cadre de l'accès précoce et présentées dans ce 1^{er} rapport sont trop limitées pour permettre une analyse de l'efficacité du voxelotor dans l'indication concernée.

Sur la période considérée, on peut néanmoins noter une large utilisation du voxelotor à des posologies hors-AMM, exclusivement à dose réduite (500 ou 1 000 mg par jour au lieu de 1 500 mg de façon durable ou transitoire), pour 26 des 42 patients traités dans le cadre de l'AP (hors patients ayant basculé dans l'AP depuis l'ATU). Le laboratoire indique que 23 de ces cas de mésusages étaient associés à des EI, en majorité de troubles gastro-intestinaux tels que la diarrhée.

5. Conclusions de la Commission de la Transparence

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

Les données soumises pour la demande de renouvellement et les données acquises de la science ne sont pas de nature à modifier les conclusions précédentes concernant les critères d'éligibilité à l'accès précoce (décisions de la HAS du 23/06/2022 et du 22/09/2022).

5.1 Maladie grave, rare ou invalidante

La spécialité est destinée à traiter une maladie grave, rare et invalidante dès lors que :

- L'indication constitue une maladie grave, rare et invalidante. Une étude française publiée en 2021 et portant sur une analyse de l'EGB entre 2006 et 2016 estimait la population de patients drépanocytaires comprise entre 19 800 et 32 400 en France.
- L'anémie hémolytique chronique est associée à une variété de symptômes incluant fatigue excessive, fièvre, tachycardie fonctionnelle, vertiges et confusion et des atteintes d'organes, ces facteurs impactant fortement la sphère relationnelle et familiale ainsi que les activités scolaires et professionnelles. En cas d'hémolyse, les produits de l'hémolyse endommagent le système vasculaire, ce qui est associé à un risque accru de développer des complications cliniques spécifiques. Ces atteintes sont corroborées par les associations de patients.

5.2 Absence de traitement approprié

Il n'existe pas de traitement approprié dans l'indication considérée, dans la mesure où l'on ne dispose d'aucun médicament spécifiquement autorisé ou ayant une efficacité bien établie dans le traitement de l'anémie hémolytique sévère chronique du patient drépanocytaire, et que les transfusions simples et les échanges transfusionnels, pouvant être considérés comme des soins de support, ne sont pas considérés comme des traitements appropriés suffisants au regard de l'apport potentiel d'OXBRYTA (voxelotor).

5.3 Impossibilité de différer la mise en œuvre du traitement

Dans la mesure où il n'existe pas de traitement approprié et où ce traitement est présumé innovant dans la prise en charge d'une maladie grave, rare et invalidante, sa mise en œuvre ne peut pas être différée.

5.4 Caractère présumé innovant notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent

Ce médicament est présumé innovant dans l'indication considérée car :

- il représente une nouvelle modalité de prise en charge en étant le premier médicament spécifiquement autorisé dans l'indication considérée,
- son plan de développement a été jugé adapté par la Commission et les résultats d'efficacité disponibles suggèrent une amélioration significative de l'hémoglobine et des paramètres de l'hémolyse,
- il comble un besoin médical insuffisamment couvert.

5.5 Recommandations

La Commission donne un avis favorable au renouvellement de l'autorisation d'accès précoce d'OXBRYTA (voxelotor) 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 ».

Pour rappel, il s'agit d'un avis rendu par la commission de la transparence, la décision d'autoriser ou non l'accès précoce revient au collège de la HAS.

- ➔ La Commission recommande le renouvellement de l'autorisation d'accès précoce pour une durée de 12 mois.

6. Annexes