

AVIS DE LA COMMISSION

24 janvier 2001

DESFERAL 100 mg/ml, poudre et solvant pour solution injectable
Boîte de 1 (flacon de 2 g de poudre + ampoule de 20 ml de solvant)

NOVARTIS PHARMA S.A.

Mésilate de déféroxamine

Liste I

Date de l'AMM : validée le 18 septembre 1997 (conditionnement en flacon de 500 mg)
rectificatif : 26 juin 2000 (présentation supplémentaire en flacon de 2 g)

Caractéristiques de la demande : inscription Sécurité Sociale et Collectivités.

I - CARACTERISTIQUES ACTUELLES DU MEDICAMENT SELON LA COMMISSION DE LA TRANSPARENCE A PARTIR DE L'AUTORISATION DE MISE SUR LE MARCHE

Principe actif

Mésilate de déféroxamine

Originalité

La présentation en boîte de 1 flacon de 500 mg de poudre et une ampoule de 5 ml de solvant est inscrite sur les listes Sécurité Sociale (31 mars 1965) et Collectivités (12 janvier 1982).

Indications thérapeutiques

- Hémochromatose primitive non curable par saignées,
- hémosidérose secondaire,
- intoxications martiales aiguës,
- intoxication aluminique chez l'insuffisant rénal dialysé,
- indications diagnostiques – Test au DESFERAL :
 - dépistage des surcharges ferriques par dosage de la sidérurie,
 - diagnostic d'hémochromatose, orientation du traitement et dépistage des formes latentes dans les familles de sujets hémochromatosiques,
 - diagnostic de l'intoxication aluminique, en particulier lorsque l'aluminémie est comprise entre 1 et 3 $\mu\text{mol/l}$ (27 à 81 $\mu\text{g/l}$).

Posologie

Se reporter au RCP.

II - MEDICAMENTS COMPARABLES SELON LA COMMISSION

Classement dans la classification ATC

V : Divers
03 : Tous autres médicaments
A : Tous autres médicaments
C : Chélateurs du fer
01 : Déféroxamine

Classement dans la nomenclature ACP

V : Divers
C7 : Intoxications
P1 : Antidotes
et
C5 : Explorations métaboliques et hormonales
P1 : Varia
P1-3 : Autres

Médicaments de comparaison de la classe pharmaco-thérapeutique, le cas échéant, médicaments à même visée thérapeutique dans le cadre des classements effectués ci-dessus

Médicaments de comparaison de la classe pharmaco-thérapeutique :

FERRIPROX 500 mg, comprimé pelliculé, indiqué chez les patients qui présentent une thalassémie majeure et pour lesquels un traitement par la déféroxamine est contre-indiqué ou s'accompagne d'une toxicité sévère.

III - CONCLUSIONS DE LA COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

Réévaluation du service médical rendu

Les affections concernées par cette spécialité engage le pronostic vital du patient.

Cette spécialité entre dans le cadre d'un traitement curatif.

Le rapport efficacité/effets indésirables de DESFERAL est important.

Cette spécialité est un médicament de première intention.

Il n'existe pas d'alternative en première intention.

Le service médical rendu par DESFERAL est important.

Amélioration du service médical rendu

DESFERAL est le médicament de référence dans ces indications.

La présentation de DESFERAL 100 mg/ml, poudre et solvant pour solution injectable en flacon de 2 g de poudre apporte, en terme de commodité d'emploi, une amélioration du

service médical rendu de niveau IV par rapport à la présentation en flacon de 500 mg de poudre.

Stratégie thérapeutique recommandée

DESFERAL est le traitement de première intention des affections qu'il concerne.

Population cible

La population cible de DESFERAL est difficile à estimer compte tenu du peu de données épidémiologiques disponibles.

L'hémochromatose, la drépanocytose et la thalassémie sont les principales indications de DESFERAL et touchent un nombre très limité de patients.

De plus, compte tenu du caractère très ciblé des indications, seule une infime partie de ces patients est susceptible d'être traitée par DESFERAL soit environ quelques centaines de patients.

Selon les données de la déclaration relative aux ventes de spécialités pharmaceutiques, 571 260 boîtes de DESFERAL 500 mg ont été vendues en officine en 1999, ce qui correspondrait environ à 275 à 315 patients traités par an.

Conditionnement

Le conditionnement est adapté aux conditions de prescription.

Recommandations de la Commission de la Transparence

Avis favorable à l'inscription sur la liste des médicaments remboursables aux assurés sociaux et sur la liste des produits agréés à l'usage des collectivités et divers services publics dans toutes les indications thérapeutiques et posologies de l'AMM.

Taux de remboursement : 100 %