

AVIS DE LA COMMISSION

19 janvier 2005

**KOGENATE Bayer 250 UI, flacon de poudre avec système Bioset + seringue
pré remplie. Boîte de 1 flacon**

**KOGENATE Bayer 500 UI, flacon de poudre avec système Bioset + seringue
pré remplie. Boîte de 1 flacon**

**KOGENATE Bayer 1000 UI, flacon de poudre avec système Bioset + seringue
pré remplie. Boîte de 1 flacon**

Laboratoire BAYER AG

octocog alfa (facteur VIII recombinant de coagulation)

Liste I

Médicament soumis à une prescription initiale hospitalière de six mois.

La délivrance est réservée aux pharmacies à usage intérieur des établissements de santé.

Date de l'AMM : 01 octobre 2004

Motif de la demande : Inscription Collectivités

Secrétariat de la Commission de la Transparence

1. CARACTERISTIQUES DU MEDICAMENT

1.1. Principe actif : octocog alfa (facteur VIII recombinant de coagulation)

1.2. Originalité : nouvelle présentation avec système de transfert intégré Bioset

1.3. Indication

Traitement et prophylaxie des épisodes hémorragiques chez les patients présentant une hémophilie A (déficit congénital en facteur VIII).

Cette préparation ne contient pas de facteur von Willebrand et ne doit donc pas être utilisée dans le traitement de la maladie de Willebrand.

1.4. Posologie

Le traitement doit être débuté sous la surveillance d'un médecin expérimenté dans le traitement de l'hémophilie.

Le calcul de la dose nécessaire en facteur VIII se base sur le résultat empirique qu'1 Unité Internationale (UI) de facteur VIII par kg de poids corporel augmente l'activité en facteur VIII plasmatique de 1,5 % à 2,5 %. La dose nécessaire est déterminée en utilisant les formules suivantes :

- I. $\text{Nb d'UI nécessaires} = \text{poids corporel (kg)} \times \text{augmentation souhaitée du taux de facteur VIII (\% de la normale)} \times 0,5$
- II. $\text{Augmentation attendue du taux de facteur VIII (\% de la normale)} = \frac{(2 \times \text{nb d'UI administrées})}{(\text{poids corporel (kg)})}$

Les doses et la durée de traitement substitutif doivent être adaptées en fonction des besoins du patient (poids, sévérité des troubles de l'hémostase, site et importance de l'hémorragie, titre en inhibiteur et taux de facteur VIII souhaité).

Cas des patients avec inhibiteurs : Cf. RCP

2. MEDICAMENTS COMPARABLES

2.1. Classement ATC 2004

- B : Sang, organes hématopoïétiques
- 02 : Antihémorragiques
- B : Vitamine K et autres hémostatiques
- D : Facteurs de coagulation sanguine
- 02 : Facteur VIII de coagulation sanguine humain cryodesséché recombinant

2.2. Médicaments de même classe pharmaco-thérapeutique

- Facteurs VIII d'origine plasmatique : FACTANE
HEMOFIL M
MONOCLATE-P
- Facteurs VIII recombinants : ADVATE
HELIXATE NexGen
RECOMBINATE
REFACTO

3. ANALYSE DES DONNEES DISPONIBLES

Il n'y a pas eu d'essai clinique avec KOGENATE ou un autre facteur VIII utilisant le système de reconstitution et de transfert intégré.

4. CONCLUSIONS DE LA COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

4.1. Service médical rendu

L'hémophilie A est responsable d'hémorragies sévères pouvant entraîner des manifestations cliniques invalidantes.

KOGENATE Bayer entre dans le cadre d'un traitement préventif ou curatif.

Le rapport efficacité/effets indésirables de cette spécialité est élevé.

KOGENATE Bayer est un médicament de première intention.

Il existe des alternatives.

Le service médical rendu par KOGENATE Bayer est important.

4.2. Amélioration du service médical rendu

Le système de transfert intégré Bioset est une seringue pré-remplie contenant le solvant qui apporte une certaine commodité d'emploi. En termes de sécurité d'emploi, ce système entre dans le cadre d'une mesure de précaution et non de réduction d'un risque mesuré.

Les spécialités KOGENATE BAYER avec système Bioset n'apportent pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport aux autres facteurs VIII recombinants.

4.3. Place dans la stratégie thérapeutique

L'hémophilie A est une maladie de transmission héréditaire selon un mode récessif lié au sexe, due à un déficit en facteur VIII.

Les manifestations cliniques les plus fréquentes sont les hémorragies survenant dans les articulations et les muscles. Leur gravité et leur fréquence dépendent de l'importance du déficit.

Une prise en charge globale du patient hémophile est nécessaire. Le traitement substitutif fait appel aux facteurs VIII d'origine plasmatique ou recombinant.

4.4. Population cible

En France, l'incidence de l'hémophilie est de 1/10 000 naissances ou de 1/5 000 naissances de garçons (Orphanet).

La prévalence de l'hémophilie est estimée à environ 5 000 patients dont près de 80% présentent une hémophilie A, soit environ 4 000 patients (Pernod, 2002)

4.5. Recommandations de la Commission de la Transparence

Avis favorable à l'inscription sur la liste des médicaments agréés à l'usage des collectivités et divers services publics.

4.5.1 Conditionnement : le conditionnement est adapté aux conditions de prescription