

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

Avis
11 juillet 2018

défériprone

FERRIPROX 500 mg, comprimés pelliculés

B/100 (CIP : 34009 365 762 8 5)

FERRIPROX 1 000 mg, comprimés pelliculés

B/50 (CIP : 34009 496 277 6 9)

FERRIPROX 100 mg/ml, solution buvable

Flacon de 500 ml (CIP : 34009 394 385 4 2)

Laboratoire SWEDISH ORPHAN BIOVITRUM

Code ATC	V03AC02 (Agents chélateurs du fer)
Motif de l'examen	Information du laboratoire sur une modification significative des données sur lesquelles a été fondée l'inscription selon l'article R.163-12 du Code de la sécurité sociale
Indication concernée	« FERRIPROX en monothérapie est indiqué dans le traitement de la surcharge en fer chez les patients présentant une thalassémie majeure <u>lorsque le traitement chélateur en cours par déférasirox (EXJADE) est contre-indiqué ou inadapté.</u> »

01 INFORMATIONS ADMINISTRATIVES ET REGLEMENTAIRES

AMM (procédure centralisée)	25/08/1999 : AMM initiale (indication en monothérapie chez les patients pour lesquels la déféroxamine (DESFERAL) est contre-indiquée ou s'accompagne d'une toxicité sévère). 26/05/2016 : - extension d'indication en bithérapie en association avec un autre chélateur ; - modification du libellé de l'indication en monothérapie lorsque le traitement chélateur par déférasirox (EXJADE) est contre-indiqué ou inadapté (indication faisant l'objet du présent avis).
Indications thérapeutiques remboursables actuellement	« FERRIPROX en monothérapie est indiqué dans le traitement de la surcharge en fer chez les patients présentant une thalassémie majeure <u>lorsque le traitement chélateur en cours par la déféroxamine (DESFERAL) est contre-indiqué ou inadapté.</u> »
Indication thérapeutique remboursable actuellement mais avec un SMR insuffisant	Sans objet.
Indications thérapeutiques non remboursables actuellement	« FERRIPROX associé à un autre chélateur est indiqué chez les patients présentant une thalassémie majeure lorsque la monothérapie avec un autre chélateur du fer est inefficace ou lorsque la prévention ou le traitement des conséquences de la surcharge en fer menaçant le pronostic vital (surcharge cardiaque principalement) justifie qu'on y remédie de manière rapide et efficace.» Cette extension d'indication a été évaluée par la Commission le 4 avril 2018¹ qui a octroyé à FERRIPROX un service médical rendu (SMR) : - important en association à la déféroxamine (DESFERAL), - insuffisant en association au déférasirox (EXJADE) pour justifier d'une prise en charge par la solidarité nationale.
Conditions actuelles de prise en charge	Collectivités

02 CONTEXTE

L'article R.163-12 du Code de la Sécurité Sociale prévoit que : « *Lorsqu'une modification significative intervient dans les données sur lesquelles a été fondée l'inscription sur les listes ou l'une des listes prévues au premier alinéa de l'article L. 162-17 du présent code et à l'article L.5123-2 du code de la santé publique, notamment une extension des indications thérapeutiques, ou dans les données qui ont été prises en compte dans la fixation du prix du médicament, l'entreprise qui exploite le médicament est tenue d'en faire part au ministre chargé de la sécurité sociale et à la Haute Autorité de santé ; celui-ci en informe le ministre chargé de la santé et le comité économique des produits de santé. A cette occasion, les conditions d'inscription peuvent être modifiées à l'initiative des ministres chargés de la sécurité sociale et de la santé ou à la demande de l'entreprise qui exploite le médicament, après avis de la commission mentionnée à l'article R. 163-15 [...]* ».

¹ Avis de la Commission du 4 avril 2018. Site HAS. https://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/evamed/CT-16067_FERRIPROX_PIC_EI_Avis3_CT16067.pdf [accédé le 15/06/2018]

A ce titre, les laboratoires SWEDISH ORPHAN BIOVITRUM ont informé la Commission de la modification de l'AMM pour les spécialités FERRIPROX concernant l'indication initiale en monothérapie.

Pour rappel, l'indication de l'AMM initiale, obtenue en 1999, permettait l'utilisation de FERRIPROX en monothérapie, après contre-indication ou toxicité sévère à la déféroxamine (DESFERAL). Dans cette indication, FERRIPROX a obtenu un SMR important et une ASMR I par rapport à l'absence de traitement de recours².

Depuis le 26 mai 2016, le libellé de l'indication initiale a été modifié et l'utilisation de FERRIPROX a été étendue : « FERRIPROX en monothérapie est indiqué dans le traitement de la surcharge en fer chez les patients présentant une thalassémie majeure lorsque le traitement chélateur en cours par déférasirox (EXJADE) est contre-indiqué ou inadapté. ».

Le laboratoire ne sollicite pas l'inscription de FERRIPROX dans cette indication.

03 CONCLUSIONS DE LA COMMISSION

La Commission prend acte du fait que le laboratoire ne demande pas l'inscription des spécialités FERRIPROX dans cette indication et rappelle que de ce fait ces spécialités ne sont pas agréées aux collectivités dans l'indication : « FERRIPROX en monothérapie est indiqué dans le traitement de la surcharge en fer chez les patients présentant une thalassémie majeure lorsque le traitement chélateur en cours par déférasirox (EXJADE) est contre-indiqué ou inadapté. ».

² Avis d'inscription FERRIPROX de la commission de la Transparence du 12 avril 2000.
HAS - Direction de l'Evaluation Médicale, Economique et de Santé Publique
Avis 1