

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE**Avis
12 juin 2019***burossumab***CRYSVITA 10 mg, solution injectable**

Boîte de 1 flacon (CIP : 34009 301 452 1 0)

CRYSVITA 20 mg, solution injectable

Boîte de 1 flacon (CIP : 34009 301 452 2 7)

CRYSVITA 30 mg, solution injectable

Boîte de 1 flacon (CIP : 34009 301 452 3 4)

Laboratoire KYOWA KIRIN PHARMA

Code ATC	M05BX05 (Autre médicament agissant sur la minéralisation)
Motif de l'examen	Inscription
Liste concernée	Sécurité Sociale (CSS L.162-17)
Indications concernées	« Traitement de l'hypophosphatémie liée à l'X avec signes radiographiques d'atteinte osseuse chez les enfants âgés d'un an et plus et les adolescents en phase de croissance osseuse. »

01 INFORMATIONS ADMINISTRATIVES ET REGLEMENTAIRES

AMM	Date initiale (procédure centralisée) : 19/02/2018 AMM conditionnelle. Médicament orphelin (15/10/2014) Plan de gestion des risques avec étude de tolérance interventionnelle post AMM.
Conditions de prescription et de délivrance / statut particulier	ATU nominatives à partir de janvier 2018 puis ATU de cohorte depuis le 13/02/2018. Médicament soumis à prescription hospitalière. Prescription réservée aux spécialistes en pédiatrie, en endocrinologie, diabète et nutrition, en néphrologie ou en rhumatologie. Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement.

02 CONTEXTE

Il s'agit d'une demande d'inscription des spécialités CRYSVITA, solution injectable sous cutanée de burosumab, sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux, indiquée dans le traitement de l'hypophosphatémie liée à l'X chez les enfants dès l'âge de un an et les adolescents en phase de croissance osseuse.

Dans son avis du 23/01/2019, dans le cadre de la demande d'inscription sur la seule liste des médicaments agréés à l'usage des collectivités, la Commission a considéré que le service médical rendu par CRYSVITA est :

- important dans le traitement de l'hypophosphatémie liée à l'X avec signes radiographiques d'atteinte osseuse chez les enfants âgés d'un an et plus et les adolescents en phase de croissance osseuse, atteints de forme sévère réfractaire au traitement conventionnel ou de forme sévère compliquée.

- insuffisant pour justifier d'une prise en charge par la solidarité nationale dans le traitement de l'hypophosphatémie liée à l'X avec signes radiographiques d'atteinte osseuse chez les enfants âgés d'un an et plus et les adolescents en phase de croissance osseuse, atteints de forme sévère non réfractaire au traitement conventionnel ou de forme sévère non compliquée.

Dans l'hypophosphatémie liée à l'X avec signes radiographiques d'atteinte osseuse chez les enfants âgés d'un an et plus et les adolescents en phase de croissance osseuse, atteints de forme sévère réfractaire au traitement conventionnel ou de forme sévère compliquée, la Commission a considéré que CRYSVITA (burosumab) apporte une amélioration du service médical rendu modérée (ASMR III) par rapport au traitement conventionnel dans le traitement de l'hypophosphatémie liée à l'X avec signes radiographiques d'atteinte osseuse chez les enfants âgés d'un an et plus et les adolescents en phase de croissance osseuse, atteints de forme sévère réfractaire au traitement conventionnel ou de forme sévère compliquée.

CRYSVITA est inscrit sur la liste des médicaments agréés à l'usage des collectivités depuis le 15 mars 2019 (JO du 15 Mars 2019).

Par ailleurs, compte tenu :

- des modalités de son administration en sous-cutanée toutes les 2 semaines,
- de la durée optimale de traitement par CRYSVITA qui ne peut être déterminée, mais avec, conformément à l'AMM, une prescription possible jusqu'à l'adolescent en phase de croissance,

la Commission s'interrogeait sur la seule demande d'inscription aux collectivités et souhaitait que la possibilité d'une inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux soit étudiée, à la condition que les 2 premières injections soient réalisées en milieu hospitalier. La

présente demande d'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux s'inscrit dans ce contexte.

03 CONCLUSIONS DE LA COMMISSION

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

03.1 Service Médical Rendu

La présente demande d'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux ne modifie pas l'appréciation du service médical rendu de CRYSVITA par la Commission dans son avis du 23/01/2019 dans le cadre de la demande d'inscription sur la seule liste des médicaments agréés à l'usage des collectivités :

La Commission considère que le service médical rendu par CRYSVITA est :

- **important** dans le traitement de l'hypophosphatémie liée à l'X avec signes radiographiques d'atteinte osseuse chez les enfants âgés d'un an et plus et les adolescents en phase de croissance osseuse, atteints de forme sévère réfractaire au traitement conventionnel ou de forme sévère compliquée.
- **insuffisant** pour justifier d'une prise en charge par la solidarité nationale dans le traitement de l'hypophosphatémie liée à l'X avec signes radiographiques d'atteinte osseuse chez les enfants âgés d'un an et plus et les adolescents en phase de croissance osseuse, atteints de forme sévère non réfractaire au traitement conventionnel ou de forme sévère non compliquée.

La Commission donne

- un avis favorable à l'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux dans l'indication « traitement de l'hypophosphatémie liée à l'X avec signes radiographiques d'atteinte osseuse chez les enfants âgés d'un an et plus et les adolescents en phase de croissance osseuse, atteints de forme sévère réfractaire au traitement conventionnel ou de forme sévère compliquée » et aux posologies de l'AMM.
- et un avis défavorable à l'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux dans l'indication « traitement de l'hypophosphatémie liée à l'X avec signes radiographiques d'atteinte osseuse chez les enfants âgés d'un an et plus et les adolescents en phase de croissance osseuse, atteints de forme sévère non réfractaire au traitement conventionnel ou de forme sévère non compliquée ».

► Taux de remboursement proposé : 65%

03.2 Amélioration du Service Médical Rendu

La présente demande d'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux ne modifie pas l'appréciation de l'amélioration du service médical rendu de CRYSVITA par la Commission dans son avis du 23/01/2019 dans le cadre de la demande d'inscription sur la seule liste des médicaments agréés à l'usage des collectivités.

04 RECOMMANDATIONS DE LA COMMISSION

► Conditionnements

Ils sont adaptés aux conditions de prescription selon l'indication, la posologie et la durée de traitement.

► Autre demande

La Commission recommande que les 2 premières injections soient réalisées en milieu hospitalier.