



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

AVIS

08 SEPTEMBRE 2021

idursulfase
ELAPRASE, solution à diluer pour perfusion

Mise à disposition en ville

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement en ville d'ELAPRASE (idursulfase) dans le traitement à long terme de patients atteints du syndrome de Hunter (mucopolysaccharidose de type II, MPS II). Aucune étude n'a été réalisée chez les femmes hétérozygotes.

01 CONTEXTE

Il s'agit de la demande d'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux de la spécialité **ELAPRASE (idursulfase), 2mg /ml, solution à diluer pour perfusion** indiqué dans le traitement à long terme de patients atteints du syndrome de Hunter (mucopolysaccharidose de type II, MPS II) (AMM du 8 janvier 2007). ELAPRASE (idursulfase), 2mg /ml, solution à diluer pour perfusion est déjà inscrit sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités et divers services publics.

Cette demande d'inscription en ville fait suite à la demande de la DGS et à la recommandation de l'ANSM, s'agissant d'un traitement enzymatique substitutif administré au long cours et dont les modalités de prescription, de dispensation et d'administration ne posent pas de difficultés techniques particulières. La mise à disposition d'ELAPRASE (idursulfase) en ville dans l'intérêt des patients concernés ne remet pas en cause l'utilisation qui demeurera majoritairement réalisée à l'hôpital. En effet, conformément au RCP, la perfusion à domicile peut être envisagée chez les patients ayant reçu le traitement en milieu hospitalier depuis plusieurs mois et chez qui une bonne tolérance au traitement a été observée. Les perfusions à domicile seront pratiquées sous la surveillance d'un médecin ou autre professionnel de santé.

Pour rappel, dans son avis de réévaluation du service médical rendu (SMR) à la demande de la Commission en date du 1^{er} juillet 2015, la Commission a considéré que le SMR était important et que l'amélioration du service médical rendu (ASMR) était de niveau IV (mineure) dans la prise en charge du syndrome de Hunter.

02 INDICATION

« ELAPRASE est indiqué dans le traitement à long terme de patients atteints du syndrome de Hunter (mucopolysaccharidose de type II, MPS II).

Aucune étude clinique n'a été réalisée chez les femmes hétérozygotes. »

03 COMPARATEURS CLINIQUEMENT PERTINENTS

Les conclusions relatives à l'existence de comparateurs cliniquement pertinents sont les mêmes que celles de l'avis de la Commission de la Transparence du 1^{er} juillet 2015 concernant la réévaluation du SMR et de l'ASMR d'ELAPRASE (idursulfase) sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités, à savoir qu'il n'existe pas, à ce jour, de comparateur cliniquement pertinent.

04 CONCLUSIONS DE LA COMMISSION

Considérant l'ensemble de ces données et informations et après débat et vote, la Commission estime que les conclusions de son avis du 1^{er} juillet 2015 ne sont pas modifiées:

04.1 Service Médical Rendu

- ▶ Le syndrome de HUNTER est dû à un déficit enzymatique qui touche la plupart des tissus de l'organisme. Il s'agit d'une maladie rare et grave, entraînant une dégradation de la qualité de vie et mettant en jeu le pronostic vital.
- ▶ Cette spécialité entre dans le cadre d'un traitement à visée substitutive.
- ▶ Cette spécialité est un traitement de première intention.
- ▶ Il n'existe pas, à ce jour, d'alternative thérapeutique médicamenteuse.
- ▶ Le rapport efficacité / effets indésirables à court terme de cette spécialité est important. A moyen et long terme, il n'est pas établi.

► Intérêt de santé publique :

ELAPRASE (idursulfase) n'est pas susceptible d'avoir un impact supplémentaire sur la santé publique.

En conséquence, la Commission considère que le service médical rendu par ELAPRASE (idursulfase) est important dans l'indication de l'AMM.

La Commission donne un avis favorable à l'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux dans l'indication et aux posologies de l'AMM.

► **Taux de remboursement proposé : 65%**

04.2 Amélioration du Service Médical Rendu

L'inscription en ville n'est pas de nature à modifier les conclusions précédentes de la Commission de la Transparence. La Commission de la Transparence considère que ELAPRASE (idursulfase) apporte une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) dans la prise en charge du syndrome de Hunter.

04.3 Population cible

L'inscription de ELAPRASE (idursulfase) sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux n'est pas de nature à modifier la population cible déjà estimée par la Commission à un maximum de 100 patients (cf. avis de la Commission de la Transparence du 1^{er} juillet 2015).

05 RECOMMANDATIONS DE LA COMMISSION

► Conditionnement

Il est adapté aux conditions de prescription selon l'indication, la posologie et la durée de traitement.

06 INFORMATIONS ADMINISTRATIVES ET REGLEMENTAIRES

Calendrier d'évaluation	Date de validation administrative* : 25 juin 2021 Date d'examen et d'adoption : 08 septembre 2021
Présentation concernée	<u>ELAPRASE (idursulfase) 2mg/ml, solution à diluer pour perfusion</u> Boite de 1 flacon de 3 ml (CIP : 3400957056339) Boite de 4 flacons de 3 ml (CIP : 3400957056568) Boite de 10 flacons de 3 ml (CIP : 3400957056629)
Demandeur	TAKEDA France SAS
Liste concernée	Sécurité Sociale (CSS L.162-17)
AMM	Date initiale : 08 janvier 2007 (procédure centralisée)
Condition de prescription et de délivrance/ statut particulier	Liste I Médicament soumis à prescription hospitalière Les premières administrations doivent être effectuées en milieu hospitalier.
Code ATC	A16AB09

* : cette date ne tient pas compte des éventuelles périodes de suspension pour incomplétude du dossier ou liées à la demande du laboratoire