

**AVIS SUR LES
MÉDICAMENTS**

Immunoglobuline humaine normale

PANZYGA 100 mg/mL,

solution pour perfusion

Inscription : Primo-inscription

Adopté par la Commission de la transparence le 25 juin 2025

- Immunoglobulines
- Adulte / Adolescent / Enfant (de 0 à 18 ans)
- Secteur : Hôpital

Synthèse de l'avis

Avis favorable au remboursement dans les indications de l'AMM.

Pas de progrès dans la stratégie thérapeutique.

Ce document ainsi que sa référence bibliographique sont téléchargeables sur www.has-sante.fr 

Le présent avis est publié sous réserve des droits de propriété intellectuelle

Haute Autorité de santé – Service communication et information

5 avenue du Stade de France – 93218 SAINT-DENIS LA PLAINE CEDEX. Tél. : +33 (0)1 55 93 70 00

© Haute Autorité de santé – Juin 2025

1. Contexte

Résumé du motif d'évaluation	Inscription
Précisions	Il s'agit d'une demande d'inscription sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités et divers services publics des spécialités PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL, solution pour perfusion. Pour rappel, la Commission a déjà évalué les spécialités PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL lors de leur primo-inscription en 2016¹ et leur a octroyé un Service Médical Rendu (SMR) important et une Amélioration du Service Médical Rendu (ASMR) V par rapport aux autres immunoglobulines humaines normales intraveineuses dans les indications AMM suivantes : – Traitement de substitution chez l'adulte, l'enfant et l'adolescent (0-18 ans) : • Déficits immunitaires primitifs (DIP) avec altération de la production d'anti-corps, • Hypogammaglobulinémie et infections bactériennes récurrentes chez les patients atteints de leucémie lymphoïde chronique pour qui un traitement antibiotique prophylactique a échoué, • Hypogammaglobulinémie et infections bactériennes récurrentes chez les patients atteints de myélome multiple en phase de plateau résistant à une immunisation pneumococcique, • Hypogammaglobulinémie consécutive à une allogreffe de cellules souches hématopoïétiques (HSCT), • Infections bactériennes récurrentes chez les patients atteints de SIDA congénital. – Effet immunomodulateur chez l'adulte, l'enfant et l'adolescent (0-18 ans) : • Thrombocytopénie immune primaire (TIP) chez les patients à haut risque hémorragique, ou préalablement à une intervention chirurgicale pour normaliser le taux de plaquettes, • Syndrome de Guillain-Barré, • Maladie de Kawasaki. En 2020, la Commission a donné un avis favorable de radiation de la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités aux spécialités PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL, solution pour perfusion, à la suite d'un arrêt de commercialisation². Par la présente demande, le laboratoire sollicite une nouvelle primo-inscription des spécialités PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL dans toutes les indications actuelles de l'AMM.
Indications concernées par l'évaluation	Indications de l'AMM : « Traitement de substitution chez l'adulte, l'enfant et l'adolescent (0-18 ans) : • Déficits immunitaires primitifs (DIP) avec altération de la production d'anti-corps. • Déficits immunitaires secondaires (DIS) chez les patients présentant des infections sévères ou récurrentes, dont le traitement antimicrobien est inefficace et qui présentent une insuffisance prouvée en anticorps

¹ Avis de la Commission de la Transparence de la spécialité PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) du 19/10/2016. Disponible sur : https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-15602_PANZYGA_PIS_INS_Avis1_CT15602.pdf (consulté en ligne le 21/05/2025).

² Non publié sur le site de la HAS.

	spécifiques (PSAF, <i>proven specific antibody failure</i>)* ou un taux d'IgG sérique < 4 g/L. *PSAF = incapacité à atteindre une augmentation d'au moins deux fois le titre d'anticorps IgG avec les vaccins à polysaccharides pneumococciques et antigènes peptidiques. • Prophylaxie pré/post-exposition contre la rougeole chez les adultes, enfants et adolescents (de 0 à 18 ans) à risque pour lesquels une immunisation active est contre-indiquée ou déconseillée. Il conviendra de tenir compte des recommandations officielles concernant l'utilisation des immunoglobulines humaines intraveineuses pour la prophylaxie pré/post-exposition et l'immunisation active contre la rougeole. Effet immunomodulateur chez l'adulte, l'enfant et l'adolescent (0-18 ans) dans : • Thrombocytopénie immunologique primaire (TIP) chez les patients à haut risque hémorragique, ou préalablement à une intervention chirurgicale pour normaliser le taux de plaquettes. • Syndrome de Guillain-Barré. • Maladie de Kawasaki (en association avec l'acide acétylsalicylique ; voir rubrique 4.2). • Polyradiculoneuropathies inflammatoires démyélinisantes chroniques (PIDC). • Neuropathie motrice multifocale (NMM). » Une harmonisation des RCP européens de l'ensemble des immunoglobulines intraveineuses (IgIV) par l'<i>European Medicines Agency</i> (EMA) en juin 2018³ a conduit aux modifications suivantes : • Modification du libellé des indications préexistantes : « Déficits immunitaires secondaires (DIS) chez les patients présentant des infections sévères ou récurrentes, dont le traitement antimicrobien est inefficace et qui présentent une insuffisance prouvée en anticorps spécifiques (PSAF) ou un taux d'IgG sérique < 4 g/L », • Extensions d'indication suivantes : « Polyradiculoneuropathies inflammatoires démyélinisantes chroniques (PIDC) » et « Neuropathie motrice multifocale (NMM) ». Enfin, une extension d'indication a été octroyée par procédure décentralisée le 08 juillet 2024 aux spécialités PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL dans la « Prophylaxie pré/post-exposition contre la rougeole chez les adultes, enfants et adolescents (de 0 à 18 ans) à risque pour lesquels une immunisation active est contre-indiquée ou déconseillée ». Cette extension d'indication fait suite à une harmonisation des RCP européens pour toutes les IgIV à l'initiative de l'EMA qui a publié le 16 décembre 2021 une sixième révision du guide concernant le RCP des solutions d'immunoglobulines humaines normales⁴.
DCI (code ATC) Présentations concernées	Immunoglobuline humaine normale (J06BA02) PANZYGA 100 mg/mL, solution pour perfusion – 1 flacon en verre de 10 mL (CIP : 34009 550 214 9 0) – 1 flacon en verre de 25 mL (CIP : 34009 550 215 0 6) – 1 flacon en verre de 50 mL (CIP : 34009 550 215 1 3)

³ EMA : « Guideline on core SmPC for human normal immunoglobulin for intravenous administration (IVIg) » du 28 juin 2018 : https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-core-smpc-human-normal-immunoglobulin-intravenous-administration-ivig-rev-5_en.pdf (consulté en ligne le 12/06/2025).

⁴ EMA : « Guideline on core SmPC for human normal immunoglobulin for intravenous administration (IVIg) » du 16 décembre 2021 : https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-core-smpc-human-normal-immunoglobulin-intravenous-administration-ivig-rev-6_en.pdf (consulté en ligne le 12/06/2025)

	– 1 flacon en verre de 100 mL (CIP : 34009 550 215 3 7) – 1 flacon en verre de 200 mL (CIP : 34009 550 215 5 1) – 1 flacon en verre de 300 mL (CIP : 34009 550 215 7 5)
Liste concernée	Collectivités (article L.5123-2 du CSP)
Laboratoire	OCTAPHARMA FRANCE (Exploitant)
AMM (Autorisation de mise sur le marché)	Date initiale (procédure décentralisée) : 11/05/2016 Date des rectificatifs et teneurs : – 18/06/2019 : reformulation des indications dans les déficits immunitaires secondaires (DIS) et extension d'indication à la polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC) et à la neuropathie motrice multifocale (NMM). – 08/07/2024 : extension d'indication dans la prophylaxie pré/post-exposition contre la rougeole chez les adultes, enfants et adolescents. Plan de Gestion des Risques (PGR) : Oui Plan d'investigation pédiatrique associé à l'AMM : Non
Conditions et statuts	Conditions de prescription et de délivrance – Liste I – Médicament à prescription hospitalière (PH) – La prescription par un médecin exerçant dans un établissement de transfusion sanguine autorisé à dispenser des médicaments aux malades qui y sont traités est également autorisée Statut particulier – Médicament dérivé du sang (MDS)
Evaluation par la Commission	– Calendrier d'évaluation : • Date d'examen et d'adoption : 25 juin 2025.

2. Complément d'informations

→ Synthèse des données

A l'appui de sa demande, le laboratoire a fourni deux études cliniques non évaluées par la Commission lors de la première primo-inscription de PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL en 2016 :

- Une étude de dose de phase III (étude NGAM-08^{5,6,7}), randomisée, en double-aveugle, multicentrique chez des patients adultes atteints de polyradiculoneuropathie inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC) ayant démontré l'efficacité de PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) administré à la dose d'entretien de 1,0 g/kg toutes les 3 semaines sur la proportion de répondeurs à la 24^{ème} semaine, définie par une diminution d'au moins 1 point sur le score d'invalidité INCAT ajusté par rapport à l'inclusion : 79,7% (55/69 patients) ; IC95% [68,8 ; 87,5],
- Une étude de phase IV (étude NGAM-10, non publiée) prospective, en ouvert, mono-bras chez des enfants âgés d'au moins 1 an à moins de 18 ans présentant une thrombocytopénie

⁵ Cornblath D, Hartung HP, Katzberg H, Merkies I, van Doorn P. A randomised, multi-centre phase III study of 3 different doses of intravenous immunoglobulin 10% in patients with chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy (ProCID trial): Study design and protocol. J Peripher Nerv Syst. 2018;23:108–114 DOI: 10.1111/jns.12267

⁶ Cornblath D, van Doorn P, Hartung HP, Merkies I, Katzberg H et al. Randomised trial of three IVIg doses for treating chronic inflammatory polyradiculoneuropathy. BRAIN 2022;145(3):887-896 <https://doi.org/10.1093/brain/awab422>

⁷ Cornblath D, van Doorn P, Hartung HP, Merkies I, Katzberg H et al. Safety and tolerability of Intravenous Immunoglobulin in Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy; Results of the ProCID Study. Drug Safety 2023; 46:835-845 <https://doi.org/10.1007/s40264-023-01326-z>

immunologique primaire (TIP) chronique ayant démontré l'efficacité de PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) administré à la dose de 1g/kg de poids corporel au premier jour (± une nouvelle dose au troisième) sur la réponse clinique au 8^{ème} jour après la première perfusion, définie par une augmentation de la numération plaquettaire au moins une fois à $\geq 50 \times 10^9/L$ dans les 7 jours suivant la première perfusion : 67% (4/6 patients).

➔ **Modifications apportées au RCP :**

Les principales modifications du RCP de PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) depuis la dernière évaluation par la Commission sont les suivantes (dernier rectificatif en date du 08/07/2024) :

- 4.1. Indications thérapeutiques » : reformulation d'indications préexistantes et ajout des indications suivantes : PIDC, NMM et prophylaxie pré/post-exposition contre la rougeole (harmonisation des RCP européens),
- 4.2. Posologie et mode d'administration » : modification de la posologie pour la maladie de Kawasaki (2,0 g/kg en dose unique),
- 4.4. Mises en garde spéciales et précautions d'emploi » : précisions sur les réactions liées à la perfusion et les réactions d'hypersensibilité, sur l'évaluation des paramètres rénaux avant la perfusion et ajout des mises en garde relatives à la neutropénie/leucopénie et au syndrome respiratoire aigu post-transfusionnel (TRALI : *Transfusion Related Acute Lung Injury*),
- 4.5. Interactions avec d'autres médicaments et autres formes d'interactions » : ajout d'une précaution d'usage concernant l'utilisation concomitante de diurétiques de l'anse (à éviter),
- 4.6. Fertilité, grossesse et allaitement : ajout d'une précaution d'emploi chez la femme allaitante,
- 4.8. Effets indésirables » : nouvelle information concernant le lupus érythémateux cutané et le TRALI.

Pour plus de précisions, se référer au RCP.

➔ **Plan de Gestion des Risques**

Le résumé des risques du PGR de PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) (version 5 du 23/11/2023) est présenté dans le tableau ci-dessous :

Risques importants identifiés	Evènements thromboemboliques Méningite aseptique Réactions d'hypersensibilité, incluant des réactions anaphylactiques Hémolyse
Risques importants potentiels	Transmission d'agents infectieux Interaction avec les vaccins vivants atténués et les tests sérologiques Syndrome respiratoire aigu post-transfusionnel (TRALI) Neutropénie/leucopénie
Informations manquantes	Aucune

Depuis la dernière évaluation par la Commission :

- l'insuffisance rénale aigüe a été supprimée des risques importants identifiés,
- le syndrome respiratoire aigu post-transfusionnel et la neutropénie/leucopénie ont été ajoutés comme risques importants potentiels,
- les informations manquantes relatives à la sécurité des personnes âgées et des patients insuffisants rénaux/hépatiques, l'exposition durant la grossesse et l'allaitement ont été supprimées.

3. Conclusions de la Commission de la Transparence

Considérant l'ensemble de ces informations, la Commission estime :

3.1 Comparateurs cliniquement pertinents

Un tableau détaillé des comparateurs cliniquement pertinents de PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) dans l'ensemble de ses indications AMM est disponible en annexe 1 du présent avis.

Les spécialités à base d'immunoglobulines humaines normales administrées par voie intraveineuse (IgIV) disponibles en France sont les suivantes :

- CLAIRYG 50 mg/mL, solution pour perfusion,
- FLEBOGAMMA DIF 50 mg/mL et 100 mg/mL, solution pour perfusion,
- GAMMAGARD 50 mg/mL, poudre et solvant pour solution pour perfusion,
- GAMUNEX 100 mg/mL, solution pour perfusion,
- INTRATECT 50 et 100 g/L, solution pour perfusion,
- KIOVIG 100 mg/mL, solution pour perfusion,
- OCTAGAM 50 mg/mL et 100 mg/mL, solution pour perfusion,
- PRIVIGEN 100 mg/mL, solution pour perfusion,
- TEGELINE 50 mg/mL, poudre et solvant pour solution pour perfusion.

La Commission a octroyé à l'ensemble de ces spécialités à base d'IgIV un SMR important.

Les spécialités à base d'immunoglobulines humaines normales administrées par voie sous-cutanée (IgSC) disponibles en France sont les suivantes :

- CUTAQUIG 165 mg/mL, solution injectable,
- CUVITRU 200 mg/mL, solution injectable par voie sous-cutanée,
- HIZENTRA 200 mg/mL, solution injectable sous-cutanée,
- HYQVIA 100 mg/mL, solution pour perfusion par voie sous-cutanée,
- XEMBIFY 200 mg/mL, solution injectable sous-cutanée.

La Commission a octroyé à l'ensemble de ces spécialités à base d'IgSC un SMR important.

A noter que les immunoglobulines humaines normales IV et SC font l'objet de tensions d'approvisionnement récurrentes⁸.

3.2 Service Médical Rendu

3.2.1 Déficits immunitaires primitifs et secondaires

- ➔ Les déficits immunitaires qui nécessitent un traitement de substitution par immunoglobulines sont des maladies peu fréquentes, graves, menaçant le pronostic vital.

⁸ ANSM. Tensions d'approvisionnement en immunoglobulines humaines : rappel de la hiérarchisation des indications. Disponible sur : [Actualité - Tensions d'approvisionnement en immunoglobulines humaines : rappel de la hiérarchisation des indications - ANSM](#) (consulté en ligne le 12/06/2025).

- Il s'agit d'un médicament à visée préventive.
- Le rapport efficacité/effets indésirables est important.
- Il s'agit d'un traitement de première intention au regard des thérapies disponibles.

→ Intérêt de santé publique

PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL n'est pas susceptible d'avoir un impact supplémentaire sur la santé publique.

La Commission considère que le service médical rendu par PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL est important dans les déficits immunitaires primitifs et secondaires.

La Commission donne un avis favorable à l'inscription de PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités dans les indications de déficits immunitaires primitifs et secondaires et aux posologies de l'AMM.

3.2.2 Prophylaxie pré/post-exposition contre la rougeole

- La rougeole est une maladie contagieuse et dont les complications peuvent être graves.
- Il s'agit d'un médicament à visée préventive.
- Le rapport efficacité/effets indésirables est important.
- Il s'agit d'un traitement de première intention lorsque l'immunisation active est contre-indiquée ou déconseillée, au regard des alternatives disponibles.

→ Intérêt de santé publique

PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL n'est pas susceptible d'avoir un impact supplémentaire sur la santé publique.

La Commission considère que le service médical rendu par PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL est important dans la prophylaxie pré/post-exposition contre la rougeole chez les adultes, enfants et adolescents (de 0 à 18 ans) à risque pour lesquels une immunisation active est contre-indiquée ou déconseillée.

La Commission donne un avis favorable à l'inscription de PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités dans l'indication de prophylaxie pré/post-exposition contre la rougeole chez les adultes, enfants et adolescents (de 0 à 18 ans) à risque pour lesquels une immunisation active est contre-indiquée ou déconseillée et aux posologies de l'AMM.

3.2.3 Traitement immunomodulateur

- Les pathologies qui nécessitent un traitement immunomodulateur sont des pathologies peu fréquentes, graves, menaçant le pronostic vital.

- Il s'agit d'un médicament à visée curative.
- Le rapport efficacité/effets indésirables est important.
- Il s'agit d'un traitement de première intention au regard des thérapies disponibles.

→ Intérêt de santé publique

PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL n'est pas susceptible d'avoir un impact supplémentaire sur la santé publique.

La Commission considère que le service médical rendu par PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL est important dans les indications de traitement immunomodulateur.

La Commission donne un avis favorable à l'inscription de PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités dans les indications de traitement immunomodulateur et aux posologies de l'AMM.

3.3 Amélioration du Service Médical Rendu

PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport aux autres immunoglobulines humaines normales administrées par voie intraveineuse ou sous-cutanée inscrites.

3.4 Population cible

L'introduction de PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL dans la stratégie thérapeutique n'est pas de nature à modifier la population cible.

3.5 Autres recommandations de la Commission

→ Conditionnements

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

Annexe : Comparateurs cliniquement pertinents de PANZYGA (immunoglobuline humaine normale) 100 mg/mL

NOM (DCI) Laboratoire	Indication de l'AMM	Date de l'avis	SMR	ASMR
Immunoglobulines humaines normales administrées par voie intraveineuse (IgIV)				
CLAIRYG 50 mg/mL LFB Biomédicaments	Traitement substitutif : – Déficits immunitaires primitifs tels que : • agammaglobulinémie congénitale et hypogammaglobulinémie congénitale, • déficit immunitaire commun variable, • déficit immunitaire combiné sévère, • syndrome de Wiskott Aldrich. – Myélome ou leucémie lymphoïde chronique avec hypogammaglobulinémie secondaire sévère et infections récurrentes. – Infections récurrentes chez l'enfant infecté par le VIH. Traitement immunomodulateur : – Purpura thrombopénique idiopathique (PTI) chez les enfants ou les adultes en cas de risque hémorragique important ou avant un acte chirurgical pour corriger le taux de plaquettes. – Syndrome de Guillain et Barré. – Maladie de Kawasaki. Allogreffe de moelle osseuse	10/02/2010 (Inscription)	Important	ASMR V
	Polyradiculoneuropathies inflammatoires démyélinisantes chroniques (PIDC)	06/12/2017 (Extension)	Important	ASMR V
	Neuropathie motrice multifocale (NMM)	22/05/2019 (Extension)	Important	ASMR V
CLAIRYG 100 mg/mL LFB Biomédicaments	Traitement substitutif chez les adultes, les enfants et les adolescents (0-18 ans) dans les cas suivants : – Déficits immunitaires primitifs (DIP) avec altération de la production d'anticorps – Déficits immunitaires secondaires (DIS) chez les patients atteints d'infections sévères ou récurrentes, avec traitement antimicrobien inefficace et soit un déficit avéré en anticorps spécifiques (DAAS) soit un taux des IgG sériques < 4 g/L. Traitement immunomodulateur chez les adultes, les enfants et les adolescents (0-18 ans) dans les cas suivants : – Thrombocytopénie immune primaire (TIP), chez les patients présentant un risque hémorragique élevé ou avant un acte chirurgical pour corriger le taux de plaquettes. – Syndrome de Guillain-Barré – Maladie de Kawasaki	28/02/2024 (Inscription)	Important	ASMR V

	– Polyradiculoneuropathies inflammatoires démyélinisantes chroniques (PIDC) – Neuropathie motrice multifocale (NMM)			
FLEBOGAMMA DIF 50 et 100 mg/mL <i>Grifols France</i>	Traitement substitutif de : – Déficits immunitaires primitifs tels que : • Agammaglobulinémie congénitale et hypogammaglobulinémie congénitale • Déficit immunitaire commun variable • Déficit immunitaire combiné sévère • Syndrome de Wiskott Aldrich – Myélome ou leucémie lymphoïde chronique avec hypogammaglobulinémie secondaire sévère et infections récurrentes. – Infections récurrentes chez l'enfant infecté par le VIH. Traitement immunomodulateur : – Purpura thrombopénique Idiopathique (PTI), chez les enfants et les adultes en cas de risque hémorragiques important ou avant la chirurgie pour corriger le taux de plaquettes. – Syndrome de Guillain Barré. – Maladie de Kawasaki. Allogreffe de moelle osseuse	06/10/2010 (Inscription)	Important	ASMR V
	– Polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC). – Neuropathie motrice multifocale (NMM).	23/10/2019 (Extension)	Important	ASMR V
	Prophylaxie de la rougeole pré- et post-exposition chez les adultes, les enfants et les adolescents (âgés de 2 à 18 ans) à risque chez lesquels l'immunisation active est contre-indiquée ou n'est pas recommandée	En cours d'évaluation par la Commission		
GAMMAGARD 50 mg/ml <i>Takeda France SAS</i>	Chez les patients avec déficits en immunoglobuline A (IgA) et anticorps anti-IgA : Traitement de substitution : – déficits immunitaires primitifs avec hypogammaglobulinémie ou atteinte fonctionnelle de l'immunité humorale, – infections bactériennes récidivantes chez l'enfant infecté par le VIH, – déficits immunitaires secondaires de l'immunité humorale, en particulier la leucémie lymphoïde chronique ou le myélome avec hypogammaglobulinémie et associés à des infections à répétition	01/12/1999 (Inscription)	Important	ASMR I
	Chez les patients avec déficits en immunoglobuline A (IgA) et anticorps anti-IgA : Traitement immunomodulateur :	09/01/2002 (Extension)	Important	ASMR I

	– purpura thrombopénique idiopathique (PTI) chez l'adulte et l'enfant en cas de risque hémorragique important ou avant un acte médical ou chirurgical pour corriger le taux de plaquettes, – syndrome de Guillain et Barré de l'adulte, – maladie de Kawasaki, – allogreffe de cellules souches hématopoïétiques.			
GAMUNEX 100 mg/mL Grifols France	Traitement de substitution chez les adultes, et les enfants et adolescents (âgés de 0 à 18 ans) : – Déficits immunitaires primitifs (DIP) avec défaut de production d'anticorps. – Hypogammaglobulinémie et infections bactériennes récurrentes chez les patients atteints de leucémie lymphoïde chronique, après échec d'une antibiothérapie prophylactique. – Hypogammaglobulinémie et infections bactériennes récurrentes chez les patients atteints d'un myélome multiple en phase de plateau n'ayant pas répondu au vaccin antipneumococcique. – Hypogammaglobulinémie chez les patients ayant bénéficié d'une allogreffe de cellules souches hématopoïétiques. – Infection congénitale par le VIH avec infections bactériennes récurrentes. Immunomodulation chez les adultes et chez les enfants et adolescents (âgés de 0 à 18 ans) en cas de : – Thrombocytopénie immune primaire (TIP), chez les patients présentant un risque hémorragique important ou avant une intervention chirurgicale pour corriger le taux de plaquettes. – Syndrome de Guillain Barré. – Maladie de Kawasaki. – Polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC).	04/09/2019 (Inscription)	Important	ASMR V
	Neuropathie motrice multifocale (NMM)	24/06/2020 (Extension)	Important	ASMR V
	Immunomodulation chez les adultes âgés de 18 ans et plus en cas de poussées myasthéniques aiguës sévères	06/01/2021 (Extension)	Important	ASMR V
	Prophylaxie pré-/post-exposition contre la rougeole pour les adultes, enfants et adolescents (0-18 ans) à risque chez qui la vaccination active est contre-indiquée ou déconseillée	19/07/2023 (Extension)	Important	ASMR V

INTRATECT 50 et 100 g/L <i>Biotext Pharma GMBH</i>	Traitement de substitution chez les adultes, les enfants et les adolescents (âgés de 0 à 18 ans) dans les situations suivantes : – déficits immunitaires primitifs (DIP) avec altération de la production d'anticorps – déficits immunitaires secondaires (DIS) chez les patients souffrant d'infections sévères ou récurrentes, en échec d'un traitement antimicrobien et ayant, soit un défaut de production d'anticorps spécifiques (DPAS) avéré, soit un taux d'IgG sériques < 4 g/l. Immunomodulation chez les adultes, les enfants et les adolescents (âgés de 0 à 18 ans) dans les situations suivantes : – thrombocytopénie immune primaire (TIP) chez les patients à haut risque hémorragique ou avant une intervention chirurgicale pour corriger la numération plaquettaire – syndrome de Guillain-Barré – maladie de Kawasaki (en association avec l'acide acétylsalicylique) – polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC) – neuropathie motrice multifocale (NMM)	05/10/2022 Rectifié le 26/11/2024 (Inscription)	Important	ASMR V
KIOVIG 100 mg/mL <i>Takeda France SAS</i>	Traitement substitutif : – Déficiences immunitaires primitifs tels que : • Agammaglobulinémie congénitale et hypogammaglobulinémie congénitale • Déficit immunitaire commun variable • Déficit immunitaire combiné sévère • Syndrome de Wiskott Aldrich – Myélome ou leucémie lymphoïde chronique (LLC) avec hypogammaglobulinémie secondaire sévère et infections récurrentes. – Infections récurrentes chez l'enfant infecté par le VIH. Traitement immunomodulateur : – purpura thrombopénique idiopathique (PTI), chez les enfants et les adultes en cas de risque hémorragique important ou avant un acte chirurgical pour corriger le taux de plaquettes, – syndrome de Guillain-Barré, – maladie de Kawasaki. Greffe de moelle osseuse allogénique	21/06/2006 (Inscription)	Important	ASMR V
	Neuropathie motrice multifocale (NMM)	29/02/2012 (Extension)	Important	ASMR V
	Polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC)	04/09/2019 (Extension)	Important	ASMR V
OCTAGAM 50 mg/mL	Traitement de substitution :	15/12/1999	Important	ASMR V

Octapharma France SAS	– Déficits immunitaires primitifs avec hypogammaglobulinémie ou atteinte fonctionnelle de l'immunité humorale – Infections bactériennes récidivantes chez l'enfant infecté par le VIH. – Déficits immunitaires secondaires de l'immunité humorale, en particulier la leucémie lymphoïde chronique, avec hypogammaglobulinémie et associés à des infections à répétition. Traitement immunomodulateur dans : – purpura thrombopénique idiopathique (PTI) aigu de l'enfant ou phase aiguë du PTI de l'adulte en cas de syndrome hémorragique, prévention en cas d'acte médical ou chirurgical exposant à un risque hémorragique et (ou) avec un taux de plaquettes inférieur à 20 x 10⁹/l pour corriger le taux de plaquettes, – syndrome de Guillain-Barré, – maladie de Kawasaki Allogreffe de cellules souches hématopoïétiques.	(Inscription)		
		22/06/2011 (Réévaluation)		
	Polyradiculoneuropathies inflammatoires démyélinisantes chroniques (PIDC)	04/02/2015 (Extension)	Important	ASMR V
OCTAGAM 100 mg/mL Octapharma France SAS	Traitement de substitution : – Déficits immunitaires primitifs tels que : • Agammaglobulinémie congénitale et hypogammaglobulinémie congénitale • Déficit immunitaire commun variable • Déficit immunitaire combiné sévère • Syndrome de Wiskott Aldrich – Myélome ou leucémie lymphoïde chronique avec hypogammaglobulinémie secondaire sévère et infections récurrentes. – Infections récurrentes chez l'enfant infecté par le VIH. Effet immunomodulateur : – purpura thrombopénique idiopathique (PTI) aigu de l'enfant ou de l'adulte présentant un haut risque hémorragique, ou préalablement à une intervention chirurgicale pour normaliser le taux de plaquettes, – syndrome de Guillain-Barré, – maladie de Kawasaki. Allogreffe de cellules souches hématopoïétiques.	10/03/2010 (Inscription)	Important	ASMR V
		22/06/2011 (Réévaluation)		
	Effet immunomodulateur chez les adultes, les enfants et les adolescents (0 - 18 ans) dans : – Polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC)	22/03/2017 (Extension)	Important	ASMR V
	Effet immunomodulateur chez les adultes, les enfants et les adolescents (0 - 18 ans) dans :	09/03/2022	Important	ASMR V

	– Neuropathie motrice multifocale (NMM).	(Extension)		
	Effet immunomodulateur chez les adultes atteints de : « Dermatomyosite active traitée par des médicaments immunosuppresseurs, y compris des corticoïdes, ou en cas d'intolérance à ces médicaments ou de contre-indications de ces médicaments. »	18/05/2022 (Extension)	Important	ASMR IV
	Prophylaxie pré/post-exposition contre la rougeole chez les adultes, enfants et adolescents (de 0 à 18 ans) à risque pour lesquels une immunisation active est contre-indiquée ou déconseillée	Non évalué par la Commission à ce jour		
PRIVIGEN 100 mg/mL CSL Behring SA	Traitement de substitution en cas de : – Syndromes de déficit immunitaire primitif (DIP) tels que : • Agammaglobulinémie congénitale et hypogammaglobulinémie congénitale • Déficit immunitaire commun variable • Déficit immunitaire combiné sévère • Syndrome de Wiskott Aldrich – Myélome ou leucémie lymphoïde chronique (LLC) avec hypogammaglobulinémie secondaire sévère et infections récurrentes. – Infections récurrentes chez l'enfant infecté par le VIH. Traitement immunomodulateur : – Purpura thrombopénique immunologique (PTI), chez l'enfant ou l'adulte présentant un risque hémorragique élevé ou préalablement à tout acte chirurgical afin de corriger le nombre de plaquettes. – Syndrome de Guillain-Barré – Maladie de Kawasaki Greffe de moelle osseuse allogénique	03/09/2008 (Inscription)	Important	ASMR V
	Polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC)	16/10/2013 (Extension)	Important	ASMR V
	Neuropathie motrice multifocale (NMM)	Non évalué par la Commission à ce jour		
TEGELINE 50 mg/mL LFB Biomédicaments	Traitement de substitution : – déficits immunitaires primitifs avec hypogammaglobulinémie ou atteinte fonctionnelle de l'immunité humorale – infections bactériennes récidivantes chez l'enfant infecté par le VIH – déficits immunitaires secondaires de l'immunité humorale, en particulier la leucémie lymphoïde chronique ou le myélome avec hypogammaglobulinémie et associés à des infections à répétition. Traitement immunomodulateur :	05/02/1997 (Inscription)	Important	ASMR IV

– purpura thrombopénique idiopathique (PTI) chez l'adulte et l'enfant en cas de risque hémorragique important ou avant un acte médical ou chirurgical pour corriger le taux de plaquettes. – Maladie de Kawasaki			
Allogreffes de cellules souches hématopoïétiques			
– Rétinoblastome de Birdshot – Syndrome de Guillain et Barré de l'adulte	21/03/2001 (Extension)	Important	ASMR II
Neuropathie motrice multifocale (NMM)	09/05/2007 (Extension)	Important	ASMR II
Polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC)	27/01/2010 (Extension)	Important	ASMR IV
Poussées aiguës de myasthénie.	20/07/2016 (Extension)	Important	ASMR V

Immunoglobulines humaines normales administrées par voie sous-cutanée (IgSC)

CUTAQUIG 165 mg/mL <i>Octapharma France SAS</i>	Traitement de substitution chez les adultes, les enfants et les adolescents (0-18 ans) atteints de : – Déficit immunitaire primitif avec production défaillante d'anticorps – Hypogammaglobulinémie et infections bactériennes récurrentes chez les patients atteints de leucémie lymphoïde chronique (LLC) chez qui la prophylaxie antibiotique a échoué ou est contre-indiquée. – Hypogammaglobulinémie et infections bactériennes récurrentes chez les patients atteints de myélome multiple (MM). – Hypogammaglobulinémie chez des patients en pré et post transplantation de cellules souches hématopoïétiques allogéniques (GCSH).	17/02/2021 (Inscription)	Important	ASMR V
CUVITRU 200 mg/mL <i>Takeda France SAS</i>	Traitement substitutif chez l'adulte, l'enfant et l'adolescent (de 0 à 18 ans) atteint de : – syndromes d'immunodéficience primaire avec production défaillante d'anticorps, – hypogammaglobulinémie et infections bactériennes récurrentes chez les patients atteints de leucémie lymphoïde chronique (LLC), chez qui les antibiotiques prophylactiques n'ont pas fonctionné ou sont contre-indiqués, – hypogammaglobulinémie et infections bactériennes récurrentes chez les patients atteints de myélome multiple, – hypogammaglobulinémie chez des patients avant ou après une transplantation de cellules souches hématopoïétiques allogéniques.	25/07/2018 (Inscription)	Important	ASMR V
HIZENTRA 200 mg/mL <i>CSL Behring SA</i>	Traitement de substitution chez les adultes et les enfants atteints de déficits immunitaires primitifs (DIP) tels que : – agammaglobulinémie et hypogammaglobulinémie congénitales – déficit immunitaire commun variable – déficit immunitaire combiné sévère	20/07/2011 (Inscription)	Important	ASMR V

	– déficits en sous-classes d'IgG avec infections récurrentes Traitement de substitution dans le myélome ou la leucémie lymphoïde chronique avec hypogammaglobulinémie secondaire sévère et infections récurrentes.			
	Traitement de substitution chez les adultes, les enfants et les adolescents (0 à 18 ans) atteints de : – hypogammaglobulinémies chez les patients en pré et post transplantation de cellules souches hématopoïétiques allogéniques.	25/07/2018 (Extension)	Important	ASMR V
	Traitement immunomodulateur chez les adultes, les enfants et les adolescents (0 à 18 ans) : – polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC) comme traitement d'entretien après stabilisation par des immunoglobulines IV	17/04/2019 (Extension)	Important	ASMR V
HYQVIA 100 mg/mL <i>Takeda France SAS</i>	Traitement substitutif chez l'adulte (≥ 18 ans) atteint de déficits immunitaires primitifs (DIP) tels que : – agammaglobulinémie et hypogammaglobulinémie congénitales – déficit immunitaire commun variable – déficit immunitaire combiné sévère – déficits en sous-classe d'immunoglobulines G avec infections récurrentes. Traitement substitutif chez l'adulte (≥ 18 ans) en cas de myélome ou de leucémie lymphoïde chronique avec hypogammaglobulinémie secondaire sévère et infections récurrentes	16/09/2015 (Inscription)	Important	ASMR V
	– Traitement substitutif chez [...] l'enfant et l'adolescent (âgé de 0 à 18 ans) atteints de déficits immunitaires primitifs (DIP) avec production défailante d'anticorps ; – Traitement substitutif de l'hypogammaglobulinémie chez des patients (enfants et adultes) avant ou après une transplantation de cellules souches hématopoïétiques allogènes.	06/12/2017 (Extension)	Important dans le traitement substitutif de l'hypogammaglobulinémie avant ou après une transplantation de cellules souches hématopoïétiques allogènes de l'adulte Insuffisant dans les autres indications	ASMR V
	Traitement substitutif chez l'adulte, l'enfant et l'adolescent (âgé de 0 à 18 ans) atteints de : – déficits immunitaires primitifs (DIP) avec altération de la production d'anticorps ; – déficits immunitaires secondaires (DIS) chez les patients souffrant d'infections sévères ou récurrentes, sous traitement antimicrobien inefficace, et présentant soit un déficit avéré des anticorps spécifiques (DAAS), soit d'un taux d'IgG sérique de < 4 g/L.	22/11/2023 (Réévaluation)	Important	ASMR V
	Traitement immunomodulateur chez les adultes, les enfants et les adolescents (0 à 18 ans) : – polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC) comme traitement d'entretien après stabilisation par des immunoglobulines IV	12/02/2025 (Extension)	Important	ASMR V
XEMBIFY 200 mg/mL <i>Grifols France</i>	Traitement substitutif chez les adultes, les enfants et les adolescents (âgés de 0 à 18 ans) atteints : – d'un déficit immunitaire primitif (DIP) avec altération de la production d'anticorps ;	01/06/2022 (Inscription)	Important	ASMR V

- d'une hypogammaglobulinémie avec infections bactériennes récurrentes chez des patients atteints de leucémie lymphoïde chronique (LLC), chez lesquels l'antibioprophylaxie a échoué ou est contre-indiquée ;
- d'une hypogammaglobulinémie avec infections bactériennes récurrentes chez des patients atteints de myélome multiple (MM) ;
- d'une hypogammaglobulinémie chez des patients en pré- et post-transplantation de cellules souches hématopoïétiques allogéniques (GCSH allogénique)