



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

AVIS

9 SEPTEMBRE 2020

lanadelumab

TAKHZYRO 300 mg, solution injectable en seringue préremplie

Mise à disposition d'une nouvelle présentation

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement uniquement dans le traitement de fond préventif au long terme chez les patients âgés de 12 ans et plus, présentant des crises sévères et récidivantes d'angioedème héréditaire (AOH) et intolérants ou insuffisamment contrôlés par des traitements préventifs de 1^{ère} intention bien conduits pendant 3 à 6 mois (correspondant à une utilisation en 2^{nde} intention) et aux posologies de l'AMM.

► Quel progrès ?

Pas de progrès de cette nouvelle présentation en seringue préremplie par rapport à la présentation déjà disponible.

01 CONTEXTE

Il s'agit d'une demande d'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux et sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités de la spécialité **TAKHZYRO 300 mg, solution injectable en seringue préremplie**.

Cette spécialité sous forme de seringue préremplie est un complément de gamme de la spécialité TAKHZYRO 300 mg, solution injectable en flacon. Pour rappel, dans son avis du 5 juin 2019, la Commission a octroyé à TAKHZYRO 300 mg, solution injectable en flacon un service médical rendu important dans un périmètre restreint de l'AMM à savoir le traitement de fond préventif au long terme chez les patients âgés de 12 ans et plus, présentant des crises sévères et récidivantes d'angioœdème héréditaire (AOH) et intolérants ou insuffisamment contrôlés par des traitements préventifs de 1^{ère} intention bien conduits pendant 3 à 6 mois (correspondant à une utilisation en 2^{nde} intention)¹.

A noter que la présentation TAKHZYRO 300 mg, solution injectable en flacon n'est actuellement pas disponible en ville (spécialité uniquement agréée à l'usage des collectivités et inscrite sur la liste de rétrocession).

Cette nouvelle présentation en seringue préremplie, nécessitant moins de manipulations avant administration, remplacera à moyen terme la présentation actuellement disponible.

02 INDICATIONS THERAPEUTIQUES

« TAKHZYRO est indiqué pour la prévention des crises récurrentes d'angio-œdème héréditaire (AOH) chez les patients âgés de 12 ans et plus. »

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 Commission considère que le service médical rendu par TAKHZYRO 300 mg, solution injectable en seringue préremplie est :

- **important** dans l'indication du traitement de fond préventif au long terme chez les patients âgés de 12 ans et plus, présentant des crises sévères et récidivantes d'angioœdème héréditaire (AOH) et intolérants ou insuffisamment contrôlés par des traitements préventifs de 1^{ère} intention bien conduits pendant 3 à 6 mois (correspondant à une utilisation en 2^{nde} intention).
- **insuffisant** pour justifier d'une prise en charge par la solidarité nationale dans les autres situations cliniques incluant les patients âgés de 12 ans et plus, présentant des crises sévères et récidivantes d'angioœdème héréditaire (AOH) naïfs de traitements préventifs de 1^{ère} intention.

¹ Avis d'inscription de TAKHZYRO 300 mg, solution injectable en flacon de la Commission de la transparence du 5 juin 2019.

La Commission donne :

- un avis favorable à l'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux et sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités dans l'indication du traitement de fond préventif au long terme chez les patients âgés de 12 ans et plus, présentant des crises sévères et récidivantes d'angioœdème héréditaire (AOH) et intolérants ou insuffisamment contrôlés par des traitements préventifs de 1^{ère} intention bien conduits pendant 3 à 6 mois (correspondant à une utilisation en 2^{nde} intention) et aux posologies de l'AMM,
- un avis défavorable à l'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux et sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités dans les autres situations cliniques incluant les patients âgés de 12 ans et plus, présentant des crises sévères et récidivantes d'angioœdème héréditaire (AOH) naïfs de traitements préventifs de 1^{ère} intention.

► Taux de remboursement proposé : 65%

03.2 Amélioration du Service Médical Rendu

Cette spécialité est un complément de gamme qui n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport à la présentation déjà inscrite.

04 RECOMMANDATIONS DE LA COMMISSION

► Conditionnements

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

05 INFORMATIONS ADMINISTRATIVES ET REGLEMENTAIRES

Calendrier d'évaluation	Date d'examen et d'adoption : 9 septembre 2020
Présentation concernée	<u>TAKHZYRO 300 mg, solution injectable en seringue préremplie B/1 (CIP : 34009 302 126 0 8)</u>
Demandeur	TAKEDA FRANCE SAS
Listes concernées	Sécurité Sociale (CSS L.162-17) Collectivités (CSP L.5123-2)
AMM	Date initiale (procédure centralisée) : 22 novembre 2018 Date AMM complément de gamme : 7 mai 2020
Conditions de prescription et de délivrance / statut particulier	ATU de cohorte octroyée le 29/08/2018, début effectif le 08/10/2018. Post-ATU depuis le 13/03/2020 Médicament orphelin : 09/11/2018 Médicament à prescription hospitalière.
Code ATC	B06AC05 (Autres médicaments utilisés dans l'angio-œdème héréditaire)