

SYNTHÈSE

diméthyle fumarate

TECFIDERA 120 mg et 240 mg,

gélule gastro-résistante

Nouvelle indication

Adopté par la Commission de la transparence le 23 novembre 2022

- Sclérose en plaques
- Adolescent (≥ 13 ans)
- Secteurs : Ville et Hôpital

L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement des enfants âgés de 13 ans et plus atteints de sclérose en plaques de forme rémittente-récurrente (SEP-RR).

Quel progrès ?

Pas de progrès dans la prise en charge.

Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

La prise en charge thérapeutique de la SEP de l'enfant est multimodale et repose sur des mesures pharmacologiques accompagnées de mesures non médicamenteuses (rééducation fonctionnelle, orthophoniste, orthoptiste, psychologue, etc., mais aussi sociale et scolaire). Elle présente des objectifs à court et à long terme : à court terme, l'objectif est de prévenir et de prendre en charge les poussées, diminuer leur fréquence et préserver l'insertion et le développement psychosocial et affectif de l'enfant. À long terme, l'objectif est de limiter le handicap, maintenir le suivi (observance et tolérance) et de limiter les effets secondaires cumulatif des médicaments.

La mise en place précoce d'un traitement de fond est recommandée dès la validation du diagnostic de SEP chez l'enfant. Plusieurs options thérapeutiques sont proposées en première intention et disposent d'une AMM pédiatrique : les interférons bêta 1-a (AVONEX et REBIF), les interférons bêta 1-b (EXTAVIA et BETAFERON) et l'acétate de glatiramère (COPAXONE). Parmi ces spécialités, seule REBIF (interféron bêta 1-a) dispose d'une AMM chez les enfants âgés de 2 ans et plus, les autres uniquement chez les patients de plus de 12 ans.

La Commission a évalué en 2019 l'extension d'indication des spécialités GILENYA (fingolimod) en traitement de fond des formes très actives de SEP-RR des patients âgés de 10 ans et plus. Elle a considéré que GILENYA (fingolimod) constituait un traitement de 1ère ou 2ème intention des formes très actives de SEP-RR pour les groupes de patients pédiatriques âgés de 10 ans et plus définis par l'AMM et étant les suivants :

- patients présentant une forme très active de la maladie malgré un traitement complet et bien conduit par au moins un traitement de fond de la SEP ou,
- patients présentant une SEP-RR sévère et d'évolution rapide, définie par 2 poussées invalidantes ou plus au cours d'une année associées à 1 ou plusieurs lésion(s) rehaussée(s) après injection de Gadolinium sur l'IRM cérébrale ou une augmentation significative de la charge lésionnelle en T2 par rapport à une IRM antérieure récente.

La Commission a également souligné qu'une surveillance des patients était nécessaire, conformément au RCP et PGR, en raison du profil de tolérance de GILENYA (fingolimod), notamment marqué par des troubles du rythme cardiaque, de convulsions et de cancer de la peau.

La spécialité TYSABRI (natalizumab) ne dispose pas d'AMM pédiatrique mais est néanmoins citée par le PNDS 2019 comme option thérapeutique en situation de 2ème ligne après échec des immunomodulateurs en cas de maladie sévère et d'évolution rapide. Il convient de contacter un centre de référence des maladies inflammatoires rares du cerveau et de la moelle pour l'utilisation de cette spécialité au sein de la population pédiatrique.

Place de TECFIDERA (diméthyle fumarate) dans la stratégie thérapeutique de traitement des enfants âgés de 13 ans et plus atteints de SEP-RR

TECFIDERA (diméthyle fumarate) est une alternative aux autres traitements de fond de première intention indiqués dans la SEP-RR chez les adolescents âgés de 13 ans et plus.

Comme pour chez l'adulte, la numération des lymphocytes avant mise sous traitement ainsi que la surveillance du risque de développement de lymphopénie tout au long du traitement est nécessaire. Des incertitudes sur les éventuels effets secondaires sur la croissance et la fertilité chez les enfants, en particulier pré-pubères, persistent.

Le résumé des caractéristiques du produit (RCP) et le Plan de Gestion des Risques (PGR) doivent être respectés.