

## JUSTIFICATIF

Dénomination Commune Internationale :  
**Facteur Willebrand humain**

Nom commercial :  
**WILFACTIN®**

OMEDIT IDF 2019

Version : 6

Création : Mai 2005  
Révision : Janvier 2019

### MEDICAMENT DERIVE DU SANG

#### Indication AMM

<http://agence-prd.ansm.sante.fr/php/ecodex/frames.php?specid=67624035&typedoc=R&ref=R0317464.htm>

- **Traitement et prévention des hémorragies et en situation chirurgicale dans la maladie de Willebrand quand le traitement, par la desmopressine (DDAVP) seule, est inefficace ou contre-indiqué.**

**⚠ Wilfactin® ne doit pas être utilisé dans le traitement de l'hémophilie A.**

**AMM** (procédure nationale) ■ 30/09/2003 ; 19/06/2013 (rectificatif AMM)

**HAS/Avis CT** ■ 14/01/2004 (1000UI/10ml); 01/10/2014 (500UI/5ml; 2000UI/20ml)

#### SMR important, ASMR V

- format 1000UI/10ml (avis de 2004): pas d'amélioration par rapport au facteur Willebrand LFB. Wilfactin® apporte des garanties supplémentaires en termes de sécurité biologique mais ne démontre pas de bénéfice clinique pour les patients par rapport au facteur Willebrand LFB.  
- formats 500UI/5ml et 2000UI/20ml (avis de 2014): pas d'amélioration par rapport à la présentation 1000UI/10ml. La présentation de 5 ml est adaptée aux enfants et celle de 20 ml permettra de réduire le nombre de flacons à reconstituer.

**Agrément aux coll.** ■ JO 24/02/2004 (1000UI/10ml); JO 28/10/2014 (500UI/5ml; 2000UI/20ml)

**Liste en sus** ■ JO 10/05/2005 (1000UI/10ml); JO 18/11/2014 (500UI/5ml; 2000UI/20ml)

**Rétrocession** ■ JO 26/12/2004 (1000UI/10ml); JO 03/02/2015 (500UI/5ml; 2000UI/20ml)

#### Pertinence scientifique :

► **HAS/Protocole National de Diagnostic et de Soins relatif à la maladie de Willebrand et argumentaire** (09/2018). Dans ce PNDS, un point particulier concerne notamment la MW de type 3 avec allo-anticorps anti-vWF : « *Les thérapeutiques utilisées chez le patient MW type 3 qui a développé un allo anticorps anti VWF sont actuellement considérées par l'ANSM et la HAS comme des situations hors AMM pour lesquelles l'insuffisance de données ne permet pas d'évaluer le rapport bénéfice/risque. Les indications sont à discuter au cas par cas en recueillant dans la mesure du possible l'avis du centre de référence. Ces avis seront colligés dans le dossier médical du patient* ».

#### ► HAS/Avis CT du 14/01/2004

- Etude européenne, de phase II-III. L'efficacité du traitement des épisodes hémorragiques et de la prophylaxie des actes invasifs et chirurgicaux a été évaluée selon une échelle de cotation qualitative (excellente, bonne, modérée, non efficace) à 6 et 24h par l'investigateur après le 1<sup>er</sup> traitement de l'épisode hémorragique ou après la procédure chirurgicale ou l'acte invasif. Dans les épisodes hémorragiques, l'efficacité du traitement a été jugée excellente dans 5 cas et modérée dans 1 cas. Dans la prophylaxie chirurgicale, l'efficacité du traitement a été jugée excellente dans 15 cas et bonne dans 6 cas. Concernant l'efficacité des injections prophylactiques à long terme, celle-ci a été évaluée sur la comptabilisation du nombre d'épisodes hémorragiques survenus. Chez les 2 enfants (131 injections au total) bénéficiant d'une prophylaxie à long terme, 2 épisodes d'épistaxis ont été rapportés chez le même enfant 33h et 25h après une injection (aucun cas d'hémarthrose observé)

- Etude française, de phase III (résultats intermédiaires). L'efficacité a été évaluée selon une échelle de cotation qualitative (excellente, bonne, modérée, non efficace) à 6 et 24h après

**JUSTIFICATIF**

Dénomination Commune Internationale :  
**Facteur Willebrand humain**

Nom commercial :  
**WILFACTIN®**

OMEDIT IDF 2019

Version : 6

Création : Mai 2005  
Révision : Janvier 2019

le 1<sup>er</sup> traitement, par le patient pour les épisodes hémorragiques mineurs et par l'investigateur et le chirurgien pour les épisodes hémorragiques sévères et les procédures chirurgicales et invasives. Dans les épisodes hémorragiques mineurs (12 patients traités pour 56 épisodes), l'efficacité a été jugée bonne ou excellente dans 87% des cas à 6h et 94,5% à 24h après injection. Dans les épisodes hémorragiques sévères (5 patients traités pour 7 épisodes), l'efficacité a été jugée excellente pour 2 cas, bonne pour 3 cas et modérée pour 1 cas (un épisode hémorragique non analysé). Dans la prophylaxie chirurgicale au cours des actes programmés, l'efficacité du traitement a été jugée excellente dans 27 cas et bonne dans 4 cas. Dans la prophylaxie chirurgicale au cours des procédures invasives, aucune hémorragie n'a été observée. Concernant l'efficacité des injections prophylactiques à court et long terme, celle-ci a été évaluée sur la comptabilisation du nombre d'épisodes hémorragiques. Pour la prophylaxie à court terme (40 injections chez 5 patients), aucun épisode hémorragique n'a été observé. Pour la prophylaxie à long terme (138 injections pour 3 patients ayant une maladie de Willebrand de type 3), 3 épisodes hémorragiques ont été signalés par l'adulte et 2 après un traumatisme chez l'enfant.

### Références

Federici AB Mazurier C, Berntorp E et al. Biologic response to desmopressin in patients with severe type 1 and type 2 von Willebrand disease: results of a multicentric European study. *Blood* 2004; 103 (6): 2032-2038.  
Mannucci M Treatment of von Willebrand's disease. *N Engl J Med* 2004 ; 351(7) : 683-694.