

JUSTIFICATIF

Dénomination Commune Internationale :
**Immunoglobuline équine
anti-lymphocyte T humain**

Nom commercial :
ATGAM® (eATG)

OMEDIT IDF 2024

Version : 1

Création : Février 2024
Révision :

INDICATION AMM EMA – RCP Atgam®

- **Traitement immunosuppresseur standard, pour le traitement des formes modérées à sévères d'aplasie médullaire acquise d'étiologie immunologique connue ou suspectée chez les adultes et les enfants ≥ 2 ans qui ne peuvent pas recevoir une greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH) ou pour lequel un donneur compatible de cellules souches hématopoïétiques (CSH) n'est pas disponible.**

AMM européenne	■ 24/01/2022
Avis HAS/CT	■ 20/07/2022
Agrément aux collectivités	■ JO 06/02/2024
Inscription liste en sus	■ JO 06/02/2024

SMR important, ASMR IV (mineure) par rapport à la Thymoglobuline

Place dans la stratégie thérapeutique : association ATGAM (eATG) et ciclosporine est le traitement de référence à utiliser en **1^{ère} intention**

Pertinence scientifique :

► **Etude 3-197 (Champlin et al. 1983)** : monocentrique, randomisée, comparative, menée en aveugle ayant évalué l'efficacité d'ATGAM (eATG) en monothérapie versus soins de support dans le traitement de l'aplasie médullaire modérée à sévère. 41 patients âgés de 6 à 70 ans ont été inclus (21 dans le groupe ATGAM et 20 dans le groupe contrôle). L'aplasie médullaire était sévère chez 68,3 % des patients inclus. Selon l'évaluation par l'investigateur, une différence statistiquement significative a été observée entre les deux groupes en termes de réponse hématologique, à 3 mois de suivi : une amélioration des paramètres hématologiques a été observée chez plus de la moitié des patients du groupe ATGAM (11 patients/21) et chez aucun patient du groupe contrôle ($p=0,0005$).

► **Etude Scheinberg et al. (2011)** : phase II, de supériorité, randomisée, monocentrique, en ouvert, ayant évalué l'efficacité et la tolérance de l'immunoglobuline de lapin anti-thymocytes humains (rATG) en association à la ciclosporine versus ATGAM (eATG) associée à la ciclosporine chez les patients atteints d'une aplasie médullaire sévère et naïfs de tout traitement. 120 patients ont été inclus (60 dans le groupe ATGAM et 60 dans le groupe THYMOGLOBULINE). Le taux de réponse hématologique (=critère de jugement principal)¹, à 6 mois, était de 68 % dans le groupe ATGAM (IC95% = [56 à 80]) versus 37 % dans le groupe THYMOGLOBULINE (IC95% = [24-49]), $p<0,001$. La majorité des patients répondeurs ont obtenu une réponse dès 3 mois (seuls 4 patients dans le groupe ATGAM (eATG) et 2 dans le groupe THYMOGLOBULINE ont obtenu une réponse entre 3 et 6 mois).

► **HAS/PNDS (01/03/2023) relatif aux aplasies médullaires acquises et constitutionnelles (Maladies Rares Immuno-Hématologiques)**.

SITUATION HORS AMM POUR LESQUELS UNE ANALYSE DE LA LITTÉRATURE A ETE REALISEE A UN TEMPS T

- **Traitement immunosuppresseur de l'aplasie médullaire modérée chez l'enfant à partir de 3 mois.**

► **HAS/PNDS (01/03/2023) relatif aux aplasies médullaires acquises et constitutionnelles (Maladies Rares Immuno-Hématologiques)**

« Chez l'enfant, une évaluation précoce du traitement par ATGAM-ciclosporine peut être proposée à 3 mois afin de décider rapidement d'une allogreffe phéno-identique en cas d'échec complet (absence de réponse) avec pour objectif que la greffe soit réalisée entre 5 et 6 mois du SAL si l'échec est confirmé. »

¹ L'amélioration hématologique est définie par une amélioration par rapport aux valeurs à l'inclusion du taux de PNN d'au moins 0,5 G/L, du taux des plaquettes d'au moins 30 G/L ou la non nécessité des transfusions de globules rouges.

JUSTIFICATIF

Dénomination Commune Internationale :
**Immunoglobuline équine
anti-lymphocyte T humain**

Nom commercial :
ATGAM® (eATG)

OMEDIT IDF 2024

Version : 1

Création : Février 2024
Révision :

Références

[Champlin R, Ho W, Gale RP. Antithymocyte globulin treatment in patients with aplastic anemia: a prospective randomized trial. N Engl J Med. 1983;308\(3\):113-8.](#)

[Scheinberg P, Nunez O, Weinstein B, Scheinberg P, Biancotto A, Wu CO, et al. Horse versus rabbit antithymocyte globulin in acquired aplastic anemia. N Engl J Med. 2011;365\(5\):430-8.](#)