omedit ILE DE FRANCE

JUSTE PRESCRIPTION
Ile-de-France

JUSTIFICATIF

Dénomination Commune Internationale :

SEBELIPASE ALFA

Nom commercial :

KANUMA®

Médicament orphelin

OMEDIT IDF 2019

Version 2

Création : Août 2019
Révision : Février 2021

INDICATION AMM

- **Traitement enzymatique substitutif (TES) à long terme chez des patients de tout âge atteints d'un déficit en lipase acide lyposomale (LAL)**
  - Formes **rapidement progressives** de déficit en LAL, débutant chez le nourrisson

AMM européenne	■ 28/08/2015
Avis HAS/CT	■ 19/07/2017
Agrément collectivités	■ JO 09/08/2019
Liste en sus	■ JO 09/08/2019

SMR important ; ASMR III (modérée) dans les formes rapidement progressives de déficit en LAL, débutant chez le nourrisson.

Place dans la stratégie thérapeutique : Traitement de **1ère intention,** particulièrement dans la perspective d'une greffe de cellules souches hématopoïétique (CSH), dont l'instauration sera aussi précoce que possible. La place après greffe de CSH n'est pas standardisée.

Pertinence scientifique :

► LAL-CL03 : étude de phase II/III, d'escalade de doses, ouverte chez des nourrissons (n=9) traités par Kanuma®. Le critère de jugement principal était le pourcentage de patients survivants à l'âge de 12 mois. 6 des 9 nourrissons (67%) étaient en vie à 12 mois.

►LAL-CL08 : étude de phase II, ouverte, de dose répétée chez 10 nourrissons évaluant la tolérance de Kanuma®. A 12 mois, 8 patients sur 10 étaient en vie.

- **Traitement enzymatique substitutif (TES) à long terme chez des patients de tout âge atteints d'un déficit en lipase acide lyposomale (LAL)**
  - **Formes autres que les formes rapidement progressives** de déficit en LAL, débutant chez le nourrisson.

AMM européenne	■ 28/08/2015
Avis HAS/CT	■ 19/07/2017
Agrément collectivités	■ JO 29/11/2017
Liste en sus	■ NON

SMR faible ; ASMR V (absence) dans le traitement des formes autres que les formes rapidement progressives, **ayant débuté chez enfant, à partir de 2 ans, ou chez l'adulte.**

Place dans la stratégie thérapeutique : Non établie

Pertinence scientifique :

► LAL-CL02/ARISE :

- étude de phase III, randomisée en double aveugle évaluant l'efficacité de Kanuma® (n=36) versus placebo (n=30) chez des patients atteints d'un déficit en lipase acide lyposomale ayant débuté chez l'enfant (à partir de 2 ans) et chez l'adulte. Le critère de jugement principal est la normalisation des ALAT après 20 semaines de traitement. La normalisation a été observée dans 31% des cas dans le groupe Kanuma® versus 7% dans le groupe placebo soit une différence de 24% [p=0,0271].

Références :

Burton BK, Balwani M, Feillet F et al, A Phase 3 Trial of Sebelipase Alfa in Lysosomal Acid Lipase Deficiency. N Engl J Med. 2015 Sep 10;373(11):1010-20. doi: 10.1056/NEJMoa1501365.

Jones SA, Rojas-Caro S, Quinn AG et al, Survival in infants treated with sebelipase Alfa for lysosomal acid lipase deficiency: an open-label, multicenter, dose-escalation study. Orphanet J Rare Dis. 2017 Feb 8;12(1):25. doi: 10.1186/s13023-017-0587-3.