



## JUSTIFICATIF

Dénomination Commune Internationale :

**LUMASIRAN**

Nom commercial :

**OXLUMO®**

OMEDIT IDF 2024

Version : 1

Création : Février 2024

Révision :

### INDICATION AMM

EMA - RCP [Oxlumo®](#)

- **Traitement de l'hyperoxalurie primitive de type 1 (HP1) dans tous les groupes d'âge.**

AMM européenne	■ 19/11/2020
Avis HAS/CT	■ <a href="#">21/04/2021</a>
Agrément aux collectivités	■ <a href="#">JO 20/02/2024</a>
Inscription liste en sus	■ <a href="#">JO 20/02/2024</a>

**SMR important, ASMR III (modérée)** dans la stratégie thérapeutique actuelle de l'HP1

**Place dans la stratégie thérapeutique :** traitement de 1<sup>ère</sup> intention dans le traitement de l'HP1 chez les patients de tous âges. Il est le seul médicament à avoir l'AMM en France dans cette indication

#### Pertinence scientifique :

► **[Etude ILLUMINATE A \(ALN-G01-003\)](#)**: phase III, de supériorité, multicentrique, contrôlée, randomisée, en double-aveugle, en groupe parallèle, comparatif versus placebo, stratifiée sur le taux urinaire d'oxalate ( $\leq 1,70$  ou  $> 1,70$  mmol/24h/1,73m<sup>2</sup>), avec une période d'extension à long terme en cours. L'objectif est de démontrer la supériorité du lumasiran versus placebo sur le pourcentage de réduction de l'excrétion urinaire d'oxalate chez des patients âgés de 6 ans ou plus atteints d'HP1. Au total, 39 patients ont été randomisés et traités dans l'étude : 13 dans le groupe placebo et 26 dans le groupe lumasiran. Après 6 mois de traitement (phase principale), le taux urinaire d'excrétion d'oxalate sur 24 heures rapporté à la surface corporelle (critère de jugement principal) a été significativement réduit dans le groupe lumasiran par rapport au groupe placebo : - 65,4% contre - 11,8%, soit une différence moyenne absolue de - 53,5% ([-62,3 ; -44,8] ;  $p < 0,0001$ ).

► **[Etude ILLUMINATE B \(ALN-G01-004\)](#)**: phase III, multicentrique, en ouvert, non comparative, avec une période d'extension à long terme en cours. L'objectif est d'évaluer l'effet du lumasiran sur l'excrétion urinaire d'oxalate chez les nourrissons et les enfants âgés  $< 6$  ans atteints d'HP1 (n=18). Le taux d'excrétion urinaire d'oxalate, mesuré par le rapport oxalate/créatinine (critère de jugement principal), a été réduit en moyenne après 6 mois de traitement de -71,7% ([-77,5 ; -66,4]) : -84% chez les patients  $< 10$  kg, -69% chez les patients entre 10 et  $< 20$  kg et -70% chez les patients  $\geq 20$  kg.

► **[HAS / PNDS relatif à l'hyperoxalurie](#)** (Centres de référence des maladies rénales rares, sous l'égide de la filière [ORKiD](#) - 12/2022)

#### Références bibliographiques

[Hayes W, Sas DJ, Magen D, Shasha-Lavsky H, Michael M, Sellier-Leclerc AL, Hogan J, Ngo T, Sweetser MT, Gansner JM, McGregor TL, Frishberg Y. Efficacy and safety of lumasiran for infants and young children with primary hyperoxaluria type 1: 12-month analysis of the phase 3 ILLUMINATE-B trial. Pediatr Nephrol. 2023 Apr;38\(4\):1075-1086. doi: 10.1007/s00467-022-05684-1. Epub 2022 Aug 1.](#)

[Garrelfs SF, Frishberg Y, Hulton SA, Koren MJ, O'Riordan WD, Cochat P, Deschenes G, Shasha-Lavsky H, Saland JM, Van't Hoff WG, Fuster DG, Magen D, Mochhala SH, Schalk G, Simkova E, Groothoff JW, Sas DJ, Meliambro KA, Lu J, Sweetser MT, Garg PP, Vaishnav AK, Gansner JM, McGregor TL, Lieske JC; ILLUMINATE-A Collaborators. Lumasiran, an RNAi Therapeutic for Primary Hyperoxaluria Type 1. N Engl J Med. 2021 Apr 1;384\(13\):1216-1226. doi: 10.1056/NEJMoa2021712.](#)

[Sas DJ, Magen D, Hayes W, Shasha-Lavsky H, Michael M, Schulte I, Sellier-Leclerc AL, Lu J, Seddighzadeh A, Habtemariam B, McGregor TL, Fujita KP, Frishberg Y; ILLUMINATE-B Workgroup. Phase 3 trial of lumasiran for primary hyperoxaluria type 1: A new RNAi therapeutic in infants and young children. Genet Med. 2022 Mar;24\(3\):654-662. doi: 10.1016/j.gim.2021.10.024. Epub 2021 Dec 8.](#)