

Médicament faisant l'objet d'un plan de gestion des risques et d'une surveillance renforcée ▼

12/2010 : EMA/Désignation médicament orphelin.

05/2015 : ANSM/Octroi ATU de cohorte.

07/2015 : HAS/Avis du collège de la HAS portant sur l'identification d'alternatives thérapeutiques prises en charge par les régimes obligatoires de sécurité sociale → **indication proposée par le CHMP est identique à celle définie dans l'ATU de cohorte** (avis du 22/07/2015).

08/2015 : EMA/AMM européenne dans le traitement enzymatique substitutif à long terme chez des patients de tout âge atteints d'un déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D).

11/2015 : ANSM/Fin ATU de cohorte (27/11/2015).

03/2016 : Modalités de financement/Les indications de ce médicament ne sont pas éligibles à une prise en charge dans le cadre du dispositif post-ATU (selon l'Art. L. 162-16-5-2 du Code de la SS), en raison de la non conduite jusqu'à son terme, par le laboratoire, de la demande d'inscription sur la liste mentionnée au premier alinéa de l'article L. 5123-2 du code de la santé publique (demande de retrait auprès de la HAS du dossier par le laboratoire le 11/03/2016, cf avis HAS/CT du 19/07/2017).

07/2017 : Avis HAS/CT (avis 19/07/2017) :

- Traitement enzymatique substitutif à long terme des **formes rapidement progressives** LAL-D, **débutant chez le nourrisson** → **SMR important, ASMR III**
- Traitement enzymatique substitutif à long terme des **autres formes** de LAL-D, ayant débuté chez l'enfant, à partir de 2 ans, ou chez l'adulte → **SMR faible, ASMR V.**
- **Recommandations :**
 - **Demandes de données** → l'ensemble des patients traités par KANUMA doivent être suivis dans un **registre** (donc exhaustif) afin de suivre l'efficacité et la tolérance de ce médicament sur des critères cliniquement pertinents (atteinte hépatique, transplantation, réduction du LDL-cholestérol, événements cardiovasculaires) pour *in fine* se prononcer sur le bien-fondé de la poursuite du remboursement de cette spécialité dans le déficit en lipase acide lysosomale.
 - **Conditions de prescription** → la décision d'instauration du traitement doit être réalisée dans un **centre de référence ou de compétence dédié aux maladies lysosomales.**
 - **Conditionnement** → le conditionnement n'est pas adapté **aux formes du nourrisson.** Un conditionnement **réduit** devrait être développé pour ces formes de déficit en sebelipase alpha.

11/2017 : JO/Agrément aux collectivités de l'indication « traitement enzymatique substitutif (TES) à long terme **dans les formes autres** que les formes rapidement progressives de déficit en lipase acide lysosomale (LAL), débutant chez le nourrisson » (JO 29/11/2017).

08/2019 : JO/ Agrément aux collectivités, inscription sur la liste en sus (et publication tarif de responsabilité) de l'indication « traitement enzymatique substitutif (TES) à long terme, **des formes rapidement progressives** de déficit en lipase acide lysosomale (LAL), débutant chez le nourrisson ». (JO 09/08/2019).

12/2020 : EMA/Mises à jour EPAR relatives :

- à l'intégration de **données de pharmacocinétique**, de données issues d'**études cliniques** (LAL-CL04, LAL-CL03, LAL-CL06, LAL-CL08 and LAL-CL02), de données d'**immunogénicité**
- Nouvelles recommandations posologiques : **adaptation posologique** en fonction de la réponse clinique chez le nourrisson, l'enfant, et l'adulte.
- aux **effets indésirables.**

04/2021 : ANSM / Mesures additionnelles de réduction du risque (guide à destination des professionnels de santé + 2 formulaires pour les demandes de dosages d'Ac anti-médicament)

08/2023 : EMA / MAJ EPAR relatives à la posologie et au volume de perfusion recommandés