

Résumé de la journée du CRMR Aplasie du 9 octobre 2020

Partie 2

Nouveaux traitements (Pr de Latour)

HPN :

Le **ravulizumab** qui agit de la même manière que l'eculizumab mais à une durée d'action plus longue (perfusion toutes les 8 semaines) a obtenu un avis favorable de la commission de transparence. Les discussions sont en cours avec la commission fixant le prix du traitement et une commercialisation est espérée en 2021 (pas de date connue à ce jour).

Plusieurs autres molécules ont été évaluées dans le cadre d'études non comparatives :

- 1) Le **crovalimab** qui est un anticorps monoclonal ciblant le C5 également (même mécanisme que le soliris) mais qui s'administre par voie sous cutanée semble avoir une efficacité similaire à l'eculizumab. Il n'a pas encore d'autorisation de mise sur le marché (AMM). Une étude de phase 3 internationale débute et inclura des patients jamais exposé à un inhibiteur du complément ainsi que des patients déjà sous Eculizumab.
- 2) Le **Pegcetacoplan** (inhibiteur du C3, en SC deux fois par semaine, en amont du C5 dans la cascade du complément) qui semble avoir une efficacité supérieure à l'eculizumab chez les patients encore anémiques sous eculizumab. Ces données doivent être confirmées sur un suivi long terme. Il n'a pas encore d'autorisation de mise sur le marché (AMM).
- 3) Le **LNP023** (inhibiteur oral du facteur B, en amont du C5 dans la cascade du complément) en association avec l'eculizumab semble être très efficace chez des patients ayant une hémolyse persistante responsable d'une anémie sous eculizumab. Ces données doivent être confirmées par une étude comparative de plus grande importance qui débutera début 2021 chez les sujets naïfs (jamais exposé à un inhibiteur du complément) et aussi chez les patients déjà sous Eculizumab. Il n'a pas encore d'autorisation de mise sur le marché (AMM).
- 4) Le **Danicopan** (inhibiteur oral du facteur D, en amont du C5 dans la cascade du complément) en association avec l'eculizumab semble aussi être très efficace chez des patients ayant une hémolyse persistante responsable d'une anémie sous eculizumab. Ces données doivent être confirmées par une étude comparative de plus grande importance. Il n'a pas encore d'autorisation de mise sur le marché (AMM).
