

AVIS DE LA COMMISSION

18 juin 2003

**REFACTO 2000 UI, poudre et solvant pour solution injectable**  
**Boîte de 1 flacon**

**WYETH LEDERLE**

moroctocog alfa

Liste I

Médicament soumis à prescription initiale hospitalière de 6 mois.

La délivrance est réservée aux pharmacies à usage intérieur des établissements de santé.

Date de l'AMM : 06 février 2003

Motif de la demande : Inscription Collectivités

## 1. CARACTERISTIQUES DU MEDICAMENT

### 1.1 Principe actif

moroctocog alfa

### 1.2 Originalité

REFACTO est un facteur VIII obtenu par génie génétique. Il s'agit d'un nouveau dosage à 2 000 UI.

### 1.3 Indication

Traitement et prophylaxie des épisodes hémorragiques chez les patients atteints d'hémophilie A (déficit congénital en facteur VIII)

REFACTO ne contient pas de facteur von Willebrand, et n'est donc pas indiqué chez les sujets atteints de la maladie de von Willebrand.

### 1.4 Posologie

Cf RCP

## 2. MEDICAMENTS COMPARABLES

### 2.1 Classement ATC 2003-1

B : Sang et organes hématopoïétiques  
02 : Antihémorragiques  
B : Vitamine K et autres hémostatiques  
D : Facteurs de la coagulation sanguine  
02 : Facteur VIII de coagulation

### 2.2 Médicaments de même classe pharmaco-thérapeutique

Médicaments de comparaison :

#### Produits recombinants :

octocog alfa (KOGENATE BAYER)  
octocog alfa (HELIXATE NEXGEN)  
octocog alfa (RECOMBINATE)

#### Produits d'origine plasmatisque :

facteur VIII (FACTANE)  
facteur VIII (HEMOPIL M)  
facteur VIII (MONOCLATE P)

## 2.3 Médicaments à même visée thérapeutique

D'autres produits sont utilisés pour les patients ayant développé un inhibiteur des facteurs.VIII ou IX au cours du traitement. Ce sont des facteurs du complexe prothrombique activés.

Concentrés prothrombiniques activés ou facteur VII activé :

- facteurs de coagulation (FEIBA)
- eptacog alfa activé (NOVOSEVEN)

# 3. ANALYSE DES DONNEES DISPONIBLES

## 3.1 Efficacité

Trois études principales ont montré :

- l'efficacité et la tolérance à long terme de REFACTO administré à la demande ou en prophylaxie chez 113 patients hémophiles sévères préalablement traités (PTPs)
- l'efficacité et la tolérance à long terme de REFACTO administré à la demande ou en prophylaxie chez 101 patients hémophiles sévères non préalablement traités (PUPs)
- l'efficacité et la tolérance de REFACTO chez 38 patients hémophiles sévères (dont 34 issus des études précédentes) nécessitant une intervention chirurgicale (CHIR)

Le suivi des patients inclus dans les études PTP et PUP est supérieur à 5 ans.

Dans l'étude PTP, un patient a développé un inhibiteur du facteur VIII.

Dans l'étude PUP, 32% des patients ont développé un inhibiteur du facteur VIII.

L'efficacité et la tolérance de REFACTO sont considérées comme équivalentes à celles des facteurs VIII recombinants commercialisés.

## **4. CONCLUSIONS DE LA COMMISSION DE LA TRANSPARENCE**

### **4.1 Service médical rendu**

L'hémophilie A est responsable d'hémorragies qui peuvent être graves et engager le pronostic vital ;

Cette spécialité entre dans le cadre d'un traitement à visée curative ;

Le rapport efficacité/effets indésirables est important ;

Il s'agit d'un médicament de première intention ;

Il existe des alternatives thérapeutiques ;

Le niveau de service médical rendu par REFACTO est important.

### **4.2 Amélioration du service médical rendu**

REFACTO 2000 UI, poudre et solvant pour solution injectable, est un dosage complémentaire à REFACTO (250 UI, 500 UI, 1000 UI) poudre et solvant pour solution injectable.

### **4.3 Place dans la stratégie thérapeutique**

Le traitement substitutif fait appel aux concentrés de facteurs antihémophiliques d'origine plasmatique ou recombinante. Le traitement prophylactique vise à éviter les accidents hémorragiques de la vie courante ou lors d'intervention chirurgicale. Les doses et le rythme des perfusions de concentrés antihémophiliques sont variables en fonction du degré du déficit en facteur hémophilique.

### **4.4 Population cible**

La prévalence de l'hémophilie en France est estimée à 5 000 patients parmi lesquels près de 85 % présentent une hémophilie A, soit 4 250 patients.

### **4.5 Recommandations de la Commission de la Transparence**

Avis favorable à l'inscription sur la liste des médicaments agréés à l'usage des collectivités et divers services publics.