



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

## COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

### AVIS

### 20 AVRIL 2022

*simoctocog alfa*  
NUWIQ 1 500 UI, poudre et solvant pour solution injectable

Mise à disposition d'une nouvelle présentation

#### ► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement et prophylaxie des épisodes hémorragiques chez les patients atteints d'hémophilie A (déficit congénital en facteur VIII).

#### ► Quel progrès ?

Pas de progrès par rapport aux autres présentations de NUWIQ (simoctocog alfa) déjà disponibles.

## 01 CONTEXTE

---

Il s'agit de la mise à disposition d'une nouvelle présentation de la spécialité NUWIQ (simoctocog alfa), poudre et solvant pour solution injectable, dosée à 1500 UI, en complément des présentations déjà inscrites aux Collectivités dosées à 250 UI, 500 UI, 1000 UI, 2000 UI, 2500 UI, 3000 UI et 4000 UI.

Pour rappel, dans ses avis du 22 juillet 2015<sup>1</sup> et du 13 juin 2018<sup>2</sup>, la Commission a octroyé à NUWIQ (simoctocog alfa) un service médical rendu important dans l'indication de l'AMM.

## 02 INDICATION

---

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

NUWIQ peut être administré à tous les groupes d'âges. »

## 03 COMPARATEURS CLINIQUEMENT PERTINENTS

---

Les comparateurs cliniquement pertinents de NUWIQ (simoctocog alfa), poudre et solvant pour solution injectable sont nombreux et comprennent des spécialités princeps. Ce sont les autres présentations actuellement remboursables de NUWIQ (simoctocog alfa) ainsi que les autres thérapeutiques recommandées (concentrés de FVIII, anticorps monoclonal<sup>3</sup>) dans l'indication de l'AMM.

## 04 CONCLUSIONS DE LA COMMISSION

---

**Considérant l'ensemble de ces données et informations et après débat et vote, la Commission estime :**

### 04.1 Service Médical Rendu

- ▶ L'hémophilie A est une maladie génétique hémorragique constitutionnelle de transmission récessive liée à l'X et résultant d'un déficit en facteur de coagulation VIII. Elle se caractérise principalement par des hémorragies articulaires (hémarthroses) et musculaire (hématomes) spontanées ou des saignements prolongés faisant suite à un traumatisme. Cette pathologie est généralement grave, pouvant menacer le pronostic vital.
- ▶ La spécialité NUWIQ (simoctocog alfa) est un médicament à visée curative et préventive.
- ▶ Le rapport efficacité/effets indésirables est important.
- ▶ Il existe des alternatives thérapeutiques.
- ▶ Il s'agit d'un traitement de 1<sup>ère</sup> intention.

---

<sup>1</sup> Avis de la Commission de la Transparence relatif à NUWIQ 250 UI, 500 UI, 1000 UI, 2000 UI, poudre et solvant pour solution injectable, du 22 juillet 2015. Disponible sur :

[https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-14143\\_NUWIQ\\_PIC\\_INS\\_Avis2\\_CT14143.pdf](https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-14143_NUWIQ_PIC_INS_Avis2_CT14143.pdf)

<sup>2</sup> Avis de la Commission de la Transparence relatif à NUWIQ 2500 UI, 3000 UI, 4000 UI, poudre et solvant pour solution injectable, du 13 juin 2018. Disponible sur :

[https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-16968\\_NUWIQ\\_QD\\_INS\\_AVIS2\\_CT16968.pdf](https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-16968_NUWIQ_QD_INS_AVIS2_CT16968.pdf)

<sup>3</sup> Chez les patients sans inhibiteurs du FVIII, HEMLIBRA (emicizumab) a uniquement l'AMM en prophylaxie des épisodes hémorragiques chez les patients atteints d'hémophilie A sévère.

### **Intérêt de santé publique**

NUWIQ 1500 UI (simoctocog alfa), poudre et solvant pour solution injectable, n'est pas susceptible d'avoir un impact supplémentaire sur la santé publique par rapport aux autres présentations de NUWIQ (simoctocog alfa) déjà inscrites.

**La Commission considère que le service médical rendu par NUWIQ 1 500 UI (simoctocog alfa), poudre et solvant pour solution injectable, est important dans l'indication de l'AMM.**

**La Commission donne un avis favorable à l'inscription sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités dans l'indication « Traitement et prophylaxie des épisodes hémorragiques chez les patients atteints d'hémophilie A » et aux posologies de l'AMM.**

## **04.2 Amélioration du Service Médical Rendu**

**Cette spécialité est un complément de gamme qui n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport aux autres présentations déjà inscrites.**

## **05 POPULATION CIBLE**

---

L'introduction de ce complément de gamme dans la stratégie thérapeutique du traitement et de la prophylaxie des épisodes hémorragiques chez les patients atteints d'hémophilie A n'est pas de nature à modifier la population cible des patients relevant d'un traitement par les spécialités NUWIQ (simoctocog alfa), poudre et solvant pour solution injectable.

## **06 RECOMMANDATIONS DE LA COMMISSION**

---

### **► Conditionnement**

Il est adapté aux conditions de prescription selon l'indication, la posologie et la durée de traitement.

## 07 INFORMATIONS ADMINISTRATIVES ET REGLEMENTAIRES

<b>Calendrier d'évaluation</b>	Date de validation administrative* : 22/03/2022 Date d'examen et d'adoption : 20/04/2022
<b>Présentations concernées</b>	<u>NUWIQ 1500 UI, poudre et solvant pour solution injectable</u> Boîte de 1 flacon de poudre + 1 seringue préremplie de 2,5 ml (CIP : 34009 550 880 8 0)
<b>Demandeur</b>	OCTAPHARMA France SAS
<b>Listes concernées</b>	Collectivités (CSP L.5123-2)
<b>AMM</b>	Date initiale (AMM par procédure centralisée) : 06/01/2022
<b>Conditions de prescription et de délivrance / statut particulier</b>	Liste I Médicament à prescription initiale hospitalière (PIH) de 6 mois Le médicament doit être administré sous la surveillance d'un médecin expérimenté dans le traitement de l'hémophilie. Délivrance réservée aux pharmacies à usage intérieur des établissements de santé
<b>Code ATC</b>	B Sang et organes hématopoïétiques B02 Antihémorragiques B02BD Facteur de la coagulation sanguine B02BD02 Facteur VIII de coagulation, recombinant

\* : cette date ne tient pas compte des éventuelles périodes de suspension pour incomplétude du dossier ou liées à la demande du laboratoire