DECISION DE COHORTE

Dossier: 1059

Aspaveli

(pegcetacoplan)

1080MG solution pour perfusion

|  |
| --- |
| **COHORTE MIXTE** |

## indication thErapeutique

Pegcetacoplan pour le traitement des bénéficiaires atteints d’une glomérulopathie à dépôts de C3 (C3G).

## DESCRIPTION DE LA COHORTE

|  |
| --- |
| **Description de la cohorte** |
| Critères d’inclusion |
| 1. Le patient n’est pas éligible pour une étude clinique avec le pegcetacoplan ou un autre médicament expérimental (IMP) pour l’indication MNP.
 |
| 1. Le patient n’est pas éligible à un traitement ou ne peut pas être traité de manière adéquate selon les directives cliniques, en raison de problèmes d’efficacité et/ou de sécurité, avec une autre thérapie pharmaceutique disponible commercialement en Belgique **ET** remboursée pour l’indication MNP.
 |
| 1. Patients adultes âgés d’au moins 18 ans et patients adolescents (12–17 ans) pesant au moins 30 kg
 |
| 1. Diagnostic confirmé de C3G (avec ou sans antécédent de transplantation rénale)\*.
 |
| 1. Preuve de maladie rénale active, basée sur un ou plusieurs des critères suivants :
2. Chez les patients ayant subi une biopsie rénale (réalisée dans les 28 semaines précédant la demande d’inclusion dans le MNP), une coloration C3c d’au moins 2+ sur la biopsie.
 |
| 1. Pas plus de 50 % de glomérulosclérose globale ou de fibrose interstitielle sur la biopsie la plus récente disponible.
 |
| 1. Le patient présente une réponse limitée aux schémas thérapeutiques pour le C3G, pouvant inclure des stéroïdes, du mycophénolate mofétil et/ou d’autres immunosuppresseurs.
 |
| 1. Protéinurie d’au moins 1 g/j lors d’une collecte d’urine sur 24 heures pendant le dépistage et un uPCR d’au moins 1000 mg/g sur au moins deux échantillons d’urine ponctuels recueillis le matin pendant le dépistage.
 |
| 1. eGFR ≥ 30 ml/min/1,73 m² calculé avec la formule de la Chronic Kidney Disease-Epidemiology Collaboration pour les adultes ou la formule Bedside Schwartz pour les adolescents.
 |
| 1. Capacité à comprendre et à suivre les exigences, restrictions et instructions du traitement (selon l’évaluation du médecin traitant).
 |
| 1. Disposition et capacité à s’auto-administrer le pegcetacoplan ou à disposer d’un soignant désigné pouvant effectuer l’administration.
 |
| 1. Les participants ayant l’âge légal pour donner leur consentement, conformément à la réglementation locale, doivent être disposés et capables de fournir un consentement éclairé. Le représentant légal des participants n’ayant pas l’âge requis doit être disposé et capable de fournir un consentement éclairé ; si applicable, les participants mineurs doivent également donner leur assentiment pour le traitement par pegcetacoplan dans le cadre de cette étude.
 |
| 1. Avoir reçu les vaccins contre *Streptococcus pneumoniae*, *Neisseria meningitidis* (types A, C, W, Y et B) et *Haemophilus influenzae* (type B) selon les recommandations du CSS-HGR pour les adultes ou enfants présentant des déficits du complément et/ou des affections immunodéprimantes. Tous les patients doivent être vaccinés contre ces bactéries au moins 2 semaines avant l’administration du pegcetacoplan, sauf si le risque de retarder le traitement est supérieur au risque d’infection. Si l’administration du pegcetacoplan doit commencer moins de 2 semaines après la vaccination, un traitement antibiotique prophylactique doit être instauré et poursuivi jusqu’à 2 semaines après la vaccination.
 |
| 1. Les femmes en âge de procréer doivent avoir un test de grossesse négatif lors de l’inclusion dans ce programme et accepter d’utiliser des méthodes contraceptives appropriées pendant toute la durée du programme et jusqu’à au moins 8 semaines après la dernière administration de pegcetacoplan.
 |
| 1. Les hommes doivent accepter d’utiliser des méthodes contraceptives appropriées et de s’abstenir de tout don de sperme pendant toute la durée du programme.
 |

|  |
| --- |
| Critères d’exclusion |
| 1. Patients qui se sont retirés ou ont interrompu leur participation à une étude clinique avec le pegcetacoplan.
 |
| 1. C3G secondaire à une autre affection (par exemple : infection récente, malignité, gammapathie monoclonale, maladie auto-immune systémique telle que le lupus érythémateux systémique, rejet chronique médié par les anticorps, ou un médicament), selon l’avis de l’investigateur.
 |
| 1. Hypersensibilité au pegcetacoplan ou à l’un de ses excipients.
 |
| 1. Patients atteints d’intolérance héréditaire au fructose.
 |
| 1. Antécédents ou présence de comorbidité qui, selon le médecin traitant, pourrait représenter un risque trop élevé lors de l’administration du pegcetacoplan.
 |
| 1. Antécédents connus d’abus d’alcool ou de drogues au cours de l’année écoulée.
 |
| 1. Femmes enceintes ou allaitantes.
 |
| 1. Infection grave non résolue causée par des bactéries encapsulées, notamment *Streptococcus pneumoniae*, *Neisseria meningitidis* et *Haemophilus influenzae*.
 |
| 1. Le patient présente un nombre absolu de neutrophiles inférieur à 1000 cellules/mm³.
 |
| 1. Participation en cours ou antérieure à une étude sur un médicament dans un délai correspondant à 5 demi-vies terminales du médicament étudié précédent ou 30 jours (selon la période la plus longue), avant la première administration de pegcetacoplan.
 |

En plus des critères mentionnés ci-haut retenus dans le cadre du MNP, les conditions supplémentaires suivantes doivent être remplies :

**Critères d’inclusion**

* **\*Diagnostic confirmé de C3G** sur une biopsie rénale du rein natif et/ou du rein greffé en cas de récidive, réalisée dans les 12 mois précédant la décision de débuter le traitement avec la spécialité à base d’iptacopan et/ou de pegcetacoplan.
* Traitement par une dose maximale tolérée d’un inhibiteur de l’enzyme de conversion de l’angiotensine (IEC) ou d’un antagoniste des récepteurs de l’angiotensine II (ARA II) pendant une période minimale de 3 mois.
* Concentration réduite de C3 < 77 mg/dl.

**Critères d’exclusion**

* Aucun traitement antérieur avec des spécialités remboursables pour le traitement du C3G, sauf en cas d’intolérance documentée et/ou de contre-indication et/ou d’échec d’un traitement précédent.

## SPECIALISATION DU PRESCRIPTEUR

Médecin spécialiste en médecine interne, titulaire du titre professionnel particulier en néphrologie.

## MONTANT DE L’INTERVENTION

|  |  |
| --- | --- |
| Aspaveli (pegcetacoplan), 1080mg solution pour perfusion Conditionnement : 1 flacon injectable (uniquement en milieu hospitalier) | **Montant de l’intervention (EURO)** |
| Intervention unique pour le CUP de cohorte mixte  | 20.000 € |
| Intervention par patient par période de 12 mois de traitement (à diminuer au prorata) | 2.500 € |