

SYNTHESE D'AVIS DE LA COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

FARYDAK (panobinostat), antinéoplasique

Pas d'avantage clinique démontré dans la prise en charge des patients atteints d'un myélome multiple en rechute et/ou réfractaire ayant déjà reçu au moins 2 lignes de traitement incluant du bortézomib et un agent immunomodulateur

L'essentiel

- ▶ FARYDAK a l'AMM dans le traitement du myélome multiple en rechute et/ou réfractaire, en association avec le bortézomib et la dexaméthasone chez des patients ayant déjà reçu au moins deux lignes de traitement antérieur incluant du bortézomib et un agent immunomodulateur.
- ▶ Son efficacité sur le taux de réponse globale, évaluée à partir de données non comparatives, a été modeste après 8 cycles de traitement. C'est un traitement de recours. La toxicité de l'association du panobinostat au bortézomib et à la dexaméthasone, en particulier gastro-intestinale et hématologique est importante.

Stratégie thérapeutique

- A partir de la deuxième rechute, il n'existe pas de traitement standard. La décision thérapeutique dépend de l'âge, des traitements antérieurs, de la durée de la première rémission et des circonstances de la rechute, de la disponibilité de cellules souches périphériques si le patient peut recevoir une intensification thérapeutique, de l'état général et des comorbidités. Des combinaisons incluant les immunomodulateurs, les corticoïdes, les anthracyclines, les alkylants, peuvent être proposées chez des patients ayant reçu 2 ou 3 lignes de traitement.
- Au-delà, chez les patients en phase très avancée, lourdement prétraités, réfractaires, les options thérapeutiques sont limitées et les patients sont le plus souvent en situation d'impasse thérapeutique. Le pomalidomide est une alternative dans ce contexte, chez les patients ayant déjà été traités par bortézomib et lénalidomide.
- **Place de la spécialité dans la stratégie thérapeutique**
En l'absence de donnée d'efficacité solide et devant son importante toxicité, FARYDAK, en association au bortézomib et à la dexaméthasone, est un traitement de dernier recours, chez les patients atteints de myélome en rechute et/ou réfractaire ayant déjà reçu 2 lignes de traitement antérieur dont du bortézomib et un immunomodulateur.

Données cliniques

- Dans une étude non comparative en ouvert, le taux de réponse globale après 8 cycles de traitement par panobinostat/bortézomib/dexaméthasone (critère de jugement principal) a été de 34,5 % (soit 19 patients sur 55 inclus dont 18 réponses partielles et aucune réponse complète). Après un suivi médian de 4,6 mois, la moitié des patients étaient décédés ; la médiane de survie globale a été de 17,5 mois et la médiane de survie sans progression de 5,4 mois.
- Les événements indésirables liés au traitement ont été plus fréquents dans le groupe panobinostat/bortézomib/dexaméthasone que dans le groupe placebo/bortézomib/dexaméthasone (83 % versus 67 %) notamment pour les principaux événements indésirables d'ordre gastro-intestinal (diarrhée, nausées et vomissements) et hématologique. L'incidence des événements indésirables a été de 59,8% dans le groupe panobinostat/bortézomib/dexaméthasone et 41,6% dans le groupe placebo/bortézomib/dexaméthasone. Il s'agissait le plus fréquemment de pneumonie (14,7% versus 10,6%), diarrhée (11,3% versus 2,4%) et thrombocytopénie (7,3% versus 2,1%).

Conditions particulières de prescription

- Médicament soumis à prescription hospitalière
- Médicament de prescription réservée aux spécialistes en oncologie, hématologie ou aux médecins compétents en cancérologie ou en maladies du sang.
- Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement.

Intérêt du médicament

- Le service médical rendu par FARYDAK est modéré.
- FARYDAK en association avec le bortézomib et la dexaméthasone, n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) pour le traitement des patients adultes atteints de myélome multiple en rechute et/ou réfractaire ayant déjà reçu au moins deux lignes de traitement antérieur incluant du bortézomib et un agent immunomodulateur.
- Avis favorable au remboursement en ville et à la prise en charge à l'hôpital.



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

Ce document a été élaboré sur la base de l'avis de la Commission de la transparence du 13 avril 2016 (CT-14710)
disponible sur www.has-sante.fr

* Le service médical rendu par un médicament (SMR) correspond à son intérêt en fonction notamment de ses performances cliniques et de la gravité de la maladie traitée. La Commission de la Transparence de la HAS évalue le SMR, qui peut être important, modéré, faible, ou insuffisant pour que le médicament soit pris en charge par la collectivité.

** L'amélioration du service médical rendu (ASMR) correspond au progrès thérapeutique apporté par un médicament par rapport aux traitements existants. La Commission de la transparence de la HAS évalue le niveau d'ASMR, cotée de I, majeure, à IV, mineure. Une ASMR de niveau V (équivalent de « pas d'ASMR ») signifie « absence de progrès thérapeutique »