

## SYNTHESE D'AVIS DE LA COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

### **OCALIVA** (acide obéticholique), acide biliaire

**Pas d'avantage clinique démontré dans le traitement de la cholangite biliaire primitive en association à l'acide ursodésoxycholique chez les adultes insuffisamment répondeurs à l'AUDC, ou en monothérapie chez les adultes qui ne tolèrent pas l'AUDC.**

### L'essentiel

- ▶ OCALIVA a l'AMM dans le traitement de la cholangite biliaire primitive en association avec l'acide ursodésoxycholique (AUDC) chez les adultes insuffisamment répondeurs à l'AUDC, ou en monothérapie chez les adultes qui ne tolèrent pas l'AUDC.
- ▶ Son efficacité a été démontrée par rapport au placebo uniquement sur un critère biochimique combiné intermédiaire mais sans impact sur la morbi-mortalité.
- ▶ C'est un traitement de 2<sup>e</sup> intention.

### Stratégie thérapeutique

- Chez les patients avec cholangite biliaire primitive, le traitement de 1<sup>e</sup> intention repose sur la prescription d'AUDC quel que soit le stade de la maladie. L'efficacité de l'AUDC est d'autant meilleure que le traitement est instauré à un stade précoce de la maladie.
- Au stade très avancé de la maladie, devenu très rare sous AUDC, une transplantation hépatique est souvent nécessaire.
- **Place de la spécialité dans la stratégie thérapeutique**  
OCALIVA peut être proposé en 2<sup>e</sup> intention aux seuls patients non répondeurs ou intolérants à l'AUDC.

### Données cliniques

- Une étude randomisée en double aveugle a évalué l'efficacité d'OCALIVA 10 mg/j, sans ou avec titration (5 mg/j pendant 6 mois puis 10 mg/j) versus placebo, sur un critère biochimique combiné chez 216 patients avec cholangite biliaire primitive ayant une réponse insuffisante ou intolérants à l'AUDC.
- Après 12 mois de traitement, le pourcentage de répondeurs atteignant simultanément une activité des PAL <1,67 LSN, une réduction de l'activité des PAL  $\geq 15\%$  et une bilirubine totale < LSN a été supérieur dans les groupes traités par OCALIVA que dans le groupe placebo (-47% et -46% versus -10%).
- L'effet indésirable le plus fréquent et le plus sévère a été le prurit, survenant principalement dans le mois suivant l'instauration du traitement et plus fréquemment observé en l'absence de titration.

### Intérêt du médicament

- Le service médical rendu\* par OCALIVA est important.
- OCALIVA n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu\*\* (ASMR V) chez les patients avec cholangite biliaire primitive en échec ou intolérants à l'AUDC.
- Avis favorable au remboursement en pharmacie de 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 7 juin 2017 (CT-15943)  
disponible sur [www.has-sante.fr](http://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 »