

## Les quatre traitements issus de notre panel

Nom du traitement - Indication	Date de l'autorisation de mise sur le marché (AMM)	Laboratoire	Type de traitement	Prix (€)  TR (Taux de Remboursement)	Conclusions de la Haute autorité de santé (HAS)	Conclusions de la revue <i>Prescrire</i>
<p style="text-align: center;"><b>Zolgensma</b> -</p> <p style="text-align: center;">Amyotrophie spinale infantile (SMA)</p>	<p style="text-align: center;">AMM conditionnelle (Europe)</p> <p style="text-align: center;">ATUn en 2019 ATUc en 2020 (France)</p> <p style="text-align: center;">(ATU : Autorisation Temporaire d'Utilisation)</p>	<p style="text-align: center;">Généthon  (Commercialisé par Novartis)</p>	<p style="text-align: center;">Thérapie génique</p>	<p style="text-align: center;"><b>1 995 000</b> TR : 100 %</p>	<p><i>Conserve une amélioration du service médical rendu modérée dans la stratégie thérapeutique.</i></p> <p><i>N'apporte pas d'amélioration du service médical rendu dans la stratégie thérapeutique, excluant Spinraza. (Spinraza est une autre thérapie génique prescrite pour la SMA. Spinraza est commercialisé par Biogen France SAS depuis 2017 - Ndlr).</i></p> <p><i>Ce médicament fait l'objet d'une surveillance renforcée : <b>Risque de microangiopathie thrombotique.</b></i></p>	<p style="text-align: center;"><b>LA RÉDACTION NE PEUT SE PRONONCER</b></p> <p>L'évaluation avant apparition des symptômes est maigre, même si les premières données vont dans le sens d'une efficacité sur la durée de vie et le handicap moteur. Les effets indésirables connus sont surtout des troubles hépatiques parfois graves, des thrombopénies, des microangiopathies thrombotiques. Il n'y a aucune donnée clinique concernant les conséquences à long terme de cette thérapie génique. En pratique, vu les incertitudes, recourir ou non au ZOLGENSMA est un choix difficile. La poursuite de son évaluation est justifiée.</p>
<p style="text-align: center;"><b>Lumevoq</b> -</p> <p style="text-align: center;">Neuropathie héréditaire de leiber (NOHL)</p>	<p style="text-align: center;">ATUn en 2019 ATUc en 2020</p>	<p style="text-align: center;">GenSight</p>	<p style="text-align: center;">Thérapie génique</p>	<p style="text-align: center;"><b>700 000</b> TR : 100 %</p>	<p style="text-align: center;"><b>Infos indisponibles</b></p>	<p style="text-align: center;">-</p>
<p style="text-align: center;"><b>Ixiaro</b> -</p> <p style="text-align: center;">Encéphalite japonaise</p>	<p style="text-align: center;">2009</p>	<p style="text-align: center;">Valneva</p>	<p style="text-align: center;">Vaccin à base de souches inactivées de virus</p>	<p style="text-align: center;"><b>Prix libre</b> Non remboursé</p>	<p><i>Apporte une amélioration du service médical rendu importante dans la prévention de l'encéphalite japonaise chez l'enfant (de 2 mois à 18 ans) dans les populations recommandées par le Haut Conseil de la Santé Publique.</i></p>	<p style="text-align: center;"><b>APPORTE QUELQUE CHOSE</b></p>
<p style="text-align: center;"><b>Dukoral</b> -</p> <p style="text-align: center;">Choléra</p>	<p style="text-align: center;">2004</p>	<p style="text-align: center;">Valneva</p>	<p style="text-align: center;">Vaccin à base de souches inactivées de virus</p>	<p style="text-align: center;"><b>Prix libre</b> Non remboursé</p>	<p><i>Ce vaccin présente une amélioration du service médical rendu dans la prévention contre la maladie causée par Vibrio cholerae (vibron cholérique) sérogroupe 01 chez les adultes et les enfants de plus de 2 ans dans la population recommandée par le Conseil Supérieur d'Hygiène Publique de France (séance 14 mai 2004).</i></p>	<p style="text-align: center;"><b>N'APPORTE RIEN DE NOUVEAU</b></p> <p>Le nombre de cas de choléra évités par le vaccin cholérique est faible, la protection clinique est de courte durée et partielle, uniquement vis-à-vis de certains sérotypes de Vibrio cholerae. Les conditions d'emploi sont contraignantes. Au total, en prévention du choléra, l'intérêt de la vaccination anticholérique n'est pas établi chez les voyageurs, qui ont un risque extrêmement faible de contracter le choléra.</p>