

KUVAN^{MC}

Phénylcétonurie

Avis transmis au ministre en mai 2022

Marque de commerce : Kuvan

Dénomination commune : Saproptérine (dichlorhydrate de)

Fabricant : Biomarin

Forme : Comprimé

Teneur : 100 mg

Modification d'une indication reconnue

RECOMMANDATION

En tenant compte de l'ensemble des aspects prévus par la loi, l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS) recommande au ministre de modifier l'indication reconnue de Kuvan^{MC} sur les listes des médicaments pour le traitement de la phénylcétonurie (PCU).

Indication reconnue pour le paiement

L'indication reconnue deviendrait la suivante :

- ◆ pour les femmes atteintes de phénylcétonurie qui désirent procréer et dont la concentration sérique de phénylalanine est supérieure à 360 $\mu\text{mol/l}$ malgré une diète restreinte en phénylalanine.

L'autorisation initiale est d'une durée de 2 mois.

Lors de la demande de poursuite du traitement, le médecin doit fournir la preuve d'une réponse au traitement. Une réponse à la saproptérine est définie par une diminution moyenne de la concentration sérique de phénylalanine d'au moins 30 %.

L'autorisation sera alors accordée pour la période pendant laquelle la femme tente de procréer et jusqu'à la fin de la grossesse.

Évaluation

DESCRIPTION DU MÉDICAMENT

La saproptérine est une formulation de synthèse de la tétrahydrobioptérine, l'un des cofacteurs de l'enzyme phénylalanine hydroxylase. Elle est indiquée « en association avec un régime pauvre en

Notez que les informations caviardées sont des renseignements fournis par le fabricant, ou encore obtenus par l'INESSS, et jugés confidentiels. Conséquemment, nous ne pouvons les publier en raison des restrictions prévues par la Loi sur l'accès aux documents des organismes publics et sur la protection des renseignements personnels (RLRQ, chapitre A-2.1).

phénylalanine (Phe) afin de diminuer les taux sanguins de Phe chez les patients qui présentent une hyperphénylalaninémie (HPA) en raison d'une phénylcétonurie (PCU) répondant à la tétrahydrobioptérine (BH4) ». La saproptérine est inscrite sur les listes des médicaments depuis 2011 ([INESSS 2011](#)) pour le traitement des femmes atteintes de PCU qui désirent concevoir un enfant et pendant la grossesse, selon certaines conditions.

CONTEXTE DE L'ÉVALUATION

Il s'agit de la 4^e évaluation de Kuvan^{MC} par l'INESSS. En octobre 2017, l'INESSS a procédé à une réévaluation de la saproptérine dans le but d'en élargir la population ([INESSS 2017](#)) et en juillet 2020, il a évalué une nouvelle forme de saproptérine, soit la poudre orale ([INESSS 2020](#)). À ce jour, la saproptérine n'est pas inscrite pour la population élargie ni sous sa forme de poudre orale, le ministre ayant sursis à ses décisions.

La présente réévaluation est réalisée à l'initiative de l'INESSS. Elle fait suite à une demande de la RAMQ de clarifier et de corriger le libellé actuel. En effet, la concentration sérique de phénylalanine supérieure à 360 µmol/l est une exigence d'entrée et non pas une exigence de renouvellement, contrairement à ce qui est indiqué dans l'indication reconnue pour le paiement en vigueur :

- ◆ pour les femmes atteintes de phénylcétonurie et qui désirent procréer, une période d'essai de 2 mois sera autorisée afin de déterminer celles qui répondent à la saproptérine;

Par la suite, le médecin devra fournir les preuves suivantes :

- une réponse à la saproptérine définie par une diminution moyenne de la concentration sérique de phénylalanine d'au moins 30 %;
et
- une concentration sérique de phénylalanine supérieure à 360 µmol/l malgré une diète restreinte en phénylalanine;

L'autorisation sera alors accordée pour la période pendant laquelle la femme tente activement de procréer, et ce, jusqu'à la fin de la grossesse.

VALEUR THÉRAPEUTIQUE, JUSTESSE DU PRIX, RAPPORT ENTRE LE COÛT ET L'EFFICACITÉ ET CONSÉQUENCES SUR LA SANTÉ DE LA POPULATION ET SUR LES AUTRES COMPOSANTES DU SYSTÈME DE SANTÉ ET DES SERVICES SOCIAUX

Les modifications apportées à l'indication reconnue pour le paiement ne changent en rien la population ciblée ni les exigences relatives au renouvellement de l'autorisation de remboursement. Par conséquent, les constats et conclusions émis en 2011, dans le cadre de l'évaluation ayant mené à l'inscription de la saproptérine pour le traitement des femmes atteintes de PCU qui désirent concevoir un enfant, sont les mêmes.

Notez que les informations caviardées sont des renseignements fournis par le fabricant, ou encore obtenus par l'INESSS, et jugés confidentiels. Conséquemment, nous ne pouvons les publier en raison des restrictions prévues par la Loi sur l'accès aux documents des organismes publics et sur la protection des renseignements personnels (RLRQ, chapitre A-2.1).