

Recommandation en vue du remboursement

# Exagamglogène autotemcel (Casgevy)

**Indication :** Dans le traitement de la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle chez le patient âgé de 12 ans ou plus.

**Promoteur :** Vertex Pharmaceuticals (Canada)

**Recommandation finale :** Rembourser sous réserve de conditions.

# Résumé

## Quelle est notre recommandation concernant le remboursement de Casgevy?

L'Agence des médicaments du Canada (CDA-AMC) recommande aux régimes d'assurance médicaments publics de rembourser Casgevy dans le traitement de la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle, sous réserve de certaines conditions.

### Quels sont les patients admissibles?

Casgevy ne doit être remboursé que chez les patients âgés de 12 ans et plus ayant reçu un diagnostic de bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle (définie par un génotype homozygote ou hétérozygote combiné et la réception au cours des deux années précédentes de transfusions de concentré de globules rouges d'une quantité d'au moins 100 ml/kg/année ou de 10 unités par année), satisfaisant à des seuils prédéfinis en matière d'indice fonctionnel aux échelles de Karnofsky (patients de 16 ans et plus) ou de Lansky (patients de moins de 16 ans), qui sont admissibles à une greffe autologue de cellules souches, ne disposent pas d'un donneur apparenté parfaitement compatible (HLA 10/10) et n'ont jamais reçu de greffe allogénique de cellules souches hématopoïétiques ou de traitement ou de produit d'édition génique. De plus, les personnes admissibles ne doivent pas présenter les affections ou caractéristiques suivantes : alpha-thalassémie associée et plus d'une délétion ou multiplication alpha, cancer passé ou présent, drépanocytose-bêta-thalassémie.

### Quelles sont les conditions de remboursement?

Casgevy ne doit être remboursé que s'il est prescrit par un hématologue possédant une expertise de la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle, s'il ne s'agit pas d'une reprise de traitement (Casgevy s'administre une seule fois), et si son coût est réduit.

### Pourquoi CDA-AMC formule-t-elle cette recommandation?

- La bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle est une maladie génétique rare, et de nombreuses personnes qui en sont atteintes, bien qu'elles puissent soulager les symptômes grâce à des soins optimisés, ont du mal à gérer le temps qu'elles doivent consacrer aux transfusions de globules rouges tout au long de leur vie et les effets secondaires qui y sont associés.
- Les données probantes issues d'un essai clinique montrent que la plupart des patients acquièrent une indépendance transfusionnelle pendant 12 mois consécutifs au cours de la période de suivi, et les

# Résumé

résultats d'un essai de prolongation à long terme montrent que jusqu'à maintenant, les patients conservent cet acquis.

- À la lumière de l'évaluation menée par CDA-AMC sur les données d'économie de la santé, Casgevy ne représente pas une bonne valeur pour le système de santé au prix courant accessible au public. Une réduction du prix est donc requise.
- Si l'on se fie aux prix courants accessibles au public, Casgevy devrait coûter aux régimes d'assurance médicaments publics environ 64,6 millions de dollars sur les trois prochaines années. Toutefois, le véritable impact budgétaire est incertain, car des centres spécialisés doivent être disponibles et dotés des infrastructures nécessaires pour mettre en œuvre le traitement par Casgevy.

## Autres renseignements

### **Qu'est-ce que la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle?**

Il s'agit d'une maladie génétique autosomique récessive grave et rare caractérisée par une synthèse très faible, voire nulle, de la bêta-globine, qui est une protéine clé des globules rouges. Sans le recours à vie aux transfusions, les patients présentent une anémie grave, une surcharge en fer et des troubles cardiaques, spléniques et osseux. On ne connaît pas la prévalence exacte de la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle au Canada, mais elle serait en augmentation en raison de l'immigration en provenance de régions où elle est plus fréquente. On estime que près de 1 900 personnes sont atteintes de cette affection au Canada, en excluant le Québec.

### **Besoins non comblés en contexte de bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle**

Bien que les patients atteints de bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle puissent soulager leurs symptômes par le recours aux transfusions, au traitement de chélation du fer et aux soins habituels, ils mentionnent une piètre qualité de vie liée à la santé et un lourd fardeau thérapeutique en raison du temps qu'ils doivent consacrer aux transfusions de globules rouges tout au long de leur vie et des effets secondaires qui en découlent. Un besoin est à combler en matière de traitements qui élimineraient le recours aux transfusions tout en prenant en charge les effets de la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle.

# Résumé

## **Combien coute Casgevy?**

On s'attend à ce que le traitement par Casgevy coute environ 2 800 000 \$ par administration par patient, indépendamment du nombre de flacons nécessaire.

## Recommandation

Le Comité canadien d'expertise sur les médicaments (CCEM) de CDA-AMC recommande le remboursement de l'exagamglogène autotemcel dans le traitement de la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle chez le patient âgé de 12 ans ou plus, sous réserve des conditions énoncées au [tableau 1](#).

## Justification

La bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle est une hémoglobinopathie génétique autosomique récessive provoquant une anémie grave et d'autres affections comorbides, pour laquelle le traitement usuel, administré à vie, comprend les transfusions de globules rouges et la chélation du fer. Bien que les patients chez qui le traitement usuel est optimisé aient une espérance de vie plus longue qu'auparavant grâce aux progrès thérapeutiques, leur qualité de vie liée à la santé (QVLS) est moins bonne que celle de la population générale. Un besoin est à combler en matière de traitements efficaces qui diminuent considérablement ou éliminent le recours aux transfusions et améliorent la QVLS des patients atteints de cette maladie.

Un essai ouvert de phase I, II et III multicentrique, à un seul groupe de traitement et à dose unique, l'essai CLIMB-111 (N = 59 patients recrutés et 42 patients analysés), évalue l'efficacité et l'innocuité d'une perfusion intraveineuse unique d'exagamglogène autotemcel à la suite d'une mobilisation et d'un conditionnement myéloablatif chez des patients âgés de 12 à 35 ans atteints de bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle, qui répondent à des critères précis de transfusion et d'indice fonctionnel et sont admissibles à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH) autologue. Les résultats de l'analyse intermédiaire montrent que la plupart des patients (92,9 %; intervalle de confiance [IC] à 95 % de 80,5 % à 98,5 %) ont acquis une indépendance transfusionnelle pendant 12 mois consécutifs au cours de la période de suivi. Les résultats d'un essai de prolongation à long terme, l'essai CLIMB-131, auquel participent les patients ayant terminé l'essai CLIMB-111, montrent qu'à la date limite de collecte des données (16 avril 2023), les 39 patients qui satisfont le critère d'évaluation principal conservent leur indépendance transfusionnelle pendant toute la période de suivi; la durée moyenne de l'indépendance transfusionnelle est de 23,6 mois (écart-type [ÉT] = 7,8; étendue de 13,5 mois à 48,1 mois). Les données probantes concernant les répercussions sur la QVLS mesurées chez les populations adulte et pédiatrique de l'essai montrent une amélioration du score numérique aux questionnaires FACT-BMT (*Functional Assessment of Cancer Therapy – Bone Marrow Transplant*), PedsQL (*Pediatric Quality of Life Inventory*) et EQ VAS (*EuroQol Visual Analogue Scale*) 6, 12 et 24 mois après la perfusion. Toutefois, l'importance clinique de ces variations n'est pas certaine en raison de l'absence de différences minimales importantes chez les patients atteints de bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle.

Il ressort des observations des patients que bon nombre de ceux qui sont atteints de bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle sont confrontés à des défis liés à la prise en charge de leur maladie, dont celui du temps qu'ils doivent consacrer aux transfusions répétées et effractives de globules rouges, mais grâce aux traitements offerts actuellement, bon nombre d'entre eux parviennent à maîtriser efficacement les symptômes. Les exigences du traitement à vie et les effets toxiques associés au traitement usuel, surtout

la chélation du fer, ont tout de même des répercussions sur la QVLS. Les patients indiquent le besoin d'un traitement qui éliminerait le recours aux transfusions, maintiendrait un taux d'hémoglobine suffisamment élevé pour leur permettre de fonctionner au quotidien et améliorerait la QVLS. Malgré les limites inhérentes au fait que l'essai ne comporte qu'un seul groupe de traitement, le CCEM conclut que l'exagamglogène autotemcel comblerait les besoins soulevés par les patients, dont celui de l'indépendance transfusionnelle.

Si l'on se fie au prix soumis par le promoteur pour l'exagamglogène autotemcel et aux prix accessibles au public pour les autres médicaments, le rapport cout/efficacité différentiel (RCED) du produit à l'étude est de 194 807 \$ l'année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ) gagnée comparativement au traitement usuel. À ce RCED, l'exagamglogène autotemcel n'est pas rentable à un seuil de disposition à payer de 50 000 \$ l'AVAQ gagnée chez les patients de 12 ans ou plus atteints de bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle. Une réduction de prix est donc nécessaire pour que l'exagamglogène autotemcel soit considéré comme rentable au seuil établi.

**Tableau 1 : Conditions de remboursement et justification**

Condition de remboursement	Justification	Conseils de mise en œuvre
<b>Amorce du traitement</b>		
1. Les patients sont âgés de 12 ans ou plus et ont reçu un diagnostic de bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle, définie comme suit : 1.1. bêta-thalassémie homozygote ou hétérozygote combinée confirmée avec ou sans le génotype de l'hémoglobine E; 1.2. réception de transfusions de concentré de globules rouges d'une quantité d'au moins 100 ml/kg/année ou de 10 unités par année au cours des deux années précédentes.	L'essai CLIMB-111 recrute des patients de 12 à 35 ans ayant reçu un diagnostic de bêta-thalassémie (comprenant le génotype de l'hémoglobine E) présentant des mutations homozygotes ou hétérozygotes combinées et qui ont reçu au cours des deux années précédentes des transfusions de concentré de globules rouges d'une quantité d'au moins 100 ml/kg/année (ou 10 unités par année).  Les cliniciens experts consultés par le CCEM estiment qu'il ne devrait y avoir aucune limite supérieure d'âge pour le remboursement de l'exagamglogène autotemcel. L'indication approuvée par Santé Canada vise les patients âgés de 12 ans ou plus atteints de bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle.	—
2. Les personnes âgées de 16 ans ou plus ont un indice fonctionnel de Karnofsky $\geq 80$ % et celles âgées de moins de 16 ans ont un indice fonctionnel de Lansky $\geq 80$ %.	L'essai CLIMB-111 recrute des patients ayant un indice fonctionnel de Karnofsky $\geq 80$ % (16 ans et plus) ou un indice fonctionnel de Lansky $\geq 80$ % (moins de 16 ans).	—
3. Les patients sont admissibles à une greffe autologue de cellules souches, selon le jugement du médecin traitant.	L'essai CLIMB-111 recrute des patients atteints de bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle qui sont admissibles à une greffe autologue de cellules souches, selon le jugement du médecin traitant.	—

Condition de remboursement	Justification	Conseils de mise en œuvre
4. Les patients ne disposent pas d'un donneur apparenté parfaitement compatible (HLA 10/10).	L'essai CLIMB-111 exclut les patients disposant d'un donneur apparenté parfaitement compatible (HLA 10/10).	—
5. Les patients ne correspondent pas aux cas de figure suivants : 5.1. alpha-thalassémie associée et plus d'une délétion ou multiplication alpha; 5.2. cancer passé ou présent; 5.3. drépanocytose-bêta-thalassémie.	L'essai CLIMB-111 exclut les patients atteints de ces affections comorbides.	—
6. Les patients n'ont reçu aucun des traitements suivants : 6.1. GCSH allogénique; 6.2. thérapie ou produit d'édition génique.	On ne dispose d'aucune donnée probante étayant l'utilisation de l'exagamglogène autotemcel chez les patients qui ont déjà reçu une GCSH allogénique ou une thérapie ou un produit d'édition génique.	—
<b>Prescription</b>		
7. L'exagamglogène autotemcel doit être prescrit par un hématologue possédant une expertise de la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle.	Cette condition vise à veiller à ce que le traitement n'est prescrit qu'aux personnes chez qui il est approprié et que les événements indésirables sont maîtrisés de façon optimale et rapide.	L'exagamglogène autotemcel est administré dans des centres spécialisés dotés des infrastructures, des ressources et de l'expertise nécessaires à l'administration de thérapies d'édition génique employant le système CRISPR-Cas9. Le processus de traitement exige une mobilisation et un conditionnement myéloablatif avant la perfusion, ce qui pourrait nécessiter du soutien supplémentaire.
8. Le traitement par l'exagamglogène autotemcel est un traitement unique.	À l'heure actuelle, l'administration d'un deuxième traitement par l'exagamglogène autotemcel ne constitue pas une stratégie efficace établie et ne fait pas partie des normes de traitement.	—
<b>Prix</b>		
9. Le prix est réduit.	Le RCED de l'exagamglogène autotemcel est de 194 807 \$ l'AVAQ gagnée comparativement au traitement usuel. Une réduction de prix de 55 % serait nécessaire pour que le RCED de l'exagamglogène autotemcel atteigne le seuil de disposition à payer 50 000 \$ l'AVAQ gagnée comparativement au traitement usuel. Cette réduction de prix estimée est assortie d'une incertitude considérable compte tenu des limites soulevées quant au modèle économique et qui n'ont pas pu être palliées.	—

Condition de remboursement	Justification	Conseils de mise en œuvre
	Une réduction de prix supplémentaire pourrait s'avérer nécessaire pour atteindre la rentabilité si l'indépendance transfusionnelle n'est pas conservée indéfiniment et en raison des coûts d'infrastructure associés à l'établissement de centres de traitement spécialisés.	
Faisabilité de l'adoption		
10. La faisabilité économique de l'adoption de l'exagamglogène autotemcel est examinée.	Au prix indiqué, on s'attend à ce que l'impact budgétaire différentiel du traitement à l'étude soit supérieur à 40 millions de dollars la troisième année.	—
11. La faisabilité pour les organisations est prise en compte afin que les autorités sanitaires aient en place les infrastructures nécessaires pour offrir le traitement par l'exagamglogène autotemcel.	Le CCEM reconnaît qu'il faudra se pencher sur l'obstacle que constitue la disponibilité de centres spécialisés dotés des infrastructures et des ressources nécessaires à l'administration du traitement par l'exagamglogène autotemcel au Canada. En effet, les centres de greffe auront probablement besoin de ressources supplémentaires pour accueillir les patients atteints de bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle.	—

AVAQ = année de vie ajustée en fonction de la qualité; CCEM = Comité canadien d'expertise sur les médicaments; GCSH = greffe de cellules souches hématopoïétiques; HLA = antigène leucocytaire humain; RCED = rapport coût/efficacité différentiel

## Points de discussion

- Les critères portant sur l'importance des besoins non comblés sont remplis :** Les données probantes comparatives et l'essai à un seul groupe de traitement comportent des limites, entraînant un degré de certitude très faible des données probantes. Étant donné l'incertitude des données probantes cliniques, le CCEM se penche sur le cas de l'exagamglogène autotemcel en tenant compte des critères portant sur l'importance des besoins non comblés décrits à la section 9.3.1 des [Procédures relatives aux examens en vue du remboursement](#) (en anglais). Bien que l'évaluation de tous les critères d'évaluation par l'approche GRADE (*Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation*) révèle un degré de certitude très faible attribuable à l'absence d'un groupe de comparaison, étant donné la rareté et la gravité de la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle et l'absence d'autres options efficaces sur le plan clinique qui répondent au besoin non comblé d'acquérir l'indépendance transfusionnelle, le Comité estime qu'on peut raisonnablement conclure à la lumière des données probantes disponibles que l'exagamglogène autotemcel pourrait réduire la morbidité et la mortalité associées à cette maladie.
- Besoin de nouveaux traitements pour répondre aux besoins non comblés :** Les cliniciens experts consultés par le CCEM indiquent qu'un traitement usuel optimisé peut se traduire par une



espérance de vie plus longue qu'auparavant et que le luspatercept pourrait diminuer le recours à la transfusion chez l'adulte. Toutefois, le traitement usuel ne permet pas d'acquérir l'indépendance transfusionnelle. La GCSH allogénique faisant appel à un donneur compatible HLA (antigène leucocytaire humain) parmi la fratrie, une approche curative, est le traitement usuel chez l'enfant, mais cette option n'est possible que chez environ 20 % des patients et n'est pas souvent réalisée chez l'adulte. Les cliniciens experts font également remarquer que la GCSH allogénique réalisée à partir de cellules d'un donneur non apparenté est encore jugée expérimentale et ne devrait s'effectuer que dans le cadre d'un essai clinique. De leur point de vue, la GCSH allogénique serait probablement envisagée en premier chez les patients admissibles, et le traitement par l'exagamglogène autotemcel serait surtout envisagé pour ceux chez qui la GCSH allogénique ne constitue pas une option ou chez qui le traitement usuel pose des difficultés. À la lumière de ces renseignements, le CCEM conclut qu'un chevauchement important est peu probable entre les patients atteints de bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle admissibles à la GCSH allogénique et ceux à l'exagamglogène autotemcel, sauf dans des cas précis.

- **Généralisabilité** : Il est question de la généralisabilité des résultats de l'essai CLIMB-111 à un seul groupe de traitement en ce qui concerne l'âge des patients admissibles au traitement. L'indication approuvée par Santé Canada ne précise aucune limite supérieure d'âge. Les cliniciens experts consultés par le CCEM sont d'accord avec la limite inférieure d'âge, insistant toutefois sur le fait qu'il ne devrait pas y avoir de limite supérieure d'âge, mais plutôt une admissibilité au traitement évaluée au cas par cas. Comme l'essai CLIMB-111 ne recrute que des patients âgés de 12 à 35 ans, on ignore l'efficacité du traitement chez ceux âgés de plus de 35 ans; cependant, le CCEM est d'avis que les patients âgés de plus de 35 ans qui, autrement, seraient admissibles au traitement devraient pouvoir recevoir l'exagamglogène autotemcel.
- **Comparabilité des résultats** : Il est question de la comparabilité des résultats de l'essai CLIMB-111 à un seul groupe de traitement à ceux obtenus avec des comparateurs valides. Une comparaison indirecte analyse l'exagamglogène autotemcel par rapport au luspatercept et au traitement usuel; la GCSH allogénique ne fait pas partie des comparateurs. La comparaison indirecte présente des limites considérables et aucune conclusion concrète ne peut être tirée quant à l'efficacité comparative de l'exagamglogène autotemcel.
- **Coûts de la prise en charge de la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle** : Il est question de l'incertitude des coûts du traitement des complications liées à la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle. D'après l'analyse du promoteur, les patients auront moins recours aux ressources du système de santé au cours de leur vie, entraînant des économies de coûts qui compenseront en partie le coût d'acquisition de l'exagamglogène autotemcel. L'analyse du promoteur part du principe que toutes les complications sont traitées en milieu hospitalier; toutefois, la rétroaction des cliniciens experts reçue par CDA-AMC indique que certains événements peuvent être traités à domicile ou en consultation externe. Le fait que le modèle utilise exclusivement des coûts de prise en charge en milieu hospitalier des événements liés à la bêta-thalassémie avec dépendance

transfusionnelle peut donner lieu à une surestimation des coûts liés au traitement usuel, et ainsi introduire un biais dans les résultats à l'avantage de l'exagamglogène autotemcel.

- **Réduction de prix** : L'analyse économique est teintée d'incertitude en raison, notamment, de l'absence de données à long terme et de comparaisons solides au traitement usuel. Le rapport cout/efficacité estimé est fortement influencé par le gain considérable prévu en années de vie et en AVAQ chez les patients traités par l'exagamglogène autotemcel comparativement à ceux recevant le traitement usuel. Les résultats du modèle laissent entendre également que le coût élevé de l'exagamglogène autotemcel est partiellement compensé par les coûts de transfusion évités tout au long de la vie du patient. Il manque de données probantes comparatives solides et à long terme pour appuyer la durée supposée de l'indépendance transfusionnelle et les changements qui en découlent en ce qui a trait à l'utilisation des ressources, à la survie et aux AVAQ. En effet, le modèle du promoteur pourrait surestimer les bénéfices différentiels de l'exagamglogène autotemcel par rapport au traitement usuel (étant donné que 95 % du gain d'AVAQ reposent sur une extrapolation). La réduction de prix estimée d'au moins 55 % est donc associée à un degré d'incertitude élevé en raison des limites des données probantes cliniques ayant servi à établir le modèle économique qui n'ont pu être palliées; ainsi, une réduction de prix supplémentaire pourrait être nécessaire. Une analyse de scénario utilise une comparaison de traitements indirecte (CTI) pour estimer le rapport cout/efficacité de l'exagamglogène autotemcel par rapport à celui du luspatercept; en raison des limites méthodologiques de cette CTI, les données probantes sont insuffisantes pour justifier le paiement d'un surcoût pour l'exagamglogène autotemcel par rapport au luspatercept. Toutefois, l'objectif thérapeutique de ces deux traitements diffère considérablement, et les cliniciens experts font remarquer au CCEM qu'une minorité de patients (20 %) répondent au luspatercept et que, dans ces cas, le traitement diminue, mais n'élimine pas le recours aux transfusions.
- **Coûts totaux pour le système de santé** : Les coûts prévus de démarrage associés à l'établissement de centres de traitement spécialisés pouvant administrer l'exagamglogène autotemcel sont considérables. Ces coûts ne sont pas pris en compte dans l'évaluation économique ni dans l'analyse d'impact budgétaire. Les répercussions économiques globales du remboursement de l'exagamglogène autotemcel seront influencées par ces coûts, et les coûts totaux pour le système de santé seront plus élevés. Une réduction de prix supplémentaire qui tient compte de ces coûts pourrait être nécessaire pour atteindre la rentabilité.
- **Impact budgétaire** : L'impact budgétaire estimé du remboursement de l'exagamglogène autotemcel dans le traitement de la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle chez les patients âgés de 12 ans ou plus est teinté d'incertitude. En effet, il est très sensible au nombre de patients traités par l'exagamglogène autotemcel et ce nombre sera influencé par le nombre de centres de traitement, la capacité en lits et la pénétration du marché de l'exagamglogène autotemcel. Si le nombre de patients traités par l'exagamglogène autotemcel est plus élevé que ce qu'a prévu le promoteur, l'impact budgétaire du remboursement de ce traitement sera plus élevé que celui attendu.
- **Considérations en matière d'éthique et d'équité** : Il est question des répercussions de la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle sur les patients, des limites des traitements existants

et des répercussions possibles du traitement par l'exagamglogène autotemcel en matière d'innocuité (dont les effets du conditionnement myéloablatif sur la fertilité). Il est également question des disparités géographiques, socioéconomiques, psychoémotionnelles et liées à l'âge dans l'accès au traitement usuel. En outre, le Comité souligne qu'il est important d'avoir des conversations sérieuses avec les patients dans le cadre du processus de consentement afin de s'assurer qu'ils comprennent l'incertitude des bénéfices à long terme et les risques connus et théoriques, et que leurs attentes sont réalistes par rapport au traitement (p. ex., il se peut que le médicament ne guérisse pas la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle et ne répare pas les lésions organiques). Il faut également s'efforcer d'éliminer les obstacles potentiels de nature géographique et économique pour permettre un accès équitable à des centres de traitement spécialisés, à des hospitalisations prolongées et à la préservation de la fertilité.

- **Considérations en matière d'éthique et d'équité pour la mise en œuvre et la priorisation dans les systèmes de santé** : Le coût élevé de l'exagamglogène autotemcel soulève des préoccupations concernant la durabilité des systèmes de santé, étant donné le contexte de ressources limitées et l'absence de données probantes à long terme. Il faut assurer un suivi des patients tout au long de leur vie et recueillir des données sur l'innocuité et l'efficacité à long terme, mais pour ce faire, il faudrait obtenir davantage de renseignements épidémiologiques et de données de registres sur la bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle au Canada. La mise en œuvre de l'utilisation de l'exagamglogène autotemcel sera complexe et exigera beaucoup de ressources, surtout compte tenu de l'exigence en matière de ressources accréditées dans les centres de greffe (personnel formé et capacité en lits permettant de longs séjours à l'hôpital). On s'attend à ce que les contraintes de capacité des systèmes de santé limitent considérablement le nombre de patients pouvant être traités chaque année. On ignore si les centres de greffe ont le personnel et les lits d'hospitalisation supplémentaires nécessaires pour accueillir les patients admissibles au traitement par l'exagamglogène autotemcel. Il sera important d'établir des processus de priorisation justes, uniformes et défendables sur le plan éthique, de même que des ententes au sein de chaque province et territoire et entre ceux-ci pour assurer un accès équitable au traitement. Le Comité reconnaît qu'il pourrait être difficile pour les personnes atteintes de bêta-thalassémie avec dépendance transfusionnelle d'avoir accès au traitement si leur degré de priorité est inférieur à celui des personnes atteintes d'autres maladies nécessitant un accès à des ressources leur permettant de recevoir une greffe.

Pour connaître le contenu des sections **Contexte**, **Sources d'information utilisées par le Comité**, **Considérations éthiques**, **Points de vue des parties prenantes**, **Données probantes cliniques** et **Données probantes économiques**, veuillez consulter la recommandation anglaise.

## Comité canadien d'expertise sur les médicaments

### Membres du Comité

Les D<sup>s</sup> Peter Jamieson (président), Sally Bean, Trudy Huyghebaert, Dennis Ko, Christine Leong, Kerry Mansell, Alicia McCallum, Srinivas Murthy, Nicholas Myers, Krishnan Ramanathan, Marco Solmi, Edward Xie et Peter Zed, et MM. Daryl Bell, Dan Dunsky et Morris Joseph.

**Date de la réunion :** Le 23 octobre 2024

**Absences :** Un membre est absent.

**Conflits d'intérêts :** Un membre ne participe pas en raison d'un conflit d'intérêts.



**Canada's Drug Agency**  
**L'Agence des médicaments du Canada**  
Drugs, Health Technologies and Systems. Médicaments, technologies de la santé et systèmes.

ISSN : 2563-6596

**L'Agence des médicaments du Canada (CDA-AMC)** est une organisation pancanadienne de la santé. Créés et financés par les gouvernements fédéral, provinciaux et territoriaux, nous sommes chargés d'améliorer la coordination, l'harmonisation et la valeur publique au sein du paysage des médicaments et des technologies de la santé au pays. Nous fournissons aux dirigeants des systèmes de santé des données probantes et des conseils indépendants pour les aider à prendre des décisions éclairées sur les médicaments, les technologies de la santé et les systèmes de santé, et nous collaborons avec des partenaires nationaux et internationaux afin de renforcer notre influence collective.

**Avis de non-responsabilité** : Bien que CDA-AMC ait tout mis en œuvre pour veiller à l'exactitude, à l'exhaustivité et à l'actualité du contenu au moment de la publication, elle décline toute responsabilité à cet égard. L'utilisation de ces renseignements est soumise au présent avis et aux modalités d'utilisation disponibles au [cda-amc.ca/fr](http://cda-amc.ca/fr).

L'information que renferme le présent document est rendue accessible à titre informatif et éducatif seulement, et ne saurait tenir lieu de l'avis ou de l'opinion en bonne et due forme d'un médecin, du discernement ou du jugement du clinicien dans la prise en charge d'un patient en particulier ni d'un autre jugement professionnel dans un contexte de prise de décisions. Vous acceptez l'entière responsabilité de l'utilisation des renseignements et vous vous y fiez à vos propres risques.

CDA-AMC n'appuie ou ne promeut aucune information ou thérapie, ni aucun médicament, traitement, produit, processus ou service. Les points de vue et les opinions de tiers figurant dans le présent document ne représentent pas forcément ceux de CDA-AMC. L'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (en activité sous le nom de CDA-AMC) et ses concédants de licence sont les détenteurs du droit d'auteur et des autres droits de propriété intellectuelle relatifs au document.

Toute question ou demande d'information sur ce rapport peut être adressée à [demandes@cda-amc.ca](mailto:demandes@cda-amc.ca).