

Recommandation en vue du remboursement

Ziluoplan (Zilbrysq)

Indication : Dans le traitement de la myasthénie généralisée avec anticorps dirigés contre le récepteur de l'acétylcholine (anti-RACH) chez l'adulte. Les patients ont continué de suivre leur traitement habituel tout au long de l'essai pivot.

Promoteur : UCB Canada

Recommandation finale : Rembourser sous réserve de conditions.

Résumé

Quelle est notre recommandation concernant le remboursement de Zilbrysq?

L'Agence des médicaments du Canada (CDA-AMC) recommande aux régimes d'assurance médicaments publics de rembourser Zilbrysq dans le traitement de la myasthénie généralisée avec anticorps dirigés contre le récepteur de l'acétylcholine (anti-RACH) chez l'adulte continuant de recevoir le traitement usuel, sous réserve de certaines conditions.

Quels sont les patients admissibles?

Zilbrysq ne doit être remboursé que chez les patients adultes ayant reçu un traitement par deux immunosuppresseurs ou plus pendant au moins un an, ou ayant déjà reçu un traitement par au moins un immunosuppresseur pendant au moins un an, ainsi que des traitements répétés par plasmaphérèse thérapeutique, immunoglobulines intraveineuses ou immunoglobulines sous-cutanées, soit au moins tous les 3 mois pendant 12 mois. Les personnes admissibles ont obtenu un résultat positif au test de dépistage des anticorps anti-RACH, présentent un score d'activités de la vie quotidienne MG-ADL (de l'anglais *Myasthenia Gravis Activities of Daily Living* – un score qui évalue la capacité des patients à effectuer les activités de la vie quotidienne sur une échelle de 0 à 24, où un score élevé indique une plus grande difficulté) d'au moins 6, et ont une maladie correspondant à la classe II (faiblesse légère des muscles du corps possiblement accompagnée de faiblesse des muscles oculaires) à IV (faiblesse importante des muscles du corps possiblement accompagnée de faiblesse des muscles oculaires) selon la classification de la *Myasthenia Gravis Foundation of America*, ou MGFA (qui classe les caractéristiques cliniques par ordre croissant de gravité).

Quelles sont les conditions de remboursement?

Zilbrysq ne doit pas être administré lors d'une exacerbation (la personne présente une faiblesse musculaire localisée ou généralisée, mais n'a pas besoin d'assistance respiratoire) ou d'une crise (les muscles respiratoires sont trop faibles, ce qui limite la circulation de l'air dans les poumons et empêche la personne de respirer) de myasthénie, ou dans les 12 mois suivant une thymectomie (ablation chirurgicale du thymus). De plus, le médicament doit être prescrit par un neurologue possédant une expertise de la prise en charge de la myasthénie généralisée ou en consultation avec ce spécialiste, et son coût doit être réduit. Enfin, Zilbrysq ne doit pas être utilisé en même temps que le rituximab, l'efgartigimod alfa ou un inhibiteur du complément comme l'éculizumab.

Résumé

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

- Selon les données probantes issues d'un essai clinique (RAISE), par rapport au placebo, le traitement par Zilbrysq procure une amélioration significative de la capacité des patients à effectuer des activités de la vie quotidienne et de leur qualité de vie liée à la santé (QVLS), tout en diminuant la gravité des symptômes de la myasthénie généralisée.
- Le traitement par Zilbrysq répond à certains des besoins soulevés par les patients, puisqu'il améliore la capacité à effectuer des activités de la vie quotidienne et la QVLS tout en diminuant la gravité des symptômes de la maladie. De plus, il agit rapidement et s'administre par voie sous-cutanée, ce qui peut être effectué au domicile du patient.
- À la lumière de l'évaluation menée par CDA-AMC sur les données d'économie de la santé, Zilbrysq 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, Zilbrysq devrait coûter aux régimes d'assurance médicaments publics environ 82 millions de dollars sur les trois prochaines années.

Autres renseignements

Qu'est-ce que la myasthénie généralisée?

La myasthénie est une affection qui provoque une faiblesse musculaire. Chez certains patients, les symptômes touchent exclusivement les yeux (myasthénie oculaire); cependant, la plupart des patients reçoivent un diagnostic de myasthénie généralisée, qui touche entre autres les muscles de la tête et du cou, soit d'emblée ou au bout de quelques années de maladie. Les symptômes de myasthénie généralisée sont les paupières tombantes et la diplopie, la modification de l'expression faciale, la difficulté à mastiquer et à avaler la nourriture, la difficulté à parler et, dans les cas plus graves de la maladie, la difficulté à bouger les membres et à respirer. Quand les traitements usuels ne permettent plus de maîtriser les symptômes, on parle de myasthénie généralisée réfractaire. Au Canada, on estime l'incidence de la myasthénie généralisée à environ 23 cas par million d'habitants chaque année.

Besoins non comblés en matière de myasthénie généralisée

Les patients atteints de myasthénie généralisée réfractaire dont les symptômes persistent malgré un traitement usuel adéquat ont peu d'options thérapeutiques.

Résumé

Combien coute Zilbrysq?

On s'attend à ce que le traitement par Zilbrysq coute annuellement environ 237 512 \$ à 463 577 \$ par patient, en fonction du poids corporel.

Recommandation

Le Comité canadien d'expertise sur les médicaments (CCEM) recommande le remboursement du zilucoplan dans le traitement de la myasthénie généralisée avec anticorps dirigés contre le récepteur de l'acétylcholine (anti-RACH) chez l'adulte continuant de recevoir le traitement usuel, sous réserve des conditions énoncées au [tableau 1](#).

Justification

D'après un essai clinique randomisé de phase III, mené à double insu contre placebo (essai RAISE; N = 174), comparativement au placebo, le zilucoplan procure un bénéfice clinique supérieur dans la prise en charge de la myasthénie généralisée avec anticorps anti-RACH chez l'adulte. Selon l'essai RAISE, après 12 semaines de traitement, le zilucoplan procure une amélioration statistiquement significative et d'importance clinique du critère d'évaluation principal (variation du score à l'échelle des activités de la vie quotidienne MG-ADL, de l'anglais *Myasthenia Gravis Activities of Daily Living*) et des principaux critères d'évaluation secondaires (score à l'échelle QMG, de l'anglais *Quantitative Myasthenia Gravis*, score à l'échelle MGC, de l'anglais *Myasthenia Gravis Composite* et du score à l'outil d'évaluation de la qualité de vie avec la myasthénie généralisée à 15 éléments [MG-QoL15r]). Les résultats des patients du sous-groupe atteint de myasthénie généralisée réfractaire (n = 88) sont du même ordre que ceux de l'ensemble des participants à l'essai et portent à croire que le zilucoplan procure de meilleurs résultats que le placebo pour ce qui est de la variation par rapport au départ du score à l'échelle MG-ADL (différence moyenne entre les groupes de -3,11 points; intervalle de confiance [IC] à 95 % de -4,69 à -1,52 points), du score à l'échelle QMG (différence moyenne entre les groupes de -3,32 points; IC à 95 % de -5,42 à -1,23 points), du score à l'échelle MGC (différence moyenne entre les groupes de -3,68 points; IC à 95 % de -6,65 à -0,72 points) et du score MG-QoL15r (différence moyenne entre les groupes de -3,28; IC à 95 % de -5,89 à -0,67). En ce qui concerne le profil d'innocuité du zilucoplan, les infections sont plus fréquentes dans le groupe recevant ce médicament, mais la plupart sont de faible intensité, et il est relativement rare qu'elles entraînent l'abandon du traitement. Les résultats de l'essai de prolongation en mode ouvert RAISE-XT en matière d'efficacité et d'innocuité d'un traitement de longue durée semblent concorder avec les résultats de l'essai RAISE, et indiquent un maintien du bienfait du zilucoplan dans le temps.

Dans leurs observations, les patients soulèvent le besoin d'options thérapeutiques qui agissent rapidement, qui leur permettent de maintenir leur indépendance dans leurs activités quotidiennes, qui maîtrisent bien la maladie, qui entraînent peu d'effets secondaires, qui s'administrent simplement (méthode, fréquence et lieu d'administration) et qui diminuent le nombre d'exacerbations et d'admissions à l'hôpital ainsi que la dépendance aux corticostéroïdes. À la lumière des données probantes examinées, le CCEM conclut que le zilucoplan répond à certains des besoins mis de l'avant. Les résultats de l'évaluation de l'efficacité de l'essai RAISE indiquent que le zilucoplan procurerait des bénéfices significatifs pour ce qui est des activités quotidiennes, de la gravité des symptômes de la myasthénie généralisée et de la qualité de vie liée à la santé (QVLS) par rapport au placebo, même si les effets du traitement par rapport à d'autres produits de comparaison sont incertains. De plus, le zilucoplan agit rapidement et s'administre par voie sous-cutanée,

ce qui peut être effectué au domicile du patient. Lors de l'essai RAISE, l'effet du zilucoplan sur les exacerbations de myasthénie généralisée, les hospitalisations et les doses de corticostéroïdes n'a pas été évalué.

Le Comité examine les analyses effectuées par l'Agence des médicaments du Canada (CDA-AMC) sur le rapport cout/efficacité du zilucoplan combiné au traitement usuel par rapport au traitement usuel seul, à l'efgartigimod alfa combiné au traitement usuel, à l'administration régulière d'immunoglobulines par voie intraveineuse ou sous-cutanée en combinaison avec le traitement usuel, aux plasmaphérèses thérapeutiques régulières combinées au traitement usuel et au rituximab combiné au traitement usuel, d'après les données de la comparaison de traitements indirecte (CTI) fournie par le promoteur et de comparaisons naïves. Si l'on se fie au prix soumis par le promoteur pour le zilucoplan et aux prix accessibles au public pour les autres médicaments, le rapport cout/efficacité différentiel (RCED) du traitement à l'étude est de 6 024 377 \$ l'année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ) gagnée par rapport à la plasmaphérèse thérapeutique combiné aux soins usuels. D'après cette analyse, il faudrait réduire le prix du traitement d'environ 95 % pour obtenir un RCED de 50 000 \$ l'AVAQ gagnée.

Tableau 1 : Conditions de remboursement et justification

Condition de remboursement	Justification	Conseils de mise en œuvre
Amorce du traitement		
<p>1. Le traitement est remboursé chez les adultes atteints de myasthénie généralisée réfractaire, c'est-à-dire dont les symptômes ne sont pas maîtrisés après l'une des approches thérapeutiques suivantes :</p> <p>1.1. un an ou plus de traitement par au moins deux des traitements suivants : prednisone, azathioprine, mycophénolate, cyclosporine, cyclophosphamide, méthotrexate, tacrolimus, autres corticostéroïdes ou autres immunosuppresseurs;</p> <p>1.2. traitement antérieur par au moins un immunosuppresseur pendant un an ou plus en combinaison avec des plasmaphérèses thérapeutiques régulières ou l'administration régulière d'immunoglobulines par voie intraveineuse ou sous-cutanée au moins tous les 3 mois pendant 12 mois.</p> <p>2. Les patients présentent toutes les</p>	<p>Selon les analyses par sous-groupes de l'essai RAISE portant sur les patients atteints de myasthénie généralisée réfractaire (représentant 51 % des participants à l'essai), par comparaison au placebo, le traitement par le zilucoplan procure un bénéfice clinique lorsque les symptômes ne sont pas maîtrisés après les traitements usuels (définis aux points 1.1 et 1.2).</p> <p>Les critères d'admissibilité à l'essai RAISE incluent les adultes (ayant entre 18 ans et moins de 75 ans) atteints de myasthénie généralisée ayant obtenu un résultat positif pour les anticorps anti-RACH et présentant un score à l'échelle MG-ADL de 6 ou plus, dont la maladie correspond à la classe II à IV selon la classification de la MGFA, et qui sont vaccinés contre les infections à méningocoques.</p>	<p>Le CCEM remarque que le rituximab pourrait être accessible dans certaines régions, mais les cliniciens experts font savoir que l'accès à ce médicament continue de faire obstacle pour certains patients.</p> <p>La définition de la myasthénie généralisée réfractaire utilisée pourrait être comparable à celle utilisée pour d'autres traitements de pointe de cette maladie (notamment l'efgartigimod alfa et le ravulizumab), en fonction des critères de remboursement de chacun des régimes d'assurance médicaments publics.</p>

Condition de remboursement	Justification	Conseils de mise en œuvre
caractéristiques suivantes : 2.1. résultat séropositif pour les anticorps anti-RACH; 2.2. score à l'échelle MG-ADL de 6 ou plus; 3.3. stade II à IV selon la classification de la MGFA; 2.4. vaccination contre les infections à méningocoques.		
3. Le traitement par le zilucoplan n'est pas instauré dans les circonstances suivantes : 3.1. pendant une exacerbation ou une crise; 3.2. au cours des 12 mois suivant une thymectomie.	Les patients qui ont subi une thymectomie dans les 12 mois précédant la sélection ou qui ont reçu un traitement par des immunoglobulines par voie intraveineuse ou une plasmaphérèse thérapeutique 4 semaines avant le début de l'essai sont exclus de l'essai RAISE. On ne connaît donc pas l'efficacité ni les effets néfastes du zilucoplan chez ces populations de patients.	—
4. Le score à l'échelle MG-ADL au départ est mesuré par le médecin.	Le score à l'échelle MG-ADL au début de l'étude a été mesuré dans l'essai RAISE et a ensuite servi à déterminer la réponse au traitement.	—
5. La durée maximale de la première autorisation est de 6 mois.	Selon les cliniciens experts, il serait raisonnable de donner une première autorisation de six mois pour évaluer la réponse au traitement.	—
Renouveau		
6. Le remboursement du traitement par le zilucoplan se poursuit si, après les six premiers mois, il y a une amélioration démontrée du score à l'échelle MG-ADL de 2 points ou plus.	Même si aucune différence minimale d'importance clinique n'a été estimée, une amélioration d'environ 2 points du score total à l'échelle MG-ADL constitue un seuil de réponse recommandé indiquant une amélioration clinique à l'échelle individuelle chez les patients atteints de myasthénie généralisée. Les cliniciens experts proposent d'utiliser une diminution du score à l'échelle MG-ADL de 2 points comme mesure minimale d'importance clinique de la réponse au traitement.	Selon les cliniciens experts, si un patient obtient une réponse thérapeutique après une période initiale de 6 mois de traitement par le zilucoplan, le traitement devrait se poursuivre tant que le patient présente une réponse d'importance clinique. En ce qui concerne la durée maximale du traitement, le traitement par le zilucoplan se poursuivrait probablement tant qu'il continue d'être efficace ou si la maladie entrait en rémission spontanée.
7. Pour le renouvellement du remboursement, le clinicien traitant fournit la preuve du maintien de la réponse obtenue après les 6 premiers mois de traitement par le zilucoplan sur le plan du score à l'échelle MG-ADL.	Cette condition vise à veiller à ce que la réponse au traitement par le zilucoplan se maintient.	De l'avis des cliniciens experts, il est possible que le zilucoplan soit utilisé pendant un an ou plus. Un patient ayant initialement répondu au traitement par le zilucoplan (après les 6 premiers mois de traitement) et dont l'état s'est maintenu pendant un an, mais s'est aggravé par la suite (après

Condition de remboursement	Justification	Conseils de mise en œuvre
Par la suite, on procède à une réévaluation tous les 6 mois.		la fin du traitement par le zilucoplan) pourrait recommencer le traitement, tant qu'il répond aux critères d'amorce. On ne s'attendrait alors pas à ce que le patient essaie à nouveau un traitement usuel (p. ex. un inhibiteur de l'acétylcholinestérase, un corticostéroïde ou un immunosuppresseur non stéroïdien).
Arrêt du traitement		
8. Le traitement par le zilucoplan cesse en cas d'évènement indésirable grave ou d'infection (telle qu'une infection à méningocoque) en lien avec le médicament.	Dans l'essai RAISE, le traitement par le zilucoplan était abandonné en cas d'infection grave non maîtrisée.	—
Prescription		
9. Le zilucoplan n'est remboursé que s'il est prescrit par un neurologue possédant une expertise de la prise en charge de la myasthénie ou en consultation avec ce spécialiste.	Il est important de poser un diagnostic exact et d'assurer le suivi du patient, pour que le zilucoplan soit prescrit aux patients chez lesquels il est approprié.	—
10. Le zilucoplan n'est pas utilisé en même temps que le rituximab ou un inhibiteur du complément.	On ne connaît pas l'efficacité et l'innocuité du zilucoplan combiné au rituximab, à l'éculizumab ou à l'efgartigimod alfa.	—
Prix		
11. Le prix est réduit.	<p>Le rapport cout/efficacité du zilucoplan combiné au traitement usuel est très incertain.</p> <p>Le RCED du traitement par le zilucoplan combiné au traitement usuel est estimé à 6 024 388 \$ l'AVAQ gagnée par rapport à la plasmaphérèse thérapeutique combinée au traitement usuel.</p> <p>Une réduction du prix de 95,5 % est nécessaire pour que le RCED du zilucoplan passe sous le seuil de 50 000 \$ l'AVAQ gagnée comparativement au traitement usuel seul.</p> <p>Le rapport cout/efficacité par rapport aux autres traitements de pointe de la myasthénie généralisée avec anticorps anti-RACH (l'efgartigimod alfa, le rituximab, les immunoglobulines par voie intraveineuse, la plasmaphérèse thérapeutique et le ravulizumab) est incertain étant donné l'absence de données probantes comparatives directes et les limites de la comparaison</p>	—

Condition de remboursement	Justification	Conseils de mise en œuvre
	indirecte. Pour que le zilucoplan soit rentable, son prix ne devrait pas dépasser celui du traitement de pointe le moins cher remboursé contre la myasthénie généralisée avec anticorps anti-RACH.	
Faisabilité de l'adoption		
12. La faisabilité économique de l'adoption du zilucoplan est examinée.	Au prix indiqué, on s'attend à ce que l'impact budgétaire différentiel du traitement à l'étude soit supérieur à 40 000 000 \$ la troisième année.	—

AVAQ = année de vie ajustée en fonction de la qualité; CCEM = Comité canadien d'expertise sur les médicaments; MG-ADL = *Myasthenia Gravis Activities of Daily Living*; MGFA = *Myasthenia Gravis Foundation of America*; RACH = récepteur de l'acétylcholine; RCED = rapport cout/efficacité différentiel

Points de discussion

- Besoins importants non comblés** : Le CCEM se penche sur le cas du zilucoplan 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). La myasthénie généralisée est une maladie auto-immune rare, chronique et évolutive qui a d'importantes répercussions sur les capacités fonctionnelles des personnes qui en sont atteintes. On estime qu'environ 15 % des patients sont atteints d'une maladie réfractaire et sont donc concernés par la demande de remboursement à l'étude. Le Comité et les cliniciens experts s'accordent pour dire qu'il existe un important besoin d'options efficaces pour les patients dont les symptômes ne sont pas maîtrisés après un traitement usuel (inhibiteur de l'acétylcholine, corticostéroïde ou immunosuppresseur non stéroïdien). Les résultats par sous-groupe de l'essai RAISE portent raisonnablement à croire que le zilucoplan procure des bénéfices significatifs en matière d'activités quotidiennes, de gravité des symptômes de la myasthénie généralisée et de QVLS par rapport au placebo. Le Comité conclut que les données probantes existantes appuient l'utilisation du zilucoplan dans le traitement de la myasthénie généralisée réfractaire. Il recommande donc le remboursement de ce traitement sous réserve de conditions chez ces patients.
- Efficacité** : Lors de l'essai RAISE, aucun calcul n'a été fait afin de déterminer la taille de l'échantillon nécessaire pour détecter des différences statistiquement significatives de l'effet du traitement dans le sous-groupe de patients atteints de myasthénie généralisée réfractaire. Cependant, comme les effets du zilucoplan dans ce sous-groupe concordent avec ceux observés dans l'ensemble de la population de l'essai pour tous les critères d'évaluation principaux, il semble probable que le zilucoplan procure un effet clinique bénéfique chez les patients atteints de myasthénie généralisée réfractaire par rapport au placebo. Les différences absolues de l'estimation de l'effet du traitement dépassent les seuils d'importance proposés. Ces données probantes sont assorties d'un degré de certitude modéré d'après une évaluation par l'approche GRADE (*Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation*). Le degré de confiance dans les différences entre les groupes pour ce

qui est des critères d'évaluation principaux et secondaires tant dans l'ensemble de la population de l'essai que dans le sous-groupe atteint de myasthénie généralisée réfractaire est limité en raison de l'imprécision des résultats (les intervalles de confiance associés incluaient les effets proches de la valeur nulle).

- **Effets indésirables** : Le CCEM se penche sur le souhait des patients d'avoir un traitement entraînant peu d'effets secondaires. Même si l'essai RAISE ne fournit pas de données probantes comparatives directes sur les effets indésirables du zilucoplan par rapport à ceux d'autres traitements de pointe de la myasthénie généralisée (éculizumab, efgartigimod et immunoglobulines par voie intraveineuse, notamment), les évènements indésirables survenus en cours de traitement (EIST) semblent plus fréquents chez les patients qui reçoivent le zilucoplan que chez ceux qui reçoivent le placebo. Parmi les EIST les plus fréquents dans le groupe du zilucoplan, on compte les réactions au point d'injection, les infections, la diarrhée et les céphalées. Les infections sont plus fréquentes dans le groupe du zilucoplan, ce qui est mentionné dans la monographie autorisée par Santé Canada. Dans la majorité des cas, les infections sont de faible intensité, et il est relativement rare qu'elles entraînent l'abandon du traitement. Aucune infection à méningocoque n'a été signalée lors de l'essai RAISE, pour lequel les patients devaient être vaccinés. L'incidence d'EIST et d'évènements indésirables graves dans le sous-groupe de patients atteints d'une myasthénie généralisée réfractaire était globalement cohérente avec les effets néfastes constatés dans l'ensemble de la population de l'essai.
- **Données probantes indirectes** : L'efficacité et l'innocuité comparatives du zilucoplan sont incertaines en raison de l'absence de données probantes comparatives directes. Le promoteur a soumis une métaanalyse en réseau évaluant le zilucoplan par rapport à l'éculizumab, à l'efgartigimod alfa, aux immunoglobulines par voie intraveineuse, à la plasmaphérèse thérapeutique et au rituximab. La métaanalyse comporte plusieurs limites, notamment l'hétérogénéité des plans d'études et des populations étudiées, le réseau épars, les données de courte durée et l'imprécision des estimations. Les données probantes comparatives sont insuffisantes pour tirer des conclusions définitives sur l'efficacité relative (c'est-à-dire la variation du score à l'échelle MG-ADL par rapport au départ et l'amélioration de ce score d'au moins 3 points) du zilucoplan par rapport aux autres traitements.
- **Étude de prolongation de longue durée** : Le CCEM se penche sur les données de l'étude de prolongation de longue durée RAISE-XT, selon lesquelles le zilucoplan procurerait un bénéfice pouvant durer 1,5 an et aurait un profil d'effets indésirables à long terme correspondant à celui de l'essai RAISE. Cependant, l'interprétation des résultats à long terme est limitée par la petite taille de l'échantillon et la nature ouverte et descriptive de l'étude de prolongation. Le CCEM considère donc ces données comme des données probantes complémentaires.
- **Administration du traitement** : Le CCEM aborde le souhait des patients de disposer d'un traitement facile à administrer (méthode, fréquence et lieu d'administration). Le zilucoplan pourrait offrir de la commodité, puisqu'il agit rapidement (habituellement, il faut approximativement entre 9 et 18 mois de traitement par un immunosuppresseur non stéroïdien pour obtenir une réponse optimale) et qu'il s'administre par voie sous-cutanée, ce qui peut être effectué au domicile du patient plutôt qu'à

l'hôpital ou dans des cliniques spécialisées, comme c'est le cas pour les traitements administrés par voie intraveineuse comme les immunoglobulines. Cependant, on ne dispose d'aucune donnée probante évaluant les répercussions de la voie d'administration du zilucoplan sur la QVLS.

- **Rapport cout/efficacité du zilucoplan** : Le CCEM se penche sur le rapport cout/efficacité du zilucoplan dans le traitement de la myasthénie généralisée avec anticorps anti-RACh chez l'adulte qui continue de recevoir son traitement habituel. D'après l'analyse du promoteur, le RCED du zilucoplan combiné au traitement usuel est de 1 611 347 \$ l'AVAQ gagnée par rapport à la plasmaphérèse thérapeutique combinée au traitement usuel. CDA-AMC relève plusieurs limites dans le dossier présenté par le promoteur, notamment l'incertitude associée aux comparaisons indirectes avec les comparateurs pertinents, les hypothèses erronées quant à l'abandon du traitement, les hypothèses concernant la réduction de l'utilisation des corticostéroïdes qui ne sont pas étayées par les données cliniques et surestiment probablement l'ampleur de cette réduction, ainsi que le manque de transparence et de fiabilité de la modélisation, autant de limites qui compliquent la validation des résultats dans le temps imparti pour la réalisation du présent examen. D'après les réanalyses effectuées par CDA-AMC pour pallier certaines des limites relevées, le RCED du zilucoplan pourrait être de 6 024 388 \$ l'AVAQ gagnée. Le CCEM estime que le RCED issu de l'analyse combinée des scénarios de CDA-AMC donne une estimation raisonnable du RCED du zilucoplan. De plus, si d'autres traitements contre la myasthénie généralisée réfractaire dont le remboursement a récemment été recommandé par CDA-AMC viennent à être remboursés par les régimes d'assurance médicaments participants, aucune donnée clinique comparative robuste ne justifie un surcout du zilucoplan par rapport au traitement de pointe le moins cher remboursé contre la myasthénie généralisée avec anticorps anti-RACh.

Pour connaître le contenu des sections **Contexte**, **Sources d'information utilisées par le Comité**, **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^s 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 27 novembre 2024

Absences : Deux membres sont absents.

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.

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 chez 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.