

**RECOMMANDATION FINALE du CCCEM  
et  
MOTIFS de la RECOMMANDATION**

---

**PEGAPTANIB SODIQUE  
(Macugen<sup>MC</sup> – Pfizer Canada Inc.)**

**Description :**

Le pegaptanib est un antagoniste sélectif du facteur de croissance endothélial vasculaire (FCEV) qui exerce un effet anti-angiogénèse. Il est d'usage autorisé dans le traitement de la néovascularisation choroïdienne découlant de la dégénérescence maculaire liée à l'âge (DMLA).

**Présentation :**

Le pegaptanib est une solution injectable à la concentration de 0,3 mg dans une seringue de 90 µL prête à l'injection intravitréenne.

**Recommandation :**

Le Comité consultatif canadien d'expertise sur les médicaments (CCCEM) recommande que le pegaptanib ne soit pas inscrit sur la liste des médicaments couverts.

**Motifs de la recommandation :**

1. Le Comité est conscient des répercussions de la DMLA et de la diminution de l'acuité visuelle chez les personnes âgées canadiennes et de la nécessité de traiter l'affection avec efficacité. Le pegaptanib est le seul traitement approuvé par Santé Canada dans toutes les formes de DMLA néovasculaire humide. Le Comité a étudié les résultats de deux essais cliniques comparatifs et randomisés (ECR), de conception à double insu identique, qui comparent le pegaptanib à trois doses, soit 0,3 mg, 1 mg et 3 mg, à une intervention témoin fictive, en administration dans un œil aux six semaines pendant un an. Comparativement au groupe de l'intervention fictive, le pegaptanib à la dose approuvée de 0,3 mg amène une amélioration statistiquement significative sur le plan du nombre de personnes qui perdent moins de trois lignes d'acuité visuelle (70 % des personnes traitées par le pegaptanib contre 55 % des personnes de l'intervention fictive) et du nombre de personnes qui gagnent  $\geq$  trois lignes d'acuité visuelle (6 % des personnes traitées par le pegaptanib contre 2 % des personnes de l'intervention fictive).

Le Comité estime que les taux d'abandons dans les groupes sous pegaptanib dans la seconde année des ECR (13 % et 27 %) sont trop élevés pour évaluer avec fiabilité l'efficacité pratique du pegaptanib durant une période plus longue qu'un an.

2. L'effet bénéfique du pegaptanib sur l'acuité visuelle a été évalué dans l'œil à l'étude seulement, et son effet sur la vision en général dans les deux yeux est imprécis. L'ECR qui mesure la qualité de vie ne constate pas de différences remarquables à cet égard entre les personnes traitées par le pegaptanib et les autres.

3. Le coût du pegaptanib est de 995 \$ la dose, soit 7 960 \$ par an. La modélisation économique présentée par le fabricant indique un ratio coût-efficacité supplémentaire de 59 000 \$ par année de vie pondérée par la qualité (QALY) comparativement au traitement usuel. L'analyse repose sur un horizon temporel couvrant la vie entière, malgré que l'on ne sache pas vraiment si l'effet bénéfique clinique du pegaptanib persiste au-delà d'un an de traitement. Par conséquent, le ratio coût-efficacité réel du pegaptanib sera vraisemblablement plus élevé. Dans ce contexte, au prix actuel du médicament, le Comité juge que le pegaptanib n'est pas rentable.

**À souligner :**

1. Le Comité a tenu compte des données publiées et des données inédites sur le sujet avant de formuler sa recommandation.
2. Le pegaptanib est administré en injection intravitréenne, et les ECR rapportent que les effets indésirables suivants se sont produits dans les groupes sous pegaptanib : l'endophtalmie (1,3 % des patients), le décollement de la rétine (0,7 % des patients) et des lésions traumatiques au cristallin (0,6 % des patients).