



(javascript:)

CARDIO-VASCULAIRE HTA (ACTUS-MEDICALES/CARDIO-VASCULAIRE-HTA)

Cardiomyopathie amyloïde : un médicament révolutionnaire retardé faute de remboursement

Par Marielle Ammouche le 26-03-2019



L'association française contre l'amylose, et des spécialistes, alertent sur le retard administratif pris pour que les patients atteints d'amylose cardiaque puissent bénéficier d'un médicament, le tafamidis, qui pourrait bouleverser le pronostic de la maladie, actuellement très sévère.

Cette cardiomyopathie avec amylose implique une protéine de transport, la transthyréline. Elle aboutit à une insuffisance cardiaque progressive. Jusqu'à récemment, cette maladie était mortelle dans 50% des cas à 3 ans. Mais le tafamidis (Vyndaqel, Pfizer), a récemment changé la donne, en montrant une réduction de la mortalité de 30% à 2 ans et demi, ainsi qu'un impact majeur sur les hospitalisations et la qualité de vie des patients. Mais voilà, après avoir obtenu rapidement, le 29 novembre 2018, une recommandation temporaire d'utilisation (RTU), puis une recommandation de la Haute autorité de santé dans cette indication, le 19 décembre, la dernière étape, qui est la publication de l'arrêté de prise en charge, n'est toujours pas franchie.

En attendant la publication "certains cardiologues prescrivent et certains pharmaciens délivrent (le tafamidis, NDLR), mais l'arrêté n'étant pas publié, d'autres s'y refusent", alerte Françoise Pelcot (directrice de l'Association française contre l'amylose), (<http://sante.lefigaro.fr/sante/maladie/amylose/quest-ce-que-cest>) dans son courrier du 29 janvier à la ministre, cité dans un article du *Figaro* (24 mars). Un nouveau courrier a été envoyé le 11 mars à la ministre, cosigné cette fois par le Pr Thibaud Damy (coordonnateur du **centre de référence des amyloses cardiaques** (<http://www.reseau-amylose.org/>) au CHU Henri Mondor, Créteil 94) mais sans retour. Le spécialiste sollicite un rendez-vous afin d'évoquer "le sort de ces patients dont l'état ne cesse de se dégrader et évolue rapidement vers une issue fatale en attendant un acte administratif", relate le quotidien. Contacté par *Le Figaro*, le ministère de la Santé renvoie vers la direction de la Sécurité sociale. La réponse est en attente. Le coût du traitement est estimé à 4 400 euros par mois.

La cardiopathie amyloïde apparaît entre 50 et 70 ans lorsqu'elle est secondaire à une mutation autosomique dominante du gène TTR codant la transthyréline, plus tardivement entre 60 et 80 ans chez les sujets porteurs de l'allèle sauvage. L'apparition de l'insuffisance cardiaque est due à des modifications de la transthyréline, qui devient instable, change de conformation et aboutit à la formation d'une protéine amyloïde se déposant dans le myocarde. Cette forme de cardiomyopathie non familiale correspond à l'ancienne dénomination d'amylose sénile systémique. Il s'agit d'une affection rare, dont la prévalence est mal appréciée. Mais elle pourrait représenter 5 % des patients suspects de présenter une cardiomyopathie hypertrophique. Son pronostic était jusqu'à présent, du fait de l'absence de traitement, très péjoratif, avec une médiane de survie de l'ordre de 3,5 années.

Le tafamidis agit sur la transthyréline en la stabilisant. Cela limite ainsi la formation de la protéine amyloïde TTR. Cette molécule a prouvé son efficacité, dans les deux formes de la maladie, au cours de l'essai ATTR-ACT, qui a été présenté au dernier congrès européen de cardiologie (Munich, 25-29 août 2018). Cette étude a été conduite chez 441 patients avec le tafamidis aux doses de 20 et 80 mg/j. L'administration de ce médicament s'est globalement traduite, pour les 2 doses étudiées, par une baisse de 30 % de la mortalité

FORMATION : Les 10 points clés



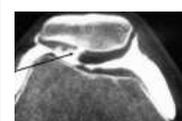
ANGIOLOGIE
Contention veineuse



DIABÉTOLOGIE
Surveillance du diabète de type 1



INFECTIOLOGIE
Grippe



RHUMATOLOGIE
Gonarthrose

globale (29,5 % versus 42,9 %) avec réduction significative des hospitalisations cardiovasculaires (52,3 % contre 60,5 %), ralentissement du déclin de la capacité de marche et amélioration de la qualité de vie des patients.

Sources :

Le Figaro (24 mars 2019)

<http://sante.lefigaro.fr/article/un-medicament-crucial-ralenti-par-la-securite-sociale/> (<http://sante.lefigaro.fr/article/un-medicament-crucial-ralenti-par-la-securite-sociale/>)

<https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1805689> (<https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1805689>)

https://webzine.has-sante.fr/portail/jcms/c_2896523/fr/decision-n-2018-0242/dc-sem-du-19-decembre-2018-du-college-de-la-haute-autorite-de-sante-portant-sur-la-recommandation-relative-a-la-prise-en-charge-a-titre-derogatoire-de-vyndaqel-tafamidis-dans-le-cadre-d-une-recommandation-temporaire-d-utilisation (https://webzine.has-sante.fr/portail/jcms/c_2896523/fr/decision-n-2018-0242/dc-sem-du-19-decembre-2018-du-college-de-la-haute-autorite-de-sante-portant-sur-la-recommandation-relative-a-la-prise-en-charge-a-titre-derogatoire-de-vyndaqel-tafamidis-dans-le-cadre-d-une-recommandation-temporaire-d-utilisation)

D'accord, pas d'accord ?

Débattez-en avec vos confrères.

SE CONNECTER

Vous n'avez pas de compte ?

Inscrivez-vous gratuitement

<https://www.medok.fr/Egora/Register>

EGORA VOUS RECOMMANDE ÉGALEMENT :



</actus-medicales/cardio-vasculaire-hta/41310-esc-2018-efficacite-du-tafamidis-dans-une>

ESC 2018 : Efficacité du tafamidis dans une

cardiomyopathie amyloïde (</actus-medicales/cardio-vasculaire-hta/41310-esc-2018-efficacite-du-tafamidis-dans-une>)

De nouvelles perspectives dans l'insuffisance

cardiaque (</actus-medicales/cardio-vasculaire-hta/3792-de-nouvelles-perspectives-dans-l-insuffisance-cardiaque>)



</actus-medicales/diabetologie/38647-congres-de-diabetologie-penser-a-l-insuffisance-cardiaque-chez-le>

Congrès de diabétologie - Penser à l'insuffisance

cardiaque chez le patient diabétique (</actus-medicales/diabetologie/38647-congres-de-diabetologie-penser-a-l-insuffisance-cardiaque-chez-le>)

Un médicament

révolutionnaire

pour le traitement

de l'insuffisance

cardiaque

VU & ENTENDU



États-Unis : un patient de 79 ans apprend qu'il va mourir par robot interposé



Le coup de gueule de Martine Aubry face à Agnès Buzyn et Nicole Belloubet [VIDEO]



CPTS : ce que réserve le directeur de la C aux médecins réfractaires [VIDEO]

AUJOURD'HUI DANS L'ACTU



ÉTUDES DE MÉDECINE
Michèle Rivasi
veut rendre
obligatoire
l'enseignement d...



SYNDICALISME
Suicides de
médecins : pour
briser "l'omerta...



DÉMOGRAPHIE MÉDICALE
Fermeture de
maternités : Agnès
Buzyn propose
"un...



MÉDICAMENTS
La HAS
recommande les
fleurs de Bach dans
la cystite ps...

PUB