**UE 75 – 2024/2025**

**M2S1 – INDUSTRIE**

**ED 1- ENONCE**

**Consignes**

* Durée de présentation : 10 minutes par question (environ 10 diapos sur power point) suivie de 5 minutes de discussion.
* Il est nécessaire de préciser les sources documentaires dans votre présentation.
* Avant de répondre à votre question, relisez attentivement l’ensemble des questions afin de ne pas commettre de doublons de réponses avec les autres étudiants
* Les fichiers (ppt ou pdf) seront à remettre aux enseignants en fin de séance.
* Lisez l’ensemble des questions et répondez spécifiquement à celle qui vous a été attribuée.

**HEMLIBRA® (EMICIZUMAB)**

**Question 1 :**

Qu’est-ce que l’hémophilie ? Définissez les différentes formes.

Une hémophilie peut – elle être diagnostiquée chez un enfant en l’absence de toute histoire familiale connue ? Expliquez.

Quelle est la prévalence de l’hémophilie ? Comment est organisée la prise en charge des patients hémophiles en France ?

**Question 2 :**

Quelles sont les principales manifestations cliniques de l’hémophilie et les risques à moyen terme, en l’absence de traitement ?

Quels types de médicaments sont disponibles pour la prise en charge des patients hémophiles A ? décrire leur mode d’action

**Question 3 :**

Quelles sont les éventuelles complications de ces traitements chez les hémophiles A sévères ? Quelle stratégie est mise en oeuvre pour les dépister et les quantifier ?

Quels sont les avantages et risques que présentent l’emicizumab (Hemlibra®) par rapport aux autres médicaments utilisés dans le traitement de l’hémophilie A avec inhibiteurs ?

Quels sont les difficultés liées aux conditionnements d’Hemlibra et que demande la HAS vis-à-vis de cette présentation ?

**Question 4 :**

**Qu’est ce que le Valoctocogene roxaparvovec, quel est son mécanisme d’action ?**

**Quelle est son indication ?**

**Quel est le plan de gestion des risques demandé, pourquoi ?**

**Question 5 :**

**Depuis le 27 mars 2024, la commission de transparence de l’HAS a donné son avis favorable pour le remboursement d’un complément de gamme de l’Hemlibra**

**Qu’est ce qu’un complément de gamme ?**

**Quelle est la nouvelle indication ici? Quel est son intérêt ?**

**En quoi le développement d’un médicament en France est en Europe est facilité pour les maladies rares ?**