



## ÉVALUATION DES NIVEAUX DE PREUVE DES NOUVELLES INDICATIONS DES MEDICAMENTS ORPHELINS PUBLIÉES DANS LE JOURNAL OFFICIEL ALGERIEN : CAS DE L'ÉCULIZUMAB

HARRACHE Fatima Zohra<sup>1</sup>, CHELGHOU Mustapha<sup>2</sup>.

1 Pharmacie Centrale, Centre Abdelkader HASSANI, Sidi Bel Abbès, Algérie.

\* E-mail (du communicant principal): harrachefatima6@gmail.com

### Résumé

Ce travail analyse les nouvelles indications de l'Éculizumab inscrites dans le Journal Officiel algérien, en les confrontant aux données scientifiques disponibles. L'analyse montre un niveau de preuve élevé pour la myasthénie généralisée et la neuromyéélite optique, appuyé par des essais cliniques de phase 3 et des recommandations internationales. En revanche, l'indication dans le déficit en CD55 repose sur des données très limitées. Ces résultats soulignent la nécessité d'une évaluation continue des preuves pour garantir une prise en charge sécurisée des maladies rares.

**Mots-clés : Eculizumab, Niveau de preuve, Maladie rare**

### 1-INTRODUCTION

En Algérie, la classification des maladies orphelines a récemment été actualisée avec la publication d'une nouvelle liste dans le Journal Officiel. Cette mise à jour introduit de nouvelles indications thérapeutiques pour plusieurs médicaments, soulignant l'importance d'une prise en charge fondée sur des preuves scientifiques robustes. Ce travail vise à examiner ces nouvelles indications, en les comparant aux données disponibles dans la littérature scientifique, afin d'évaluer leur niveau de preuve et leur alignement avec les recommandations internationales. L'étude se focalisera sur l'Éculizumab, un médicament orphelin dont les nouvelles indications nécessitent une attention particulière.

### 2-MATÉRIELS ET MÉTHODE

Une recherche bibliographique a été effectuée à partir des bases de données PubMed, Science Direct, Google Scholar, ainsi que de la base de données Orphanet pour les maladies rares. La recherche a été complétée par des recommandations internationales, telles que l'International Consensus Guidance for the Management of Myasthenia Gravis (2020), ainsi que les recommandations de la FDA et de la HAS. De plus, le Journal Officiel algérien et les RCP du médicament ont été consultés pour examiner les nouvelles indications thérapeutiques. Les études sélectionnées comprenaient des méta-analyses, des études multicentriques de phase 3 et des essais randomisés.

### 3-RÉSULTATS ET DISCUSSION

Nouvelles Indications	Reconnaissance réglementaire	Données de la littérature	Niveau de preuve	Limites
Myasthénie généralisée (AChR+)	Oui	Étude REGAIN (phase 3) : amélioration significative. FDA (2017) : approbation. Lignes Directrices Internationales (2020).	Élevé	Durée optimale non définie Efficacité en cas non réfractaire ? Sécurité à long terme.
Neuromyéélite optique (NMOSD AQP4-IgG+)	Oui	2 études multicentriques : réduction des crises. FDA : approbation. Comparé à inebilizumab, natalizumab.	Élevé	Risques d'infections systémiques Crises post-vaccination méningococcique Comorbidités à surveiller.
Déficit en CD55	Oui	Données insuffisantes. Pas d'études cliniques robustes publiées.	Faible / Absent	Absence de preuves d'efficacité.

### 4-CONCLUSION

Il existe un niveau de preuve solide pour certaines indications de l'Éculizumab, comme la myasthénie et la neuromyéélite optique, grâce à des études multicentriques et des recommandations internationales. Cependant, pour d'autres indications, comme le déficit en CD55, les preuves sont insuffisantes, ce qui souligne l'importance de faire preuve de prudence dans la prise en charge des patients. Il est essentiel de consulter régulièrement la littérature et les recommandations afin d'assurer une prise en charge sécurisée des médicaments orphelins.

### Références bibliographiques

- Algérie. Journal Officiel de la République Algérienne Démocratique et Populaire. 2024 déc 18
- Howard JF, Utsugisawa K, Benatar M, Murai H, Barohn RJ, Illa I, et al. Safety and efficacy of eculizumab in anti-acetylcholine receptor antibody-positive refractory generalised myasthenia gravis (REGAIN): a phase 3, randomised, double-blind, placebo-controlled, multicentre study. Lancet Neurol. déc 2017;16(12):976-86.
- Traitements de la myasthénie grave [Internet]. Myasthenia Gravis Foundation of America. [cité 8 avr 2025]. Disponible sur: <https://myasthenia.org/fr/myasthenia-gravis-treatments/>