Saksnummer: 012-24 Vedlegg 3

**Notat til Bestillerforum for nye metoder**

|  |  |
| --- | --- |
| **Til:** | Bestillerforum for nye metoder |
| **Fra:** | Statens legemiddelverk |
| **Dato:** | 04.12.2023 |

**Hva saken omhandler i korte trekk**

Oppdrag ID2018\_065. Hurtig metodevurdering gjennomføres av Statens legemiddelverk for patisiran (Onpattro) til behandling av hereditær (arvelig) transthyretin amyloidose (hATTR), ble gitt av Bestillerforum 27.08.2018.

**Bakgrunn for saken**  
Statens legemiddelverk bestilte dokumentasjon til metodevurderinger 18.06.2018. Vi har sendt flere forespørsler til legemiddelfirma, om når de estimerer å sende inn dokumentasjon til metodevurdering for dette oppdraget. Legemiddelverket har ikke mottatt noen konkret tidsplan for innsendelse av dokumentasjon til metodevurdering fra firma i denne saken.   
  
**Informasjon om aktuelt legemiddel:**

|  |  |
| --- | --- |
| **Handelsnavn** | Onpattro |
| **Virkestoff** | Patisiran |
| **ATC-kode** | N07XX12 |
| **Legemiddelfirma** | Alnylam Netherlands B.V. |
| **Godkjent indikasjon (MT)** | Onpattro er indisert til hereditær (arvelig) transthyretin amyloidose (hATTR amyloidose) hos voksne pasienter med polynevropati i stadium 1 eller stadium 2. |
| **MT-dato** | 27.08.2018 |
| **MT- dato aktuell indikasjon** | 27.08.2018 |
| **Aktuell Indikasjon** | Patisiran (Onpattro) til behandling av hereditær (arvelig) transthyretin amyloidose (hATTR). |
| **Øvrige indikasjoner og status i Nye Metoder** | Ingen øvrige indikasjoner i Nye Metoder. |
| **Administrasjonsform** | Konsentrat til infusjonsvæske, oppløsning |
| **Dosering** | Anbefalt dose for Onpattro er 300 mikrogram per kg kroppsvekt administrert via intravenøs (i.v.) infusjon en gang hver 3. uke.  Dosering er basert på faktisk kroppsvekt. For pasienter som veier ≥ 100 kg, er den anbefalte maksdosen 30 mg. Behandling skal igangsettes så tidlig som mulig etter symptomdebut (se pkt. 5.1). Beslutningen om å  fortsette behandlingen hos pasienter der sykdommen har progrediert til polynevropati i 3. stadium skal tas i henhold til legens skjønn basert på en totalvurdering av nytte/risiko (se pkt. 5.1). Vitamin A-tilskudd på cirka 2500 IE vitamin A per dag anbefales hos pasienter som behandles med  Onpattro (se pkt. 4.4). |
| **Markedsføringsstatus** | Ikke markedsført på det norske markedet. |
| **Lenke til godkjent preparatomtale** | <https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/onpattro-epar-product-information_no.pdf> |
| **Lenke til EPAR** | <https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/onpattro-epar-public-assessment-report_.pdf> |

Det foreligger aktuelle metodevurderinger fra andre land:

Sverige, (TLV): <https://janusinfo.se/download/18.4b44d9c117e31ff4597f3af2/1642514532460/Tegsedi%20och%20Onpattro%20ATTRv%202021-09-24%20uppdaterad%202022-01-18.pdf>   
Godkjent med vilkår.

Danmark, (Medicinrådet): <https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/laegemidler-og-indikationsudvidelser/m-p/patisiran-onpattro-arvelig-transthyretin-medieret-amyloidose-hattr>   
«*Medicinrådets anbefaling vedrørende patisiran til transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2 (opdateret version 1.1 pr. 18. november 2020). Medicinrådet anbefaler patisiran til patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2*.»

Skottland, (SMC): <https://www.scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/patisiran-onpattro-fullsubmission-smc2157/>   
“*Patisiran (Onpattro®) is accepted for use within NHSScotland*.”

England, (NICE/NHS): <https://www.nice.org.uk/guidance/hst10/chapter/1-Recommendations>   
“*Patisiran is recommended, within its marketing authorisation, as an option for treating hereditary transthyretin amyloidosis in adults with stage 1 and stage 2 polyneuropathy. It is recommended only if the company provides patisiran according to the commercial arrangement*.”

Canada, (CADTH): <https://www.cadth.ca/patisiran>   
Godkjent med vilkår.

**Prisinformasjon:** Har ikke maksimalpris i Legemiddelsøk.

**Salg av legemiddelet**

Farmalogg (<https://www.farmalogg.no> ) viser at det ikke registrert noe salg for dette preparatet mellom år 2018 og november 2023.

**Anbefaling til Bestillerforum**

I lys av opplysningene gitt over, anbefaler Legemiddelverket at saken tas videre til beslutning.

Legemiddelfirma har fått dette notatet til informasjon.

Statens Legemiddelverk, dato 04.12.2023

Anette Grøvan

enhetsleder