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 åfortsette 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 medOnpattro (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