

Médicament faisant l'objet d'un plan de gestion des risques, d'une surveillance renforcée ▼
et de mesures additionnelles de réduction du risque

08/2016 : EMA/Désignation médicament orphelin (29/08/2016)

09/2019 : ANSM/ATU nominatives

02/2020 : ANSM/Début ATUc (24/02/2020) dans l'indication : « *traitement de la porphyrie hépatique aiguë (PHA) chez les adultes et les adolescents âgés de 12 ans et plus après avis d'un centre de référence* ».

03/2020 : EMA/AMM initiale dans l'indication « *traitement de la porphyrie hépatique aiguë (PHA) chez les adultes et les adolescents âgés de 12 ans et plus.* »

05/2020 : HAS/ Décision n° 2020.0104/DC/SEESP du 7 mai 2020 du collège de la HAS → Givlaari® est susceptible d'avoir un impact significatif sur les dépenses de l'assurance maladie. En conséquence, il fera l'objet d'une évaluation médico-économique par la CEESP dans l'indication AMM.

06/2020 : ANSM/Fin ATUc (08/06/2020)

06/2020 : HAS/Avis CT 24/06/2020

- **SMR important, ASMR II** (importante) uniquement pour les patients ≥ 18 ans, atteints de PHA et ayant une maladie active caractérisée par au moins 2 crises de porphyrie nécessitant une hospitalisation, une visite médicale urgente ou un traitement par hémine IV à domicile, au cours des 6 mois précédents.
- **SMR insuffisant** dans les autres indications autres situations de l'AMM, à savoir chez les patients avec des crises aiguës intermittentes (1 à 3 crises par an), ainsi que chez les patients de 12 à 18 ans, faute de données.

09/2020 : HAS/CEESP : Avis d'efficience du 15/09/2020 relatif à Givlaari®.

12/2020 : ANSM/Modification des conditions de prescription et de délivrance de Givlaari®

- sortie de la réserve hospitalière (désormais seules les 6 premières administrations doivent être effectuées à l'hôpital),
- maintien médicament à prescription hospitalière.

03/2021 : HAS/Avis CT du 24/03/2021 relatif à la mise à disposition en ville de Givlaari® :

- **avis favorable** à l'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux dans le traitement des patients ≥ 18 ans, atteints de porphyries hépatiques aiguës (PHA) et ayant une maladie active caractérisée par au moins 2 crises de porphyrie nécessitant une hospitalisation, une visite médicale urgente ou un traitement par hémine IV à domicile, au cours des 6 mois précédents.
- **avis défavorable** à l'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux dans les autres situations de l'AMM à savoir chez les patients avec des crises aiguës intermittentes (1 à 3 crises par an), ainsi que chez les patients de 12 à 18 ans.

09/2021 : JO 17/09/21 : Agrément aux collectivités & inscription sur la liste en sus uniquement pour les patients ≥ 18 ans, atteints de PHA et ayant une maladie active caractérisée par au moins 2 crises de porphyrie nécessitant une hospitalisation, une visite médicale urgente ou un traitement par hémine IV à domicile, au cours des 6 mois précédents.

JO 17/09/21 : Tarif de responsabilité