

02/2001 : EMA/Désignation médicament orphelin

2004 : ANSM/Début d'ATU

03/2006 : EMA/AMM européenne (29/03/2006)

09/2006 : ANSM/Fin ATU (30/09/2006)

09/2006 : HAS/Avis CT (avis du 20/09/2006) → SMR important/ASMR II (importante) dans la forme infantile ; SMR insuffisant dans la forme tardive.

06/2010 : HAS/Avis CT (avis du 16/06/2010) → SMR faible/ASMR IV (mineure) dans la forme tardive

04/2012 : JO/Agrément aux collectivités et inscription sur liste en sus (JO 04/04/2012)

01/2013 : HAS/Avis CT réévaluant SMR/ASMR dans la forme tardive (avis du 09/01/2013) → pas de modification (SMR faible/ASMR IV)

01/2014 : EMA/MAJ EPAR : Suppression de la mention « Chez les patients atteints de la forme tardive de la maladie de Pompe, l'évidence d'une efficacité est limitée » + précisions/management syndrome pseudo grippal et attention portée à l'utilisation d'agents immunosuppresseurs chez ces patients.

03/2016 : EMA/Suppression du statut de médicament orphelin.

07/2016 : HAS/PNDS concernant la maladie de Pompe élaboré par les Filières de Santé Maladies Rares FILNEMUS et G2M.

03/2017 : HAS/avis CT (avis du 22/03/2017) réévaluant SMR/ASMR dans les formes infantiles et tardives

→ Pour les **formes infantiles** : SMR **important**/ASMR III (modérée)

→ Pour les **formes tardives** : SMR **faible** et ASMRIV (mineure). SMR/ASMR conditionnés à la mise à disposition rapide d'un conditionnement adapté au traitement de l'adulte.

L'instauration et les décisions d'arrêts de traitement par Myozyme® devront être prises lors de concertations collégiales au sein d'un groupe d'experts (comité d'évaluation du traitement de la maladie de Pompe, CETP).

2017 : Revue Cochrane relative au traitement enzymatique substitutif des formes infantiles de la maladie de la Pompe.

09/2017 : EMA/MAJ EPAR (suite aux recommandations du PRAC 05/2017) **relatives à l'ajout des effets indésirables en lien avec l'extravasation** de Myozyme® : œdème, induration, extravasation au site de perfusion.

12/2017 : JO/Baisse de prix à compter du 2 janvier 2018 → 484,57 € TTC (antérieurement 536,03 € TTC) (JO du 19/12/2017)

11/2021 : HAS/ Avis CT du 17/11/2021 relatif à la réévaluation (à la demande du laboratoire) de l'indication de Myozyme dans les formes tardives de la maladie de Pompe → SMR faible (inchangé).

A noter : la Commission précise que le conditionnement, plus de 15 ans après sa commercialisation dans l'indication, n'est toujours pas adapté à l'administration du produit dans la forme tardive de la maladie. Le laboratoire mentionne une autre enzymothérapie substitutive (par alpha avalglucosidase), en cours d'évaluation à l'EMA, qui permettrait de réduire de moitié le nombre de flacons par perfusion.

09/2022 : EMA/MAJ EPAR relatives aux effets indésirables.

11/2022 : EMA/MAJ EPAR relatives

- Aux effets indésirables
- Au surdosage (symptômes et conduite à tenir)

01/2023 : ANSM/Décision du 12/01/2023 relative à la modification de la liste mentionnée au 1° de l'article L. 5126-6 CSP → **Inscription sur la liste de rétrocession**

04/2023 : JO/Publications relatives au prix de cession, taux de participation de l'assuré et conditions de prise en charge (JO 13/04/2023)