



VEILLE

Dénomination Commune Internationale :

PATISIRAN

Nom commercial :

ONPATTRO®

Médicament orphelin

OMEDIT IDF 2024

Version : 4

Création : Aout 2019

Révision : Mai 2024

04/2017 : EMA/Désignation médicament orphelin (06/04/2017)

06/2018 : ANSM/ATUc traitement des adultes atteints **d'amylose à transthyréline héréditaire (ATTRh)**, dans le traitement des :

- **polyneuropathies de stade I après échec des autres traitements disponibles**
- **polyneuropathies de stade II.**

08/2018 : EMA/AMM européenne octroyée le 27/08/2018 dans le traitement de l'amylose héréditaire à transthyréline (amylose hATTR), chez les patients adultes atteints de polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2.

11/2018 : HAS/Avis CT (07/11/2018) portant sur l'identification des alternatives thérapeutiques pour un médicament en post-ATU

03/2019 : HAS/Avis CT du 20/03/2019

→ Traitement de l'amylose héréditaire à transthyréline (amylose hATTR), chez les patients adultes atteints de polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2.

→ **SMR important et ASMR III** (modérée)

04/2019 : EMA/MAJ EPAR relative à l'attribution du code ATC N07XX12.

08/2019 : EMA/MAJ EPAR relative à la durée de conservation avant ouverture (30 mois).

01/2020 : HAS/Avis CT du 08/01/2020 relatif à la prise en charge en ville d'Onpattro® :

→ **SMR important et ASMR III** (modérée)

→ **Avis favorable à l'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux** dans le traitement de l'amylose héréditaire à transthyréline (hATTR) chez les patients adultes atteints de polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2.

12/2020 : JO/Arrêtés de prise en charge (JO 04/12/2020) → fin du dispositif post ATU

- Agrément aux collectivités
- Inscription sur la liste en sus
- Prix : tarif de responsabilité et prix ville
- Modalités de prise en charge en ville

05/2024 : ANSM/CPC octroyé dans le "traitement de l'**amylose à transthyréline** de type sauvage ou héréditaire chez les patients adultes présentant une **cardiomyopathie (ATTR-CM)** dont la pathologie évolue **malgré un traitement par tafamidis ou intolérants** à ce dernier."