

NEWSLETTER: News from the HTA Agencies

MARCH 2021

SUMMARY

Agency	Drug Number	Drug Name
	10	Avelumab ; Fremanezumab; Nivolumab [+ipilimumab] [§] ; Onasemnogene abeparvovec ; Sacubitril+valsartan; von Willebrand Factor (recombinant)- <i>Reimbursement reviews</i> ; Casirivimab + Imdevimab; Remdesivir; Tocilizumab and Sarilumab - <i>Health Technology Reviews</i> .
	32*	Acétate d'indacatérol + bromure de glycopyrronium + furoate de mométasone; Adalimumab; Almitrine bismésilate; Aprémilast; Atezolizumab; Avapritinib; Avélumab ; Buprénorphine; Carbétocine; Carmustine; Céritinib; Dégarélix; Conestat alfa; Durvalumab; Fer sulphate; Fibrinogène humain + thrombine humaine; Filgotinib; Formotérol + glycopyrronium + budésonide; Ibrutinib; Immunoglobuline humaine normale; Mexilétine; Midostaurine; Niraparib ; Olaparib ; Péginterféron bêta-1a; Pembrolizumab ; Progestérone; Romosozumab; Sécukinumab; Talazoparib; Turoctocog alfa pégol.
	0	No Assessment or Policy Recommendations, as closed status, has been published in March
	18	Acalabrutinib; Amikacin sulfate; Atezolizumab; Belantamab mafodotin; Crizanlizumab; Dapagliflozin; Guselkumab; Ipilimumab; Ivacaftor; Niraparib ; Nivolumab [+ipilimumab]; Nusinersen; Olaparib ; Perampanel; Sebelipase alfa; Sucroferric oxyhydroxide; Tafamidis; Tezacaftor + ivacaftor.
	7	Anakinra; Baricitinib; Erenumab; Lenalidomide; Nivolumab; Pembrolizumab [+ pemetrexed + platinum]; Ribociclib+fulvestrant.
	6	Beclometasone dipropionate + formoterol fumarate dihydrate + glycopyrronium; Entrectinib; Doravirine; Doravirine + lamivudine + tenofovir disoproxil fumarate; Onasemnogene abeparvovec ; Trametinib.

GENERIC NAME	BRAND NAME	INDICATION	TYPE OF DOCUMENT/ Date	Link	RECOMMANDATION	Info on costs
Avelumab	Bavencio	Urothelial Carcinoma (UC)	Reimbursement review-FINAL RECOMMENDATION 23.03.2021	https://www.cadth.ca/avelumab-bavencio-urothelial-carcinoma-details	pERC conditionally recommends reimbursement of avelumab (Bavencio) plus best supportive care (BSC) for the first-line maintenance treatment of patients with histologically confirmed, unresectable, locally advanced or metastatic urothelial carcinoma whose disease has not progressed with first-line platinum-based induction chemotherapy if the following conditions are met: • cost-effectiveness is improved to an acceptable level • feasibility of adoption (budget impact) is addressed.	Avelumab costs \$1,325 for a 10 mL (20 mg/mL) vial. At the recommended dose of 10 mg/kg administered as IV infusion over 60 minutes on day 1 and day 15 of every 4-week cycle, avelumab costs \$10,600 per 28-day cycle.
Fremanezumab	Ajovy	prevention of migraine in adults who have at least 4 migraine days per month.	Reimbursement review-FINAL RECOMMENDATION 24.03.2021	https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/complete/SR0641%20Ajovy%20-%20CDEC%20Final%20Recommendation%20March%2026%2C%202021_For%20Posting.pdf	CADTH recommends that Ajovy (fremanezumab) should be reimbursed by public drug plans for the prevention of episodic and chronic migraines if certain conditions are met	Ajovy should only be reimbursed if the price is reduced by 61% to 71%. Treatment with Ajovy is expected to cost approximately \$7,020 per patient per year.
Nivolumab+ [Ipilimumab]	Opdivo-Yervoy	Non-Small Cell Lung Cancer (NSCLC)	Reimbursement review-FINAL RECOMMENDATION 04.03.2021	https://cadth.ca/sites/default/files/pcodr/Reviews2021/10218Nivolumab-IpilimumabNSCLC_FnRec_pERC%20Chair%20Approved_redact%20Post04Mar2021_final.pdf	pERC conditionally recommends the reimbursement of nivolumab plus ipilimumab (nivolumab/ipilimumab) and two cycles of platinum doublet chemotherapy (PDC), for the first-line treatment of adult patients with metastatic or recurrent non-small cell lung cancer (NSCLC) with no known epidermal growth factor receptor (EGFR) or anaplastic lymphoma kinase (ALK) genomic tumour aberrations, if the following condition is met:	Nivolumab: \$782 and \$1,955 for 40 mg and 100 mg vials, respectively; \$9,387 per month • Ipilimumab: \$5,800 for 50 mg vial; \$7,733 per month • Platinum doublet chemotherapy: \$5,688 to \$6,548 per month • Nivolumab combined with ipilimumab and platinum doublet chemotherapy: \$22,864 to \$23,668 per month

					• Cost-effectiveness being improved to an acceptable level.	
Onasemnogene abeparvovec	Zolgensma	Spinal muscular atrophy (SMA), pediatrics	Reimbursement review-FINAL RECOMMENDATION 24.03.2021	https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/complete/SG0649%20Zolgensma%20-%20CDEC%20Final%20Recommendation%20March%2026%2C%202021%20for%20posting.pdf	The CADTH Canadian Drug Expert Committee recommends that onasemnogene abeparvovec be reimbursed for the treatment of pediatric patients with 5q spinal muscular atrophy with biallelic mutations in the survival motor neuron 1 gene, only if the following conditions are met.	All kits supplying onasemnogene abeparvovec are priced at \$2,910,500 which is the one-time, total drug acquisition cost. Pricing conditions: A reduction in price.
Sacubitril + Valsartan	Entresto	Heart failure, NYHA Class II or III	Reimbursement review-FINAL RECOMMENDATION 24.03.2021	https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/complete/SR0644%20Entresto%20-%20CDEC%20Final%20Recommendation%20March%2026%2C%202021%20Redacted%29_for%20Posting.pdf	. The CADTH Canadian Drug Expert Committee recommends that sacubitril/valsartan be reimbursed for the treatment of heart failure with reduced ejection fraction in patients with New York Heart Association class II or III heart failure to reduce the incidence of cardiovascular death and heart failure hospitalization, only if the following conditions are met.	This recommendation supersedes the CADTH Canadian Drug Expert Committee (CDEC) recommendation for this drug and the indication dated March 18, 2016.
Von Willebrand Factor [recombinant]	Vonvendi	von Willebrand disease, adults, treatment and perioperative management	Reimbursement review-FINAL RECOMMENDATION 17.03.2021	https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/complete/STO639%20Vonvendi%20-%20Final%20CPEC%20Recommendation%20March%2022%2C%202021%20for%20posting.pdf	The CADTH Canadian Plasma Protein Product Expert Committee (CPEC) recommends that von Willebrand factor (recombinant; rVWF) should be reimbursed for the treatment and control of bleeding episodes or perioperative management of bleeding in adults (aged ≥ 18) diagnosed with VWD only if the following conditions are met.	The sponsor's submitted price for rVWF is \$1,002.89 per 650 IU vial and \$2,005.77 per 1,300 IU vial. The recommended dosage regimen is personalized according to clinical judgment based on the patient's weight, disease type, severity of the bleeding episodes or type of surgical intervention, and clinical and laboratory measures. The average daily treatment costs for on-demand treatment ranges from \$5,014 to \$17,049 for minor bleeding episodes and \$6,017 to \$22,063 for major bleeding episodes. For perioperative management, costs range from \$2,006 to \$3,009 per day for minor surgery and \$5,014 per day for major surgery

Casirivimab + Imdevimab	Casirivimab + Imdevimab	COVID-19	Evidence review and appraisal 25.03.2021	https://cadth.ca/sites/default/files/covid-19/hc0015-ha0009-REGN-COV2-technology-review.pdf	Health Technology Reviews
Remdesivir	Veklury	COVID-19	Evidence review and appraisal february	https://cadth.ca/sites/default/files/covid-19/HC0003-remdesivir-update5-final.pdf	Health Technology Reviews
Tocilizumab and Sarilumab	Roactemra Kevzara	COVID-19	Evidence review and appraisal 25.03.2021 (update)	https://cadth.ca/sites/default/files/covid-19/hc0014-001-tocilizumab-and-sarilumab-update1-mar25.pdf	Health Technology Reviews

§ when the label relates to two separate drugs, the second or third drug is written into brackets ie: nivolumab + [ipilimumab]; when the label relates to a fixed dose association it is represented without brackets ie: Sacubitril+valsartan



ICER
<https://icer.org/>

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	link	Summary of evidence
Assessment or Policy Recommendations: No one with closed status has been published in March					

Generic name	Brand name	Indication	Type of document/ Date	link	Avis et Amélioration du Service Médical Rendu
Acétate d'indacatérol + bromure de glycopyrronium + furoate de mométasone	ENERZAIR BREEZHALER	Traitement continu de l'asthme chez les adultes, insuffisamment contrôlés par un traitement continu associant une dose forte de corticoïde inhalé et un bêta 2 agoniste de longue durée d'action, qui ont présenté une ou plusieurs exacerbations de l'asthme au cours de l'année précédente.	AVIS de la CT 16.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3242947/fr/enerzair-breezhaler	Réévaluation. Avis favorable au remboursement dans le traitement continu de l'asthme chez les adultes, insuffisamment contrôlés par un traitement continu associant une dose forte de corticoïde inhalé et un bêta 2 agoniste de longue durée d'action, qui ont présenté une ou plusieurs exacerbations de l'asthme au cours de l'année précédente. La Commission de la Transparence considère qu'ENERZAIR BREEZHALER n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport aux présentations déjà inscrites.
Adalimumab	HUMIRA	Traitement de l'hydrosadénite suppurée (HS) (maladie de Verneuil) active, modérée à sévère, chez les patients adultes en cas de réponse insuffisante au traitement systémique conventionnel de l'HS.	AVIS de la CT 22.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3244158/fr/humira-maladie-de-verneuil	Réévaluation. Avis favorable au remboursement dans l'hydrosadénite suppurée active (HS, maladie de Verneuil), modérée à sévère, de l'adulte en cas de réponse insuffisante au traitement systémique conventionnel de l'HS. Le service médical rendu est désormais faible (il était insuffisant auparavant) dans cette indication. La Commission de la Transparence considère que HUMIRA (adalimumab), n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la stratégie de prise en charge de l'hydrosadénite suppurée.
Almitrine bismésilate	VECTARION	Traitement adjuvant à la ventilation mécanique dans les cas les plus graves de syndrome de détresse respiratoire aiguë (SDRA) avec hypoxémie et hypercapnie réfractaires.	AVIS de la CT 12.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3242559/fr/vectarion	Première évaluation. Avis favorable au remboursement dans le traitement adjuvant chez les adultes lorsque les techniques chirurgicales classiques sont insuffisantes : pour l'amélioration de l'hémostase et pour le renforcement de suture (en chirurgie vasculaire). Dans l'amélioration de l'hémostase: la Commission considère que VERASEAL n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMRV) par rapport aux présentations déjà inscrites. Dans le renforcement de suture en chirurgie vasculaire: la Commission considère que VERASEAL n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMRV) par rapport aux présentations déjà inscrites.

Aprémilast	OTEZLA	Pour le traitement de patients adultes atteints d'ulcères buccaux associés à la Maladie de Behçet (MB) qui sont éligibles à un traitement systémique et pour lesquels la colchicine est contre-indiquée, inefficace ou mal tolérée	AVIS de la CT 16.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3242941/fr/otezla	Nouvelle indication. Avis favorable au remboursement dans le traitement de patients adultes atteints d'ulcères buccaux associés à la Maladie de Behçet (MB) uniquement lorsque la colchicine est contre-indiquée, inefficace ou mal tolérée. Les spécialités OTEZLA n'apportent pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la prise en charge.
Atezolizumab	TECENTRIQ	Tecentriq, en association au bevacizumab, est indiqué dans le traitement des patients adultes atteints d'un carcinome hépatocellulaire (CHC) avancé ou non résécable, n'ayant pas reçu de traitement systémique antérieur.	AVIS de la CT 04.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3240699/fr/tecentriq-carcinome-hepatocellulaire-chc	Nouvelle indication. Avis favorable au remboursement en association au bevacizumab dans le traitement des patients adultes atteints d'un carcinome hépatocellulaire (CHC) avancé ou non résécable, n'ayant pas reçu de traitement systémique antérieur uniquement chez les patients avec une fonction hépatique préservée (stade Child-Pugh A), un score ECOG 0 ou 1, et non éligibles aux traitements locorégionaux ou en échec à l'un de ces traitements. la Commission considère que TECENTRIQ (atezolizumab) en association au bevacizumab, apporte une amélioration du service médical rendu modérée(ASMR III) par rapport au sorafenib.
Avapritinib	AYVAKYT	AYVAKYT est indiqué en monothérapie pour le traitement des patients adultes atteints de tumeurs stromales gastro-intestinales (GIST) non résécables ou métastatiques porteuses de la mutation D842V du récepteur alpha du facteur de croissance dérivé des plaquettes(PDGFRα).	AVIS de la CT 11.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3242174/fr/ayvakyt	Première évaluation. Avis favorable au remboursement en monothérapie. Le maintien de cet avis est conditionné à la soumission des résultats de l'étude de phase III BLU-285-1303 comparant l'avapritinib au régorafenib et les données du registre des patients traités en France; une réévaluation par la Commission aura lieu dans un délai maximum de 3 ans. la Commission considère qu'en l'état actuel des connaissances, AYVAKYT(avapritinib) n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la prise en charge des patients adultes atteints de tumeurs stromales gastro-intestinales (GIST) non résécables ou métastatiques porteuses de la mutation D842V du récepteur alpha du facteur de croissance dérivé des plaquettes (PDGFRα).

Avélumab	BAVENCIO	BAVENCIO est indiqué en monothérapie pour le traitement d'entretien de première ligne des patients adultes atteints de carcinome urothélial (CU) à un stade localement avancé ou métastatique, dont la maladie n'a pas progressé après la chimiothérapie à base de platine.	AVIS de la CT 18.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3243896/fr/bavencio-carcinome-urothelial	Nouvelle indication. Avis favorable au remboursement en monothérapie pour le traitement d'entretien de première ligne des patients adultes atteints de carcinome urothélial à un stade localement avancé ou métastatique, dont la maladie n'a pas progressé après la chimiothérapie à base de platine. La Commission de la Transparence considère que BAVENCIO (avélumab) en monothérapie, apporte une amélioration du service médical rendu modérée (ASMR III) par rapport aux soins de support, par rapport aux présentations déjà inscrites.
Buprénorphine	BUVIDAL	Traitement de la dépendance aux opioïdes, dans le cadre d'une prise en charge médicale, sociale et psychologique. Le traitement est réservé aux adultes et aux adolescents âgés de 16 ans ou plus.	AVIS de la CT 22.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3244165/fr/buvidal	Première évaluation. Avis favorable au remboursement dans le traitement de la dépendance aux opioïdes, dans le cadre d'une prise en charge médicale, sociale et psychologique chez l'adulte et l'adolescent âgé de 16 ans ou plus. la Commission de la Transparence considère que BUVIDAL apporte une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) par rapport à l'association buprénorphine/naloxone, comprimé sublingual dans la stratégie thérapeutique du trouble de l'usage des opiacés.
Carbétocine	CARBETOCINE AGUETTANT	indiqué dans la prévention de l'hémorragie du post-partum due à une atonie utérine	AVIS de la CT 04.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3240421/fr/carbetocine-aguettant	Extension d'indication pour un hybride. Avis favorable au remboursement dans la prévention de l'hémorragie du post-partum due à une atonie utérine après un accouchement par voie basse. Cette spécialité est un hybride qui n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport à la spécialité de référence PABAL (carbétocine)
Carmustine	CARMUSTINE OBVIUS	Comme conditionnement avant une greffe autologue de cellules souches hématopoïétiques (CSH) en cas de malignités hématologiques (maladie de Hodgkin/lymphome non hodgkinien).	AVIS de la CT 12.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3232149/fr/xylocard	Nouvelle indication. Avis favorable au remboursement dans la nouvelle indication de l'AMM. Cette spécialité est un eurogénérique qui n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la prise en charge du conditionnement avant une greffe autologue de cellules souches hématopoïétiques (CSH) en cas de malignités hématologiques (maladie de Hodgkin/lymphome non hodgkinien).

Céritinib	ZYKADIA	Traitement du cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) avancé avec réarrangement du gène anaplastic lymphoma kinase (ALK) positif chez les patients adultes préalablement traités par crizotinib	AVIS de la CT 22.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3244195/fr/zykadia-cbnp	Réévaluation. Avis favorable au maintien du remboursement dans le traitement du cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) avancé avec réarrangement du gène anaplastic lymphoma kinase (ALK) positif chez les patients adultes préalablement traités par crizotinib. La Commission considère que ZYKADIA (céritinib) n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la stratégie thérapeutique des patients atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) avancé présentant un réarrangement du gène ALK (ALK positif) et prétraités par crizotinib.
Conestat alpha	RUCONEST	RUCONEST est indiqué dans le traitement des crises aiguës d'angioedème chez les adultes, les adolescents et les enfants (âgés de 2 ans et plus) présentant un angioedème héréditaire (AOH) en raison d'un déficit en inhibiteur de la C1 estérase.	AVIS de la CT 31.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3242180/fr/esperoct	Nouvelle indication. Réévaluation. Avis favorable au remboursement dans le traitement des crises aiguës d'angioedème chez l'enfant âgé de 2 à 14 ans ayant un angioedème héréditaire (AOH) en raison d'un déficit en inhibiteur de la C1 estérase. Avis favorable au maintien du remboursement chez l'adolescent de plus de 14 ans et l'adulte dans cette indication la Commission considère que RUCONEST (conestat alpha) n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport aux autres traitements des crises aiguës d'AOH disponibles chez l'enfant et l'adolescent de 2 à 14 ans.
Dégarélix	FIRMAGON	FIRMAGON est un antagoniste de l'hormone entraînant la libération de gonadotrophines (GnRH), indiqué dans le traitement du cancer de la prostate avancé, hormono-dépendant.	AVIS de la CT 11.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3242183/fr/firmagon	Réévaluation. Avis favorable au maintien du remboursement dans le traitement du cancer de la prostate avancé, hormono-dépendant. FIRMAGON n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la stratégie actuelle de traitement du cancer de la prostate hormono-dépendant au stade avancé
Durvalumab	IMFINZI	IMFINZI, en association à l'étoposide et au carboplatine ou au cisplatine, est indiqué dans le traitement de première intention des patients adultes atteints d'un cancer bronchique à petites cellules à un stade étendu (CBPC-SE).	AVIS de la CT 11.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3242177/fr/imfinzi-cancer-bronchique-a-petites-cellules-a-un-stade-etendu-cbpc-se	Nouvelle indication. Avis favorable au remboursement dans le traitement de première intention des patients adultes atteints d'un cancer bronchique à petites cellules à un stade étendu (CBPC-SE), en association à l'étoposide et au carboplatine ou au cisplatine. la Commission considère qu'IMFINZI (durvalumab) en association au carboplatine ou au cisplatine et à l'étoposide, apporte une Amélioration du Service Médical Rendu mineure (ASMR IV) comme TECENTRIQ (atezolizumab) par rapport à la chimiothérapie seule, en 1ère ligne de traitement du cancer bronchique à petites cellules (CBPC) de stade étendu.

Fer (sous forme de sulfate ferreux)	TARDYFERON	TARDYFERON est indiqué chez les adultes et les enfants âgés de plus de 6 ans dans le :- Traitement curatif de l'anémie par carence martiale.- Traitement préventif de la carence martiale de la femme enceinte lorsqu'un apport alimentaire suffisant en fer ne peut être assuré.	AVIS de la CT 29.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3245669/fr/tardyferon-preparations-antianemiques-fer-sous-forme-de-sulfate-ferreux	Mise à disposition d'une nouvelle présentation. Avis favorable au remboursement dans : le traitement curatif de l'anémie par carence martiale, le traitement préventif de la carence martiale de la femme enceinte uniquement chez les femmes identifiées à risque d'anémie ferriprive (notamment antécédents d'anémie, saignements récents, femmes multipares, grossesses rapprochées). Cette spécialité est un complément de gamme qui n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport à la présentation déjà inscrite.
Fibrinogène humain et thrombine humaine	VERASEAL	Traitement adjuvant chez les adultes lorsque les techniques chirurgicales classiques sont insuffisantes: ●pour l'amélioration de l'hémostase ●pour le renforcement de suture: en chirurgie vasculaire.	AVIS de la CT 16.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3243406/fr/veraseal	Première évaluation. Avis favorable au remboursement dans le traitement adjuvant chez les adultes lorsque les techniques chirurgicales classiques sont insuffisantes : pour l'amélioration de l'hémostase et pour le renforcement de suture (en chirurgie vasculaire). Dans l'amélioration de l'hémostase: la Commission considère que VERASEAL n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMRV) par rapport aux présentations déjà inscrites. Dans le renforcement de suture en chirurgie vasculaire: la Commission considère que VERASEAL n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMRV) par rapport aux présentations déjà inscrites.
Filgotinib	JYSELECA	Traitement de la polyarthrite rhumatoïde active modérée à sévère chez des patients adultes qui ont présenté une réponse inadéquate, ou une intolérance, à un ou plusieurs traitements de fond antirhumatismaux (DMARDs)	AVIS de la CT 12.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3242562/fr/jyseleca	Première évaluation. Avis favorable au remboursement uniquement chez les femmes atteintes de la polyarthrite rhumatoïde active modérée à sévère qui ont eu une réponse inadéquate, ou une intolérance, à un ou plusieurs traitements de fond antirhumatismaux. Avis défavorable au remboursement chez les hommes atteints de polyarthrite rhumatoïde active modérée à sévère. la Commission de la Transparence considère que JYSELECA (filgotinib) n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la stratégie de prise en charge de la polyarthrite rhumatoïde active modérée à sévère chez les femmes qui ont eu une réponse inadéquate, ou une intolérance, à un ou plusieurs traitements de fond.

Formotérol + glycopyrronium + budésonide	TRIXEO AEROSPHERE	Traitement continu de la bronchopneumopathie chronique obstructive (BPCO) modérée à sévère chez les adultes non traités de façon satisfaisante par l'association d'un corticostéroïde inhalé (CSI) et d'un bêta-2-agoniste de longue durée d'action (LABA) ou l'association d'un bêta-2-agoniste de longue durée d'action et d'un antagoniste muscarinique de longue durée d'action (LAMA).	AVIS de la CT 12.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3242546/fr/trixeo-aerosphere	Première évaluation. Avis favorable au remboursement dans le traitement continu de la bronchopneumopathie chronique obstructive (BPCO) sévère chez les adultes non traités de façon satisfaisante par l'association d'un corticostéroïde inhalé et d'un bêta-2-agoniste de longue durée d'action ou par l'association d'un bêta-2-agoniste de longue durée d'action et d'un antagoniste muscarinique de longue durée d'action. Avis défavorable au remboursement dans le traitement continu de la BPCO modérée. la Commission considère que TRIXEO AEROSPHERE n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la prise en charge de la BPCO sévère chez les adultes non traités de façon satisfaisante par l'association d'un CSI et d'un LABA ou l'association d'un LABA et LAMA.
Ibrutinib	IMBRUVICA	Imbruvica en association au rituximab est indiqué pour le traitement des patients adultes atteints de leucémie lymphoïde chronique (LLC) non préalablement traités.	AVIS de la CT 03.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/pprd_2983527/fr/imbruvica	Nouvelle indication. Avis favorable au remboursement en association au rituximab pour le traitement de 1ère ligne de la LLC, uniquement chez les patients éligibles à un traitement à base de fludarabine à pleine dose et ne présentant pas de délétion del17p ni de mutation TP53. Avis défavorable au remboursement en association au rituximab pour le traitement de 1ère ligne de la LLC, chez les patients inéligibles à un traitement à base de fludarabine à pleine dose et/ou présentant une délétion del17p et/ou une mutation TP53. La Commission considère que l'association ibrutinib + rituximab apporte une amélioration du service médical rendu modérée (ASMR III) par rapport au protocole FCR (fludarabine + cyclophosphamide + rituximab) dans le traitement de 1ère ligne de la LLC chez les patients éligibles à un traitement à base de fludarabine à pleine dose et ne présentant pas de délétion del17p ni de mutation TP53.

Immunoglobuline humaine normale	CUTAQUIG	Traitement de substitution chez les adultes, les enfants et les adolescents atteints de ●Déficit immunitaire primitif avec production défailante d'anticorps ●Hypogammaglobulinémie et infections bactériennes récurrentes chez les patients atteints de LLC et chez les patients atteints de myélome multiple et des patients en pré et post transplantation de cellules souches hématopoïétiques allogéniques.	AVIS de la CT 04.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3240426/fr/cutaquig	Avis favorable au remboursement dans le traitement de substitution chez les adultes, les enfants et les adolescents (0-18 ans) atteints de : ●Déficit immunitaire primitif avec production défailante d'anticorps ●hypogammaglobulinémie et infections bactériennes récurrentes chez les patients atteints de leucémie lymphoïde chronique (LLC) chez qui la prophylaxie antibiotique a échoué ou est contre-indiquée. ●hypogammaglobulinémie et infections bactériennes récurrentes chez les patients atteints de myélome multiple (MM). ●hypogammaglobulinémie chez des patients en pré et post transplantation de cellules souches hématopoïétiques allogéniques (GCSH). La Commission considère que CUTAQUIG 165 mg/mL (immunoglobuline humaine normale) par voie sous-cutanée n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport aux autres immunoglobulines humaines normales administrées par voie sous-cutanée ou intraveineuse.
Mexilétine	NAMUSCLA	Indiqué dans le traitement symptomatique des myotonies dystrophiques chez l'adulte;	AVIS de la CT 29.03.2021	https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2021-03/namuscla_rtu_reco_autosaisine_has_sem_cteval517.pdf	Prise en charge dérogatoire dans une recommandation temporaire d'utilisation. la Commission de la Transparence estime bien fondée la prise en charge à titre dérogatoire de la spécialité NAMUSCLA (mexilétine) dans le traitement symptomatique des myotonies dystrophiques chez l'adulte.
Midostaurine	RYDAPT	Traitement des patients adultes présentant une mastocytose systémique agressive (MSA), une mastocytose systémique associée à une autre hémopathie maligne (MS-AHM), ou une leucémie à mastocytes (LM), en monothérapie	AVIS de la CT 04.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3240418/fr/rydapt	Réévaluation. Avis favorable au maintien du remboursement dans le traitement des patients adultes ayant une mastocytose systémique agressive (MSA), une mastocytose systémique associée à une autre hémopathie maligne (MS-AHM), ou une leucémie à mastocytes (LM), en monothérapie la Commission considère que RYDAPT, en monothérapie, n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la stratégie de prise de la mastocytose systémique agressive (MSA), la mastocytose systémique associée à une autre hémopathie maligne (MS-AHM), ou la leucémie à mastocytes (LM).

Niraparib	ZEJULA	Pour le traitement d'entretien de patientes adultes atteintes d'un cancer épithélial avancé (stades FIGO III et IV) de haut grade de l'ovaire, des trompes de Fallope ou péritonéal primitif, qui sont en réponse (réponse complète ou partielle) à une première ligne de chimiothérapie à base de platine	AVIS de la CT 16.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3243403/fr/zejula	Nouvelle indication. Avis favorable au remboursement en monothérapie pour le traitement d'entretien de patientes adultes atteintes d'un cancer épithélial avancé (stades FIGO III et IV) de haut grade de l'ovaire, des trompes de Fallope ou péritonéal primitif, qui sont en réponse (réponse complète ou partielle) à une première ligne de chimiothérapie à base de platine. La Commission considère que ZEJULA (niraparib) apporte comme LYNPARZA (olaparib) une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) dans la stratégie thérapeutique.
Olaparib	LYNPARZA	Cancer de la prostate métastatique résistant à la castration avec mutation des gènes BRCA1/2 (germinale et/ou somatique) et qui ont progressé après un traitement antérieur incluant une hormonothérapie de nouvelle génération	AVIS de la CT 05.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3241358/fr/lynparza-cancer-de-la-prostate-metastatique-resistant-a-la-castration	Prise en charge temporaire. LYNPARZA (olaparib), dans l'indication considérée, est susceptible d'être innovant. LYNPARZA (olaparib), dans l'indication considérée, est susceptible de présenter, au vu des résultats des essais cliniques, une efficacité cliniquement pertinente et un effet important, au regard desquels ses effets indésirables sont acceptables.
Péginterféron bêta-1a	PLEGRIDY	PLEGRIDY est indiqué chez l'adulte dans le traitement des formes rémittentes récurrentes de sclérose en plaques	AVIS de la CT 03.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3243409/fr/plegridy	Mise à disposition d'une nouvelle présentation. Avis favorable au remboursement dans le traitement des formes rémittentes récurrentes de sclérose en plaques. Cette spécialité est un complément de gamme qui n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport aux présentations déjà inscrites.

Pembrolizumab	KEYTRUDA	KEYTRUDA (pembrolizumab) est indiqué en monothérapie dans le traitement des patients adultes atteints de cancer bronchique non à petites cellules localement avancé ou métastatique dont les tumeurs expriment PD-L1 avec un TPS $\geq$ 1 %, et ayant reçu au moins une chimiothérapie antérieure. Les patients présentant des mutations tumorales d'EGFR ou d'ALK doivent également avoir reçu une thérapie ciblée avant de recevoir KEYTRUDA	AVIS de la CT 26.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3245422/fr/keytruda-cbnpc-2eme-ligne-pembrolizumab	Réévaluation. Avis favorable au maintien du remboursement uniquement dans le traitement des patients adultes atteints de cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) localement avancé ou métastatique dont les tumeurs expriment PD-L1 avec un TPS $\geq$ 1 %, et ayant reçu au moins une chimiothérapie antérieure. Les patients présentant des mutations tumorales d'EGFR (EGFR+) doivent également avoir reçu une thérapie ciblée avant de recevoir KEYTRUDA (pembrolizumab). Avis défavorable au remboursement dans le traitement des patients présentant des mutations tumorales d'ALK (ALK+) qui doivent également avoir reçu une thérapie ciblée avant de recevoir KEYTRUDA (pembrolizumab). Dans le périmètre du remboursement à savoir dans l'indication de l'AMM à l'exception du CBNPC avancé avec réarrangement ALK (ALK+) : Les données disponibles ne sont pas de nature à modifier l'appréciation de la Commission, KEYTRUDA (pembrolizumab) apporte une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) par rapport au docétaxel dans le traitement du CBNPC localement avancé ou métastatique dont les tumeurs expriment PD-L1 avec un TPS = 1 % après échec d'au moins une chimiothérapie antérieure. Les patients avec mutations activatrices de l'EGFR devant également avoir reçu une thérapie ciblée avant de recevoir KEYTRUDA (pembrolizumab).
Progestérone	AMELGEN	Pour la supplémentation de la phase lutéale dans le cadre d'un programme d'assistance médicale à la procréation chez la femme.	AVIS de la CT 11.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3242186/fr/amelgen	Première évaluation. Avis défavorable au remboursement dans la supplémentation de la phase lutéale dans le cadre d'un programme d'assistance médicale à la procréation chez la femme.

Romosozumab	EVENITY	Traitement de l'ostéoporose sévère chez les femmes ménopausées présentant un risque élevé de fracture	AVIS de la CT 18.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3243905/fr/evenity	Première évaluation. Avis favorable au remboursement dans le traitement de l'ostéoporose post-ménopausique sévère, uniquement chez les femmes d'âge < 75 ans avec un antécédent de fracture sévère et en l'absence d'antécédent de coronaropathie. Avis défavorable au remboursement chez les femmes atteintes d'ostéoporose post-ménopausique d'âge ≥ 75 ans ou < 75 ans avec un antécédent de coronaropathie. La Commission de la Transparence considère qu'EVENITY (romosozumab) apporte une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) par rapport à l'alendronate chez les patientes ménopausées d'âge < 75 ans atteintes d'ostéoporose sévère, ayant au moins un antécédent de fracture sévère et pas d'antécédent de coronaropathie.
Sécukinumab	COSENTYX	●Psoriasis en plaques de l'adulte ●Psoriasis en plaques de l'enfant ●Rhumatisme psoriasique ●Spondyloarthrite axiale (Spondyloarthrite axiale radiographique et non-radiographique)	AVIS de la CT 04.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3240424/fr/cosentyx	Mise à disposition de nouvelles présentations. Avis favorable au remboursement dans: ●le rhumatisme psoriasique actif ●les spondyloarthrites axiales (spondylarthrite ankylosante active et spondyloarthrite axiale non radiographique active) ●le traitement du psoriasis en plaques chronique sévère de l'adulte de l'enfant à partir de 6 ans et de l'adolescent défini par un échec (réponse insuffisante, contre-indication ou intolérance) à au moins deux traitements parmi les traitements systémiques non biologiques et la photothérapie, et par une forme étendue et/ou un retentissement psychosocial important. Ces spécialités sont des compléments de gamme qui n'apportent pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport aux présentations déjà inscrites.

Talazoparib	TALZENNA	Le traitement du cancer du sein localement avancé ou métastatique chez les patients adultes porteurs de mutation germinale et/ou somatique du gène de prédisposition au cancer du sein (BRCA), et négatifs pour le récepteur du facteur de croissance épidermique humain 2 (HER2) ayant reçu au moins une chimiothérapie par anthracycline et/ou taxane en situation néoadjuvante, adjuvante ou métastatique, et en l'absence de résistance aux sels de platine. Les patients RH+ ne doivent plus être éligibles à une hormonothérapie.	AVIS de la CT 24.03.2021	https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2021-03/talzenna_pec_temporaire_alternative_avisdef_cteva1521.pdf	motif de l'examen: Identification d'alternative thérapeutique prise en charge pour un médicament ayant fait l'objet d'autorisation temporaire d'utilisation, au titre de l'article R. 163-21-1 du code de la sécurité sociale. Il existe des alternatives thérapeutiques prises en charge à TALZENNA (talazoparib) 0,25 mg et 1 mg, gélule.
Turoctocog alfa pégol	ESPEROCT	Traitement et prophylaxie des épisodes hémorragiques chez les patients âgés de 12 ans et plus présentant une hémophilie A (déficit congénital en facteur VIII)	AVIS de la CT 11.03.2021	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3242180/fr/esperoct	Première évaluation. Avis défavorable au remboursement dans le traitement et la prophylaxie des épisodes hémorragiques chez les patients âgés de 12 ans et plus présentant une hémophilie A (déficit congénital en facteur VIII). Sans objet

Esclusi dal report i seguenti medicinali (colliri antibiotici) valutati da HAS: *Dexaméthasone + framycétine, Dexaméthasone + oxytétracycline, Dexaméthasone + sulfate de néomycine + sulfate de polymyxine B, Dexaméthasone + tobramycine;

Generic name	Brand name	Indication	Type of document/ Date	link	Recommendation	Note
Acalabrutinib [A20-103]	Calquence	Adult patients with previously untreated chronic lymphocytic leukaemia (CLL)	Dossier assessment 15.03.2021	https://www.iqwig.de/en/projects/a20-103.html	•Patients who have no 17p deletion or TP53 mutation and for whom treatment with FCR is an option: added benefit not proven. •Patients who have no 17p deletion or TP53 mutation and for whom treatment with FCR is not an option: hint of non-quantifiable added benefit. •Patients who have 17p deletion or TP53 mutation or for whom chemo-immunotherapy is not indicated for other reasons: added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Acalabrutinib [+ obinutuzumab] [A20-104]	Calquence	Adult patients with previously untreated chronic lymphocytic leukaemia (CLL); combination with obinutuzumab	Dossier assessment 15.03.2021	https://www.iqwig.de/en/projects/a20-104.html	•Patients who have no 17p deletion or TP53 mutation and for whom treatment with FCR is an option: added benefit not proven. •Patients who have no 17p deletion or TP53 mutation and for whom treatment with FCR is not an option: hint of non-quantifiable added benefit. •Patients who have 17p deletion or TP53 mutation or for whom chemo-immunotherapy is not indicated for other reasons: added benefit not proven	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.

Acalabrutinib [A20-105]	Calquence	Adult patients with previously treated chronic lymphocytic leukaemia (CLL); pretreated	Dossier assessment 15.03.2021	https://www.iqwig.de/en/projects/a20-105.html	●Patients after pretreatment who have no 17p deletion or TP53 mutation and for whom chemo-immunotherapy is indicated: added benefit not proven. ●Patients after pretreatment who have 17p deletion or TP53 mutation or for whom chemo-immunotherapy is not indicated for other reasons: added benefit not proven. ●Patients after at least 2 pretreatments: added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Amikacin sulfate liposomal [G20-29]		Mycobacterium avium Complex [MAC] lung infections	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwig.de/en/projects/g20-29.html		In accordance with § 35a Social Code Book V, the added medical benefit of orphan drugs is deemed as proven by the fact that they have been approved. For the Amikacin sulfate report commissioned by the Federal Joint Committee (G-BA), IQWiG therefore solely assesses the information on patient numbers and costs in the pharmaceutical company's dossier.
Atezolizumab [A20-97]	Tecentriq	Adult patients with advanced or unresectable hepatocellular carcinoma (HCC) who have not received prior systemic therapy	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwig.de/en/projects/a20-97.html	●With Child-Pugh A or no liver cirrhosis: patients with viral aetiology of HCC: indication of major added benefit. ●Patients with non-viral aetiology of HCC: hint of considerable added benefit. ●With Child-Pugh B: added benefit not proven..	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website..

Belantamab mafodotin [G20-22] [G21-05]	Blenrep	Multiple myeloma	Dossier assessment and addendum 04.03.2021	https://www.iqwig.de/en/projects/g20-22.html		In accordance with § 35a Social Code Book V, the added medical benefit of orphan drugs is deemed as proven by the fact that they have been approved. For the Belantamab mafodotin report commissioned by the Federal Joint Committee (G-BA), IQWiG therefore solely assesses the information on patient numbers and costs in the pharmaceutical company's dossier. After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. The resolution on the extent of added benefit is passed by the G-BA after the hearing. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA Website.
Crizanlizumab [G20-28]	Adakveo	Sickle cell disease	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwig.de/en/projects/g20-28.html		In accordance with § 35a Social Code Book V, the added medical benefit of orphan drugs is deemed as proven by the fact that they have been approved. For the Crizanlizumab report commissioned by the Federal Joint Committee (G-BA), IQWiG therefore solely assesses the information on patient numbers and costs in the pharmaceutical company's dossier.
Dapagliflozin [A20-113]	Forxiga	Adults with symptomatic chronic heart failure with reduced ejection fraction	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwig.de/en/projects/a20-113.html	Hint of non-quantifiable added benefit.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Guselkumab [A20-112]	Tremfya	Alone or in combination with methotrexate in adult patients with active psoriatic arthritis	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwig.de/en/projects/a20-112.html	Added benefit not proven for: ●patients who have had an inadequate response or who have been intolerant to a prior disease-modifying antirheumatic drug (DMARD) therapy; ●patients who have had an inadequate response or who have been intolerant to a prior therapy with biologic disease-modifying antirheumatic drugs (bDMARDs)	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. The resolution on the extent of added benefit is passed by the G-BA after the hearing. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA Website.

Ipilimumab [A20-116]	Yervoy	First-line treatment of metastatic non-small cell lung cancer (NSCLC) in adults whose tumours have no sensitizing EGFR mutation or ALK translocation.	Dossier assessment 15.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-116.html	PD-L1 expression (TPS) of at least 50 percent: added benefit not proven. PD-L1 expression (TPS) below 50 percent: non-squamous histology: indication of added benefit; extent "non-quantifiable". Squamous histology: added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Ivacaftor [+ tezacaftor/ ivacaftor] [A20-109]	Kalydeco	Patients with cystic fibrosis from 6 to 11 years of age who are homozygous for the F508del mutation in the CFTR gene	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-109.html	Added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Ivacaftor [A20-100]	Kalydeco	Patients with cystic fibrosis from 4 to < 6 months of age and weighing 5 kg or more with a gating (class III) mutation in the CFTR gene	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-100.html	Added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Ivacaftor [A20-99]	Kalydeco	Patients with cystic fibrosis from 4 to < 6 months of age and weighing 5 kg or more who have an R117H mutation in the CFTR gene	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-99.html	Added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. The resolution on the extent of added benefit is passed by the G-BA after the hearing. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA Website.
Niraparib [A20-98]	Zejula	Adult patients with advanced epithelial (FIGO stages III and IV) high-grade ovarian, fallopian tube or primary peritoneal cancer who are in response (complete or partial)	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-98.html	Added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.

		following completion of first-line platinum-based chemotherapy				
Nivolumab [+ ipilimumab] [A20-118]	Opdivo + [Yervoy]	First-line treatment of metastatic non-small cell lung cancer (NSCLC) in adults whose tumours have no sensitizing EGFR mutation or ALK translocation	Dossier assessment 15.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-118.html	●PD-L1 expression (TPS) of at least 50 percent: added benefit not proven. ●PD-L1 expression (TPS) below 50 percent: -non-squamous histology: indication of added benefit; extent "non-quantifiable". -Squamous histology: added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Nusinersen [A20-114]	Spinraza	Patients with 5q spinal muscular atrophy (SMA)	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-114.html	●Early onset of disease (infantile form, type 1): indication of major added benefit. ●Later onset of disease (type 2, type 3 and type 4): added benefit not proven. ●Pre-symptomatic patients: hint of non-quantifiable added benefit.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Olaparib [A20-106]	Lynparza	Adult patients with metastatic castration-resistant prostate cancer (mCRPC) and breast cancer susceptibility gene (BRCA)1/2-mutations (germline and/or somatic) who have progressed following prior therapy that included a new hormonal agent (NHA)	Dossier assessment 15.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-106.html	●Patients for whom abiraterone or enzalutamide is the best individual choice: hint of minor added benefit. ●Patients for whom docetaxel or cabazitaxel is the best individual choice: added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Olaparib [+ bevacizumab] [A20-111]	Lynparza+ [bevacizumab]	Adult patients with advanced high-grade epithelial ovarian, fallopian tube or primary peritoneal cancer who are in response following	Dossier assessment 15.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-111.html	●Patients without detectable tumour after primary surgery and patients without detectable tumour/with complete response following chemotherapy: indication of	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment.

		completion of first-line platinum-based chemotherapy in combination with bevacizumab and whose cancer is associated with homologous recombination deficiency (HRD) positive status.			considerable added benefit. ●Patients without detectable tumour after interval surgery and patients with partial response: indication of lesser benefit.	Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Olaparib [A20-115]	Lynparza	Maintenance treatment of adult patients with germline BRCA1/2-mutations who have metastatic adenocarcinoma of the pancreas and have not progressed after a minimum of 16 weeks of platinum treatment within a first-line chemotherapy regimen.	Dossier assessment 15.03.2021	https://www.iqwig.de/en/projects/a20-115.html	Hint of lesser benefit.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Perampanel [A20-117]	Fycompa	Adjunctive treatment of partial-onset seizures with or without secondarily generalized seizures in children from 4 to < 12 years of age with epilepsy	Dossier assessment 15.03.2021	https://www.iqwig.de/en/projects/a20-117.html	Added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Perampanel [A20-119]	Fycompa	Adjunctive treatment of primary generalized tonic-clonic seizures in children from 7 to < 12 years of age with idiopathic generalized epilepsy	Dossier assessment 15.03.2021	https://www.iqwig.de/en/projects/a20-119.html	Added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.

Sebelipase alfa [G20-30]	Kanuma	lysosomal acid lipase deficiency	Dossier assessment 15.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/g20-30.html		In accordance with § 35a Social Code Book V, the added medical benefit of orphan drugs is deemed as proven by the fact that they have been approved. For the Sebelipase alfa report commissioned by the Federal Joint Committee (G-BA), IQWiG therefore solely assesses the information on patient numbers and costs in the pharmaceutical company's dossier. After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. The resolution on the extent of added benefit is passed by the G-BA after the hearing. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA Website.
Sucroferri oxyhydroxide [A20-120]	Velphoro	Control of serum phosphorus levels in paediatric patients 2 years of age and older with chronic kidney disease (CKD) stages 4 to 5 (defined by a glomerular filtration rate < 30 mL/min/1.73 m ²) or with CKD on dialysis	Dossier assessment 15.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-120.html	Added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Tafamidis [A20-102]	Vyndaqel	Wild-type or hereditary transthyretin amyloid cardiomyopathy (ATTR-CM) in adult patients	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-102.html	●Patients with NYHA class I + II cardiac failure: hint of considerable added benefit. ●Patients with NYHA class III cardiac failure: added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Tafamidis [A20-101]	Vyndaqel	Transthyretin amyloidosis in adult patients with stage 1 symptomatic polyneuropathy to delay peripheral neurologic impairment	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-101.html	Added benefit not proven	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.

Tezacaftor + ivacaftor [A20-107]	Symkevi	Patients with cystic fibrosis from 6 to 11 years of age who are homozygous for the F508del mutation in the CFTR gene	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-107.html	Added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.
Tezacaftor + ivacaftor [A20-108]	Symkevi	Patients with cystic fibrosis from 6 to 11 years of age who are heterozygous for the F508del mutation	Dossier assessment 01.03.2021	https://www.iqwi.g.de/en/projects/a20-108.html	Added benefit not proven.	After completion of the assessment by IQWiG the Federal Joint Committee (G-BA) conducts a commenting procedure. This may provide supplementary information and as a result lead to a modified benefit assessment. Further information and the decision on the early benefit assessment can be found on the relevant page of the G-BA website.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document/ Date	<u>link</u>	Recommendation
Anakinra [TA685]	Kineret	For treating adult-onset Still's disease and systemic juvenile idiopathic arthritis in people 8 months and older.	Technology appraisal guidance 31.03.2021	https://www.nice.org.uk/guidance/ta685	Anakinra is recommended as an option for treating Still's disease with moderate to high disease activity, or continued disease activity after non-steroidal antiinflammatory drugs (NSAIDs) or glucocorticoids. It is only recommended for: • adult-onset Still's disease that has responded inadequately to 2 or more conventional disease-modifying antirheumatic drugs (DMARDs) • systemic juvenile idiopathic arthritis in people 8 months and older with a body weight of 10 kg or more that has not responded to at least 1 conventional DMARD. The cost for 7 prefilled injections (each containing 100 mg anakinra per 0.67 ml) is £183.61 (excluding VAT; BNF online, accessed December 2020). The average cost of 1 year of treatment is £9,580.00.
Baricitinib [TA681]	Olumiant	moderate to severe atopic dermatitis	Technology appraisal guidance 03.03.2021	www.nice.org.uk/guidance/ta681	A 28-pack of 4-mg tablets costs £805.56 (excluding VAT, BNF online, accessed December 2020). The company has a commercial arrangement. This makes baricitinib available to the NHS with a discount. The size of the discount is commercial in confidence. It is the company's responsibility to let relevant NHS organizations know details of the discount. The most likely cost-effectiveness estimates for baricitinib are within what NICE considers an acceptable use of NHS resources. Therefore, baricitinib is recommended as an option for moderate to severe atopic dermatitis when at least 1 systemic immunosuppressant has not worked or is not suitable.

Erenumab [TA682]	Aimovig	for preventing migraine in adults who have at least 4 migraine days per month.	Technology appraisal guidance 10.03.2021	www.nice.org.uk/guidance/ta682	The list price of erenumab is £386.50 per 70mg or 140mg injection (excluding VAT, BNF online, accessed November2020). The company has a commercial arrangement. This makes erenumab available to the NHS with a discount. The size of the discount is commercial in confidence. It is the company's responsibility to let relevant NHS organisations know details of the discount. It is plausible that erenumab may work better than botulinum toxin typeA. The cost-effectiveness estimates are within what NICE usually considers an acceptable use of NHS resources. So erenumab is recommended.
Lenalidomide [TA680]	Revlimid	for maintenance treatment after an autologous stem cell transplant for newly diagnosed multiple myeloma in adults.	Technology appraisal guidance 03.03.2021	www.nice.org.uk/guidance/ta680	The list price for lenalidomide is £3,780 per pack of 21capsules, each containing 10mg of the active ingredient (excluding VAT; BNF online, November 2020). The company has a commercial arrangement. This makes lenalidomide available to the NHS with a discount. The size of the discount is commercial in confidence. It is the company's responsibility to let relevant NHS organizations know details of the discount. The most likely cost-effectiveness estimates for lenalidomide compared with monitoring alone are within the range NICE normally considers an acceptable use of NHS resources. Therefore, lenalidomide is recommended.
Nivolumab [TA684]	Opdivo	for adjuvant treatment of completely resected melanoma with lymph node involvement or metastatic disease in adults	Technology appraisal guidance 17.03.2021	www.nice.org.uk/guidance/ta684	The list price is £439 per 40mg/4ml concentrate for solution for infusion vial; £1,097 per 100mg/10ml concentrate for solution for infusion vial; and £2,633 per 240mg/24ml concentrate for solution for infusion vial (excluding VAT; BNF online, accessed October 2020). The company has a commercial arrangement. This makes nivolumab available to the NHS with a discount. The size of the discount is commercial in confidence. It is the company's responsibility to let relevant NHS organisations know details of the discount. Because of the uncertainty the cost-effectiveness estimates vary. However, the most likely estimates are within what NICE considers a cost-effective use of NHS resources. Therefore, nivolumab is recommended.

Pembrolizumab [+ pemetrexed + platinum] [TA683]	Keytruda	for the first-line treatment of metastatic non-squamous non-small-cell lung carcinoma (NSCLC) in adults whose tumours have no epidermal growth factor receptor (EGFR)- or anaplastic lymphoma kinase (ALK)-positive tumour mutations.	Technology appraisal guidance 10.03.2021	www.nice.org.uk/guidance/ta683	Pembrolizumab solution for infusion costs £2,630.00 per 100-mg vial (excluding VAT; BNF online, accessed October 2020). The company has a commercial arrangement. This makes pembrolizumab available to the NHS with a discount. The size of the discount is commercial in confidence. Pembrolizumab combination meets NICE's criteria to be considered a life-extending end of life treatment compared with pemetrexed platinum chemotherapy but does not meet the criteria when compared with pembrolizumab monotherapy. The cost-effectiveness estimates for pembrolizumab combination are within what NICE considers to be an acceptable use of NHS resources, if it is stopped at 2 years. So, it is recommended.
Ribociclib [+ fulvestrant] [TA687]		for treating hormone receptor-positive, human epidermal growth factor receptor 2 (HER2)-negative, locally advanced or metastatic breast cancer in adults who have had previous endocrine therapy.	Technology appraisal guidance [TA687] 31.03.2021	https://www.nice.org.uk/guidance/ta687	Ribociclib plus fulvestrant is recommended as an option for treating hormone receptor-positive, human epidermal growth factor receptor 2 (HER2)-negative, locally advanced or metastatic breast cancer in adults who have had previous endocrine therapy only if: • exemestane plus everolimus is the most appropriate alternative to a cyclin-dependent kinase 4 and 6 (CDK 4/6) inhibitor, and • the company provides ribociclib according to the commercial arrangement. The list price for ribociclib is £2,950.00 for a 63-tablet pack of 200 mg tablets (excluding VAT; British national formulary online, accessed January 2021). The company has a commercial arrangement (simple discount patient access scheme). This makes ribociclib available to the NHS with a discount. The size of the discount is commercial in confidence.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document/ Date	Link	Advice	Evidences
Beclometasone dipropionate + formoterol fumarate dihydrate + glycopyrronium	Trimbow®	Maintenance treatment of asthma, in adults not adequately controlled with a maintenance combination of a long-acting beta2-agonist and medium dose of inhaled corticosteroid, and who experienced one or more asthma exacerbations in the previous year.	Medicine advice - abbreviated submission 08.03.2021	https://www.scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/beclometasone-dipropionateformoterol-fumarate-dehydrateglycopyrronium-bromide-trimbow-abb-smc2335/	is accepted for use within NHSScotland	Beclometasone dipropionate/formoterol fumarate dihydrate/glycopyrronium (Trimbow®) offers an additional treatment choice of medium dose inhaled corticosteroid (ICS), long-acting beta2-agonist (LABA) and long-acting muscarinic antagonist (LAMA) in a single inhaler.
Doravirine	Pifeltro®	In combination with other antiretroviral medicinal products, for the treatment of adults infected with human immunodeficiency virus 1 (HIV-1) without past or present evidence of resistance to the non-nucleoside reverse transcriptase inhibitor (NNRTI) class.	Medicine advice - abbreviated submission 08.03.2021	https://www.scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/doravirine-pifeltro-abb-smc2332/	is accepted for use within NHSScotland	Doravirine offers an additional treatment choice in the therapeutic class of NNRTIs for this indication.

Doravirine + lamivudine + tenofovir disoproxil fumarate	Delstrigo®	For the treatment of adults infected with HIV-1 without past or present evidence of resistance to the non-nucleoside reverse transcriptase inhibitor (NNRTI) class, lamivudine, or tenofovir.	Medicine advice - abbreviated submission 08.03.2021	https://www.scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/doravirinelamivudinetenofovir-disoproxil-fumarate-delstrigo-abb-smc2333/	Is accepted for use within NHSScotland.	Doravirine/lamivudine/tenofovir disoproxil fumarate (Delstrigo®) offers an additional treatment choice of NNRTI-based single-tablet regimen for this indication
Entrectinib	Rozlytrek®	as monotherapy for the treatment of adult and paediatric patients 12 years of age and older with solid tumours expressing a neurotrophic tyrosine receptor kinase (NTRK) gene fusion	Medicine advice 08.03.2021	https://www.scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/entrectinib-rozlytrek-full-smc2295/	Is accepted for use within NHSScotland..	In a pooled analysis of three phase I/II studies in adults with metastatic or locally advanced NTRK fusion-positive solid tumours, 64% of patients achieved an objective response with entrectinib treatment. The median duration of response in these patients was 12.9 months. Positive objective response rate results were also reported in a phase I/Ib paediatric study.
Onasemnogene abeparvovec	Zolgensma®	Treatment of patients with 5q spinal muscular atrophy (SMA) with a bi-allelic mutation in the SMN1 gene and a clinical diagnosis of SMA type 1, or patients with 5q SMA with a bi-allelic mutation in the SMN1 gene and up to 3 copies of the SMN2 gene.	Medicine advice 08.03.2021	https://www.scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/onasemnogene-abeparvovec-zolgensma-full-smc2311/	is accepted for restricted use within NHSScotland	SMC restriction: for the treatment of ● patients with 5q SMA with a bi-allelic mutation in the SMN1 gene and a clinical diagnosis of SMA type 1, or ● pre-symptomatic patients with 5q SMA with a bi-allelic mutation in the SMN1 gene and up to 3 copies of the SMN2 gene, where patients are expected to develop SMA type 1. In a phase III study of patients with symptomatic SMA type 1 treated with onasemnogene abeparvovec, survival was significantly better than a historical control cohort. In addition, motor milestones achieved generally exceeded the natural history of SMA type 1.

Trametinib	Mekinist	in combination with dabrafenib for the treatment of adult patients with unresectable or metastatic melanoma with a BRAF V600 mutation.	Medicine advice-abbreviated submission 08.03.2021	https://www.scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/trametinib-mekinist-abb-smc2328/	is accepted for restricted use within NHSScotland.	SMC restriction: after first line treatment. Trametinib in combination with dabrafenib offers an additional treatment choice in the therapeutic class of BRAF/mitogen-activated extracellular signal-regulated kinase (MEK)inhibitors.
-------------------	----------	--	--	---	--	--