

NEWSLETTER: News from the HTA Agencies

October 2022



SUMMARY

Agency	N° of drugs	Drug Name
	2	Empagliflozin • Faricimab
	21	Abémaciclib • Acétate de fludrocortisone • Alpha-1 antitrypsine humaine • Atidarsagène autotemcel • Avacopan • Avalglucosidase alfa • Avapritinib • Bélatacept • Brolucizumab • Cemiplimab • Ciclosporine • Citrate de sufentanil • Extrait sec raffiné d'écorce de bouleau • Fludrocortisone (acétate de) • Ibuprofène sodique dihydraté/paracétamol • Immunoglobuline humaine normale • Olaparib • Pembrolizumab • Pivalate de prednisolone • Somatrogon • Vénétoclax
	0	
	13	Abemaciclib [A22-51] [A22-96] • Anifrolumab [A22-35] [A22-85] • Atezolizumab [A22-67] • Cerliponase alfa [G22-25] • Nirmatrelvir/ritonavir [A22-64] • Nivolumab [A22-53] [A22-97] / [A22-54] [A22-98] / [A22-55] [A22-99] • Palbociclib [A22-66] • Pembrolizumab [A22-63] • Secukinumab [A22-68] / [A22-69] • Selpercatinib [A22-65]
	9	Azacitidine • Fostamatinib • Olaparib • Ozanimod • Palbociclib • Pembrolizumab • Relugolix-estradiol-norethisterone acetate • Zanubrutinib
	7	Brolucizumab • Filgotinib • Ozanimod • Pembrolizumab • Upadacitinib

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation	Info on costs
Empagliflozin	Jardiance	Heart failure	CADTH Reimbursement Recommendation 14/10/2022	https://www.cadth.ca/sites/default/files/DRR/2022/SR0726%20Jardiance%20Final%20CADTH%20Recommendation.pdf	The CADTH Canadian Drug Expert Committee (CDEC) recommends that empagliflozin be reimbursed for the treatment of chronic heart failure (HF) as an adjunct to standard-of-care (SOC) therapy only if the conditions listed are met: 1. Patients must be aged 18 years and older with chronic HF, regardless of LVEF. 2. Patients must be classified as NYHA functional class II or III. 3. Empagliflozin should be prescribed as an adjunct to standard-of-care therapy. 4. Empagliflozin should be negotiated so that it does not exceed the drug program cost of treatment with dapagliflozin for chronic HF. 5. The feasibility of adoption of empagliflozin + standard of care must be addressed.	Treatment with Jardiance is expected to cost approximately \$1,010 per patient per year.
Faricimab	Vabysmo	Diabetic macular edema	CADTH Reimbursement Recommendation	https://www.cadth.ca/sites/default/files/DRR/2022/SR0729%20Vabysmo%20Confidential%20Final%20CADTH%20Recommendation-KH_BF%20%20KH-meta.pdf	The CADTH Canadian Drug Expert Committee (CDEC) recommends that faricimab be reimbursed for the treatment of DME only if the conditions listed are met: 1. Eligibility for reimbursement of faricimab should be based on the criteria used by each of the public drug plans for reimbursement of other anti-VEGF drugs for the treatment of adult patients with DME. 2. Faricimab should be renewed in a similar manner to other anti-VEGF therapies currently reimbursed for the treatment of adult patients with DME. 3. Faricimab should be discontinued in a similar manner to other antiVEGF drugs currently reimbursed for the treatment of adult patients with DME. 4. The patient should be under the care of an ophthalmologist with experience managing DME. 5. Faricimab should be negotiated so that it does not exceed the drug program cost of treatment with the least costly anti-VEGF drug reimbursed for the treatment of DME.	Treatment with Vabysmo is expected to cost between \$8,100 and \$18,900 per patient in the first year of use depending on how many injections are required (between 6 and 14). In subsequent years, the annual cost per patient is expected to be between \$4,050 and \$17,550 (based on 3 to 13 injections per year).

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation and amélioration du service médical rendu (ASMR)
Abémaciclib	Verzenios	Abémaciclib est indiqué pour « Cancer du sein précoce Verzenios en association avec une hormonothérapie est indiqué chez les patients adultes en traitement adjuvant du cancer du sein précoce avec récepteurs hormonaux (RH) positifs, récepteurs du facteur de croissance épidermique humain 2 (human epidermal growth factor receptor 2 [HER2]) négatifs, avec atteinte ganglionnaire et haut risque de rechute. Chez les femmes en pré/périménopause, le traitement par un inhibiteur de l'aromatase comme hormonothérapie doit être associé à un agoniste de l'hormone de libération de la lutéinostimuline (luteinizing hormone-releasing hormone, LHRH). »	Avis de la CT 04/10/2022	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-19830_VERZENIOS_PIC_EL_AvisDef_CT19830.pdf	Nouvelle indication. Avis défavorable au remboursement dans l'indication suivante: VERZENIOS (abémaciclib) en association avec une hormonothérapie est indiqué chez les patients adultes en traitement adjuvant du cancer du sein précoce avec récepteurs hormonaux (RH) positifs, récepteurs du facteur de croissance épidermique humaine 2 (human epidermal growth factor receptor 2 [HER2]) négatifs, avec atteinte ganglionnaire et haut risque de rechute. Chez les femmes en pré/périménopause, le traitement par un inhibiteur de l'aromatase comme hormonothérapie doit être associé à un agoniste de l'hormone de libération de la lutéinostimuline (luteinizing hormone-releasing hormone, LHRH).
Acétate de fludrocortisone	Fludrocortisone acetate accord	Acétate de fludrocortisone est indiqué pour «Insuffisance surrénalienne primaire (maladie d'Addison) et hyperplasie congénitale des surrénales classique (syndrome adrénogénital avec perte de sel).	Avis de la CT 13/10/2022	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-19699_FLUDROCORTISONE_ACCORD_PIC_INS_AvisDef_CT19699.pdf	Première évaluation Avis favorable au remboursement dans le traitement, en cas de déficit en minéralocorticoïdes, de l'insuffisance surrénalienne primaire (maladie d'Addison) et l'hyperplasie congénitale des surrénales classique (syndrome adrénogénital avec perte de sel), en association avec un glucocorticoïde.
Alpha-1 antitrypsine humaine	Rymphysis	Rymphysis est indiqué chez l'adulte pour le traitement d'entretien du déficit sévère et documenté en alpha-1 antitrypsine afin de ralentir la progression de l'emphysème. Les patients doivent recevoir un traitement pharmacologique et non pharmacologique optimal et montrer des signes de maladie pulmonaire évolutive (p. ex.: diminution du volume expiratoire maximal par seconde [VEMS] attendu, réduction de la capacité de marche ou augmentation du nombre d'exacerbations) évalués par un professionnel de santé expérimenté dans le traitement du déficit en alpha-1 antitrypsine.	Avis de la CT 04/10/2022	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-19911_RYMPHYSIA_PIS_INS_AvisDef_CT19911.pdf	Première évaluation Avis favorable au remboursement dans l'indication : chez l'adulte pour le traitement d'entretien du déficit sévère et documenté en alpha-1 antitrypsine afin de ralentir la progression de l'emphysème (p. ex. génotypes PIZZ, PiZ (null), Pi (null, null), PISZ). Les patients doivent recevoir un traitement pharmacologique et non pharmacologique optimal et montrer des signes de maladie pulmonaire évolutive (p. ex. : diminution du volume expiratoire maximal par seconde [VEMS] attendu, réduction de la capacité de marche ou augmentation du nombre d'exacerbations) évalués par un professionnel de santé expérimenté dans le traitement du déficit en alpha-1 antitrypsine. Rymphysis (alpha-1 antitrypsine humaine) n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la prise en charge actuelle des patients déficitaires en alpha-1 antitrypsine.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation and amélioration du service médical rendu (ASMR)
Atidarsagène autotemcel	Libmeldy	LIBMELDY est indiqué dans le traitement de la leucodystrophie métachromatique (LDM) caractérisée par des mutations bialléliques du gène de l'arylsulfatase A (ARSA) entraînant une réduction de l'activité enzymatique de l'ARSA: Chez les enfants asymptomatiques, sans manifestation clinique de la maladie, que ce soit en termes d'atteinte motrice, cognitive et/ou comportementale, atteints de la forme infantile tardive (se manifestant avant 30 mois) ou juvénile précoce (se manifestant entre 30 mois et 6 ans inclus).	Avis de la CT 20/10/2022	https://www.has-sante.fr/uploader/docs/application/pdf/2022-10-18_12-04-51_615.pdf	Renouvellement de l'autorisation d'accès précoce de la spécialité LIBMELDY dans l'indication suivante : « Traitement de la leucodystrophie métachromatique (LDM) caractérisée par des mutations bialléliques du gène de l'arylsulfatase A (ARSA) entraînant une réduction de l'activité enzymatique de l'ARSA chez les enfants asymptomatiques, sans manifestation clinique de la maladie, que ce soit en termes d'atteinte motrice, cognitive et/ou comportementale, atteints de la forme infantile tardive (se manifestant avant 30 mois) ou juvénile précoce (se manifestant entre 30 mois et 6 ans inclus). »
Avacopan	Tavneos	Avacopan, en association avec un traitement par rituximab ou cyclophosphamide, est indiqué dans le traitement des patients adultes atteints de granulomatose avec polyangéite (GPA) ou de polyangéite microscopique (PAM) sévère et active.	Avis de la CT 13/10/2022	https://www.has-sante.fr/uploader/docs/evaluation/med/CT-19742_TAVNEOS_PIC_INS_AvisDef_CT_19742.pdf	Première évaluation Avis favorable au remboursement de TAVNEOS (avacopan) dans le traitement des patients adultes atteints de granulomatose avec polyangéite (GPA) ou de polyangéite microscopique (PAM) sévère et active, en association au rituximab ou au cyclophosphamide. Compte tenu : de la démonstration de la non-infériorité de l'avacopan par rapport à la prednisone en posologie dégressive sur la proportion de patients en rémission complète à 26 semaines (respectivement 72,3 % versus 70,1 % ; IC95 % [-6,0 ; 12,8] ; p < 0,0001) ; de la démonstration de la supériorité de l'avacopan par rapport à la prednisone en posologie dégressive sur la proportion de patients avec un maintien de la rémission à 52 semaines (respectivement 65,7 % versus 54,9 % ; IC95 % [2,6 ; 22,3] ; p = 0,0066) ; d'une moindre utilisation (dose moyenne totale cumulée de corticoïdes environ 2,7 fois plus élevée dans le groupe contrôle) et d'une moindre toxicité des corticoïdes dans le groupe avacopan par rapport au groupe prednisone ; d'un profil de tolérance acceptable de l'avacopan ; mais au regard : des résultats qui démontrent que le traitement par avacopan a permis une nette diminution de l'utilisation des corticoïdes sans pour autant avoir engendré une épargne cortisonique complète ; d'un recul qui reste limité pour évaluer le bénéfice et la tolérance à long terme de l'avacopan (durée de l'étude de 52 semaines) ; la Commission considère que TAVNEOS (avacopan), en association au rituximab ou au cyclophosphamide, apporte une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) dans la prise en charge des patients adultes atteints de granulomatose avec polyangéite (GPA) ou de polyangéite microscopique (PAM) sévère et active.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation and amélioration du service médical rendu (ASMR)
Avalglucosidase alfa	Nexviadyme	Avalglucosidase alfa est indiqué pour le traitement des patients adultes et pédiatriques atteints de la maladie de Pompe (déficit en α -glucosidase acide) en cas d'échec à l'alglucosidase alfa.	Avis de la CT 14/10/2022	https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2022-10/nexviadyme_a_p80_decision_et_avis_ct.pdf	Autorisation d'accès précoce octroyée à la spécialité NEXVIADYME (avalglucosidase alfa) dans l'indication « traitement des patients adultes et pédiatriques atteints de la maladie de Pompe (déficit en α -glucosidase acide) en cas d'échec à l'alglucosidase alfa ».
Avapritinib	Ayvakyt	Avapritinib est indiqué en monothérapie pour le traitement de patients adultes atteints de mastocytose systémique agressive (ASM), de mastocytose systémique associée à un néoplasme hématologique (SM-AHN) ou de leucémie à mastocytes (MCL), après au moins un traitement systémique.	Avis de la CT 14/10/2022	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-19825_AYVAKYT_PIC_EI_Mastocytose_AvisDef_CT19825.pdf	Nouvelle indication Avis favorable au remboursement dans l'indication suivante : AYVAKYT est indiqué en monothérapie pour le traitement de patients adultes atteints de mastocytose systémique agressive (ASM), de mastocytose systémique associée à un néoplasme hématologique (SM-AHN) ou de leucémie à mastocytes (MCL), après au moins un traitement systémique. En prenant en compte: les données de l'étude pivot de phase II non comparative ayant montré un taux de réponse global de 59,6% dans une cohorte de patients en majorité en échec à la midostaurine, le besoin médical à cette ligne de traitement (faible niveau de preuve des alternatives disponibles), les données de la comparaison indirecte suggérant une supériorité du traitement par rapport aux alternatives disponibles malgré les limites méthodologiques relevées, la Commission estime qu'AYVAKYT (avapritinib) apporte une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) dans la stratégie de prise en charge des patients adultes atteints de mastocytose systémique agressive (ASM), de mastocytose systémique associée à un néoplasme hématologique (SM-AHN) ou de leucémie à mastocytes (MCL), après au moins un traitement systémique.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation and amélioration du service médical rendu (ASMR)
Bélatacept	Nulojix	Bélatacept, en association aux corticoïdes et à l'acide mycophénolique (MPA), est indiqué en prévention du rejet du greffon chez les adultes recevant une transplantation rénale (voir la rubrique 5.1 pour les données sur la fonction rénale). À la suite de l'extension d'indication du 1er juin 2021, cette indication inclut les adultes transplantés depuis au moins 6 mois en conversion d'un traitement incluant un ICN, en plus des patients nouvellement transplantés (cf. paragraphe 3. Posologie de l'avis).	Avis de la CT 25/10/2022	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-19799_NULOJIX_PIC_INS_AvisDef_CT19799.pdf	Nouvelle indication Avis favorable au remboursement dans la prévention du rejet du greffon, en association aux corticoïdes et à l'acide mycophénolique, chez les adultes EBV+ transplantés rénaux dans le cadre d'une conversion à partir d'un traitement incluant un ICN au moins 6 mois après la transplantation. Compte tenu: - des études disponibles ayant évalué l'intérêt d'une conversion d'un ICN au bélatacept versus la poursuite d'un ICN, de faible qualité méthodologique s'agissant d'études uniquement descriptives sans comparaisons statistiques entre les groupes prévues au protocole, ne permettant aucune conclusion formelle quant à l'efficacité relative de ces 2 stratégies, - des résultats observés dans ces études, qui suggèrent notamment une amélioration de la fonction rénale suite à la conversion, mais l'absence de bénéfice en termes de survie de patient et du greffon et un risque accru de rejets aigus du greffon, - de l'absence de comparaison versus les autres options thérapeutiques pouvant être envisagées pour la conversion d'un ICN conformément aux dernières recommandations européennes, en particulier les inhibiteurs de m-TOR, la Commission de la transparence considère que NULOJIX (bélatacept) n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la prévention du rejet du greffon recevant une transplantation rénale dans le cadre d'une conversion d'un ICN.
Brolucizumab	Beovu	Brolucizumab est indiqué chez l'adulte dans le traitement de la forme néovasculaire (humide) de la dégénérescence maculaire liée à l'âge (DMLA) la baisse visuelle due à l'œdème maculaire diabétique (OMD).	Avis de la CT 10/10/2022	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-19796_BEQVU_OMD_PIC_INS_AvisDef_CT19796.pdf	Première évaluation. Avis favorable au remboursement, chez l'adulte, dans le traitement de la baisse d'acuité visuelle due à l'œdème maculaire diabétique, en cas de forme diffuse ou de fuites proches du centre de la macula, chez les patients ayant une acuité visuelle inférieure ou égale à 5/10 et chez lesquels la prise en charge du diabète a été optimisée. Avis défavorable au remboursement dans les autres cas. Compte tenu: - de la démonstration, après un an de traitement, de la non-infériorité du brolucizumab par rapport à l'aflibercept sur le critère fonctionnel (acuité visuelle) après 1 an de traitement et malgré une supériorité démontrée à ce terme sur un critère anatomique (épaisseur centrale de la rétine); - de l'absence de démonstration d'une supériorité par rapport à l'aflibercept sur l'acuité visuelle à long terme permettant de valider la corrélation avec le résultat de supériorité sur un critère anatomique; - de l'absence de démonstration robuste d'un impact supplémentaire sur la qualité de vie; - de l'absence de comparaison aux autres alternatives disponibles : ranibizumab (LUCENTIS) et l'implant de dexaméthasone OZURDEX; - d'une tolérance comparable à celle de l'aflibercept; la Commission considère que BEOVU 120 mg/ml (brolucizumab), solution injectable en seringue préremplie et solution injectable en flacon n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la prise en charge de la baisse de l'acuité visuelle due à un œdème maculaire diabétique, en cas de forme diffuse ou de fuites proches du centre de la macula, chez les patients ayant une acuité visuelle inférieure ou égale à 5/10 et chez lesquels la prise en charge du diabète a été optimisée.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation and amélioration du service médical rendu (ASMR)
Cemiplimab	Libtayo	Cemiplimab est indiqué pour « Carcinome basocellulaire LIBTAYO est indiqué en monothérapie pour le traitement de patients adultes atteints d'un carcinome basocellulaire localement avancé ou métastatique (CBCla ou CBCm) ayant progressé ou présentant une intolérance à un inhibiteur de la voie Hedgehog (IHH). Cancer bronchopulmonaire non à petites cellules LIBTAYO est indiqué en monothérapie pour le traitement de première ligne de patients adultes atteints d'un cancer bronchopulmonaire non à petites cellules (CBNPC) exprimant PD-L1 (dans ≥ 50 % des cellules tumorales) sans altérations du gène EGFR, ALK ou ROS1, qui ont un CBNPC localement avancé et ne sont pas candidats à une radiochimiothérapie ou un CBNPC métastatique. Carcinome épidermoïde cutané LIBTAYO est indiqué en monothérapie pour le traitement de patients adultes atteints d'un carcinome épidermoïde cutané métastatique ou localement avancé (CECm ou CECla) et qui ne sont pas candidats à une chirurgie curative ni à une radiothérapie curative. »	Avis de la CT 04/10/2022	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CI-19759_LIBTAYO_Basocellulaire_PIC_EL_AvisDef_CT19759.pdf	Nouvelle indication. Avis favorable au remboursement de LIBTAYO (cemiplimab) en monothérapie pour le traitement de patients adultes atteints d'un carcinome basocellulaire localement avancé ou métastatique (CBCla ou CBCm) ayant progressé ou présentant une intolérance à un inhibiteur de la voie Hedgehog (IHH). Prenant en compte: les données de l'étude de phase II non comparative fondées sur un taux de réponse globale de l'ordre de 24 à 28% selon la cohorte évaluée avec toutefois un test statistique non concluant par rapport aux valeurs historiques retenues dans le calcul d'effectifs, l'absence de données comparatives notamment versus les soins de support, La Commission considère qu'en l'état actuel du dossier, LIBTAYO (cemiplimab) n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans le traitement des patients adultes atteints d'un carcinome basocellulaire localement avancé ou métastatique (CBCla ou CBCm) ayant progressé ou présentant une intolérance à un inhibiteur de la voie Hedgehog (IHH).
Ciclosporine	Ikervis	Ciclosporine est indiqué pour le traitement de la kératite sévère chez des patients adultes présentant une sécheresse oculaire qui ne s'améliore pas malgré l'instillation de substituts lacrymaux.	Avis de la CT 04/10/2022	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CI-19723_IKERVIS_PIC_INS_AvisD%C3%A0f_CT19723.pdf	Avis défavorable au remboursement dans le traitement de la kératite sévère chez des patients adultes présentant une sécheresse oculaire qui ne s'améliore pas malgré l'instillation de substituts lacrymaux.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation and amélioration du service médical rendu (ASMR)
Citrate de sufentanil	Ikervis	« Dzuveo est indiqué chez l'adulte dans le traitement des douleurs aiguës modérées à sévères ».	Avis de la CT 04/10/2022	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-19789_DZUVEO_PIC_INS_AvisDef_CT19789.pdf	Première évaluation. Avis favorable au remboursement dans la prise en charge multimodale des douleurs aiguës insuffisamment soulagées par les antalgiques des paliers inférieurs, en soins post-opératoires ou en service d'urgence. Compte tenu: de la démonstration de l'efficacité versus placebo du sufentanil 30 µg, comprimé sublingual dans la douleur aiguë modérée à sévère post-opératoire, mais eu égard: à l'absence d'étude contrôlée versus comparateur(s) actif(s), aux incertitudes sur la transposabilité à la pratique clinique des résultats des études, au besoin médical couvert par les traitements antalgiques disponibles, au profil de tolérance des opioïdes forts, et à la volonté de privilégier une analgésie contrôlée par le patient dans de nombreuses situations cliniques, la Commission de la Transparence considère que DZUVEO 30 µg, comprimé sublingual n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la prise en charge des douleurs aiguës modérées à sévères.
Extrait sec raffiné d'écorce de bouleau	Filsuvez	FILSUIVEZ est indiqué dans le traitement des plaies peu profondes associées à l'Epidermolyse Bulleuse (EB) dystrophique et jonctionnelle chez les patients dès l'âge de 6 mois.	Avis de la CT 20/10/2022	https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2022-10/filsuvez_ap108_decision_et_avis_ct.pdf	Autorisation d'accès précoce refusée à la spécialité FILSUIVEZ dans l'indication « traitement des plaies peu profondes associées à l'Epidermolyse Bulleuse (EB) dystrophique et jonctionnelle chez les patients dès l'âge de 6 mois ».

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation and amélioration du service médical rendu (ASMR)
Fludrocortisone (acétate de)	Flucortac	FLUCORTAC 100 µg/mL, solution buvable est indiqué dans les cas suivants : - Traitement substitutif en cas de déficit en minéralocorticoïdes, en association avec un glucocorticoïde, • dans l'insuffisance surrénalienne primaire (maladie d'Addison) et, • l'hyperplasie congénitale des surrénales avec perte de sel, dans toutes les catégories d'âge. - Traitement à court terme de l'hypotension orthostatique sévère nécessitant un traitement pharmacologique dans toutes les catégories d'âge. L'acétate de fludrocortisone en solution buvable n'est indiqué que si les mesures générales et physiques ne sont pas suffisantes. La durée du traitement doit être la plus courte possible.	Avis de la CT 13/10/2022	https://www.has-sante.fr/uploader/docs/evaluation-med/CT-19778_FLUCORTAC_PIC_INS_AvisDef_CT19778.pdf	Première évaluation. Avis favorable au remboursement dans : le traitement substitutif en cas de déficit en minéralocorticoïdes, en association avec un glucocorticoïde dans l'insuffisance surrénalienne primaire (maladie d'Addison) et l'hyperplasie congénitale des surrénales avec perte de sel, dans toutes les catégories d'âge. le traitement à court terme de l'hypotension orthostatique sévère neurogène nécessitant un traitement pharmacologique dans toutes les catégories d'âge. L'acétate de fludrocortisone en solution buvable n'est indiqué que si les mesures générales et physiques ne sont pas suffisantes. La durée du traitement doit être la plus courte possible. Avis défavorable au remboursement dans le traitement de l'hypotension orthostatique sévère non-neurogène. Compte tenu de : l'usage bien établi de la fludrocortisone dans le traitement de l'insuffisance corticosurrénale primaire, en cas de déficit en minéralocorticoïde; l'intérêt pratique de cette formulation, en particulier chez les nouveau-nés, sans donnée clinique permettant d'étayer un avantage en termes de qualité de vie ou d'observance, la commission de la Transparence considère que FLUCORTAC (fludrocortisone) 100 µg/mL, solution buvable n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport à la spécialité à base de fludrocortisone déjà inscrite, FLUCORTAC (fludrocortisone) 50 µg, comprimé sécable. Compte tenu de : la faible qualité de la démonstration qui suggère une augmentation modeste de la pression artérielle lors du passage en position debout (études anciennes, principalement non comparative, avec un faible nombre de patients), l'absence de données comparatives en termes d'efficacité et de tolérance par rapport à la midodrine, le besoin médical à disposer d'alternatives et l'usage bien établi de la fludrocortisone dans le traitement de l'hypotension orthostatique neurogène, l'absence de démonstration de l'intérêt pratique de cette formulation en termes de qualité de vie ou d'observance, la commission de la Transparence considère que FLUCORTAC (fludrocortisone) 100 µg/mL, solution buvable n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la prise en charge de l'hypotension orthostatique neurogène.
Ibuprofène sodique dihydraté/paracétamol	Cetafen	« CETAFEN (paracétamol/ibuprofène) 10 mg/3 mg par mL, solution pour perfusion est indiqué chez l'adulte pour le traitement symptomatique de courte durée des douleurs aiguës modérées, lorsqu'un mode d'administration intraveineux est considéré comme cliniquement nécessaire et/ou lorsque les autres voies d'administration sont impossibles ».	Avis de la CT 13/10/2022	https://www.has-sante.fr/uploader/docs/evaluation-med/CT-19860_CETAFEN_PIS_INS_AvisDef_CT19860.pdf	Première évaluation. Avis favorable au remboursement dans le traitement symptomatique de courte durée des douleurs aiguës modérées chez l'adulte, lorsqu'un mode d'administration intraveineux est considéré comme cliniquement nécessaire et/ou lorsque les autres voies d'administration sont impossibles. Cette spécialité n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la stratégie de prise en charge de courte durée des douleurs aiguës modérées, lorsqu'un mode d'administration intraveineux est considéré comme cliniquement nécessaire et/ou lorsque les autres voies d'administration sont impossibles.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation and amélioration du service médical rendu (ASMR)
Immunoglobuline humaine normale	Intratect	Traitement de substitution chez les adultes, les enfants et les adolescents (âgés de 0 à 18 ans) dans les situations suivantes : • Déficits immunitaires primitifs (DIP) avec altération de la production d'anticorps. • Déficits immunitaires secondaires (DIS) chez les patients souffrant d'infections sévères ou récurrentes, en échec d'un traitement antimicrobien et ayant, soit un défaut de production d'anticorps spécifiques (DPAS)* avéré, soit un taux d'IgG sériques < 4 g/l. * DPAS = incapacité à augmenter d'au moins 2 fois le titre d'anticorps IgG dirigés contre les antigènes polysaccharidiques et polypeptidiques des vaccins anti-pneumococques – Immunomodulation chez les adultes, les enfants et les adolescents (âgés de 0 à 18 ans) dans les situations suivantes : • Thrombocytopénie immune primaire (TIP) chez les patients à haut risque hémorragique ou avant une intervention chirurgicale pour corriger la numération plaquettaire • Syndrome de Guillain-Barré • Maladie de Kawasaki (en association avec l'acide acétylsalicylique, voir rubrique 4.2) • Polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC) • Neuropathie motrice multifocale (NMM)	Avis de la CT 14/10/2022	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-19898_INTRATECT_PIS_INS_AvisDef_CT19898.pdf	Première évaluation. Avis favorable au remboursement dans les indications de l'AMM : Traitement de substitution chez les adultes, les enfants et les adolescents (âgés de 0 à 18 ans) dans les situations suivantes : déficits immunitaires primitifs (DIP) avec altération de la production d'anticorps ; déficits immunitaires secondaires (DIS) chez les patients souffrant d'infections sévères ou récurrentes, en échec d'un traitement antimicrobien et ayant, soit un défaut de production d'anticorps spécifiques (DPAS) avéré, soit un taux d'IgG sériques < 4 g/l. Immunomodulation chez les adultes, les enfants et les adolescents (âgés de 0 à 18 ans) dans les situations suivantes : thrombocytopénie immune primaire (TIP) chez les patients à haut risque hémorragique ou avant une intervention chirurgicale pour corriger la numération plaquettaire ; syndrome de Guillain-Barré ; maladie de Kawasaki (en association avec l'acide acétylsalicylique) ; polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC) ; neuropathie motrice multifocale (NMM). En l'absence de données comparatives versus les autres spécialités à base d'immunoglobuline humaine, INTRATECT 50 et 100 g/L (immunoglobuline humaine normale) n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la prise en charge des déficits immunitaires primitifs ou secondaires et dans le traitement immunomodulateur chez l'adulte, l'enfant et l'adolescent (0-18 ans) par rapport aux autres immunoglobulines humaines normales administrées par voie intraveineuse ou sous-cutanée.
Olaparib	Lynparza	Olaparib est indiqué « en monothérapie ou en association à une hormonothérapie pour le traitement adjuvant des patients adultes atteints d'un cancer du sein précoce à haut risque HER2-négatif et présentant une mutation germinale des gènes BRCA1/2, qui ont été précédemment traités par chimiothérapie néoadjuvante ou adjuvante ».	Avis de la CT 24/10/2022	https://www.has-sante.fr/upload/docs/applications/pdf/2022-04/lynparza_ap36_decision_etavis_ct.pdf	Autorisation d'accès précoce octroyée le 31 mars 2022 à la spécialité LYNPARZA (olaparib) dans l'indication « en monothérapie ou en association à une hormonothérapie pour le traitement adjuvant des patients adultes atteints d'un cancer du sein précoce à haut risque HER2-négatif et présentant une mutation germinale des gènes BRCA1/2, qui ont été précédemment traités par chimiothérapie néoadjuvante ou adjuvante ».

NEWSLETTER di HTA – October 2022

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation and amélioration du service médical rendu (ASMR)
Somatrogon	Ngenla	Somatrogon est indiqué pour « Le traitement doit être instauré et suivi par des médecins qualifiés et expérimentés dans le diagnostic et la prise en charge des patients pédiatriques présentant un déficit en hormone de croissance (DHC).	Avis de la CT 25/10/2022	https://www.has-sante.fr/uploader/docs/evaluation/CT-19783_NGENLA_PIC_INS_AvisDef_CT19783.pdf	Première évaluation. Avis favorable au remboursement dans le traitement de l'enfant et de l'adolescent âgé de 3 ans et plus présentant un trouble de la croissance dû à une sécrétion insuffisante d'hormone de croissance. Compte tenu : - de la démonstration de la non-infériorité à 12 mois du somatrogon en administration hebdo-madaire par rapport à la spécialité GENOTONORM (somatotropine) en injection quotidienne (comparateur cliniquement pertinent) sur la vitesse de croissance annualisée ; - de la démonstration d'une supériorité sur l'interférence du traitement avec la vie du patient en raison de la simplification de l'administration ; - du profil de tolérance comparable à celui de la somatotropine dans les études, hormis concernant les réactions au site d'injection et l'immunogénicité plus fréquents avec le somatrogon ; - des incertitudes de tolérance à long-terme concernant l'exposition à un niveau accru d'IGF-1 non-physiologique, y compris les risques potentiels de néoplasie (bénigne et maligne) et d'altération de la tolérance au glucose ; la Commission de la Transparence considère que NGENLA (somatrogon) n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la stratégie de prise en charge de l'enfant et de l'adolescent âgé de 3 ans et plus présentant un trouble de la croissance dû à une sécrétion insuffisante d'hormone de croissance.
Vénétoclax	Venclyxto	« VENCLYXTO, en association avec l'obinutuzumab, est indiqué pour le traitement des patients adultes atteints d'une leucémie lymphoïde chronique (LLC) non précédemment traités »	Avis de la CT 11/10/2022	https://www.has-sante.fr/uploader/docs/evaluation/med/CT-19731_VENCLYXTO_PIC_FI_Avisd%C3%A9f_CT19731.pdf	Nouvelle indication. Avis favorable au remboursement, en association à l'obinutuzumab, dans le traitement des patients atteints d'une leucémie lymphoïde chronique (LLC) non précédemment traités, uniquement en présence d'une délétion 17p et/ou mutation TP53 ou chez les patients ne présentant pas de délétion 17p ou de mutation TP53 et inéligibles à un traitement à base de fludarabine. Avis défavorable au remboursement dans les autres situations de l'AMM à savoir chez les patients ne présentant pas de délétion 17p ou de mutation TP53 et éligibles à un traitement à base de fludarabine. VENCLYXTO (vénétoclax), en association à l'obinutuzumab, apporte une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) par rapport à l'association chlorambucil + obinutuzumab chez les patients atteints d'une LLC non précédemment traités et présentant une délétion 17p ou une mutation TP53 ou chez les patients inéligibles à un traitement à base de fludarabine.

Esclusi dal report i seguenti medicinali valutati da HAS perché si tratta di rivalutazioni, di generici, ibridi, nuove presentazioni, eurogenerici: tixocortol (TIXOCORTOL EG), frémamezumab (AJOVY), chlorhydrate de doxorubicine (ZOLSKETIL PEGYLATED LIPOSOMAL), acide gadotérique (PULSAREM), cabazitaxel (CABAZITAXEL VIATRIS), patiromer (VELTASSA), fluorouracile (FLUOROURACILE PFIZER), vaccin diphtérique, tétanique, coquelucheux (acellulaire, multicomposé) et poliomyélitique (inactif), (adsorbé, à teneur réduite en antigènes) (BOOSTRIX TETRA), ivacaftor (KALYDECO), inotuzumab ozogamicine (BESPONSA), rivaroxaban (XARELTO), sitagliptine/metformine (SITAGLIPTINE/METFORMINE), oxygène (OXYGENE MEDICINAL LIQUIDE SOL FRANCE), secukinumab (COSENTYX), 177 Lutécium oxodotréotide (LUTATHERA), emtricitabine/bictégravir sodique/ténofovir alafénamide (BIKTARVY), isotrétinoïne (CONTRACNE, CURACNE, PROCUTA, ISOTRETINOINE ACNETRAIT), sumatriptan (SUMATRIPTASUN), nivolumab/ipilumab (OPDIVO/YERVOY), rivaroxaban (XARELTO), tramétinib/dabrafénib (MEKINIST-TAFINLAR).



<https://icer.org/>

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Note

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Note
Abemaciclib [A22-51] [A22-96]	Verzenio	Adjuvant treatment of patients with HR-positive, HER2-negative, node-positive early breast cancer at high risk of recurrence	Dossier Assessment + Addendum 20/10/2022	https://www.iqwig.de/download/a22-51_abemaciclib_extract-of-dossier-assessment_v1-0.pdf	Premenopausal women: hint of minor added benefit Postmenopausal women: added benefit not proven Men: added benefit not proven In accordance with §35a Social Code Book (SGB) V, the Federal Joint Committee (G-BA) commissioned the Institute for Quality and Efficiency in Health Care (IQWiG) to assess the benefit of the drug abemaciclib. The assessment is based on a dossier compiled by the pharmaceutical company (hereinafter referred to as the “company”). 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.
Anifrolumab [A22-35] [A22-85]	Saphnelo	Add-on treatment in adults with moderate to severe active autoantibody-positive systemic lupus erythematosus (SLE) despite standard therapy	Dossier Assessment + Addendum 06/10/2022	https://www.iqwig.de/download/a22-35_anifrolumab_extract-of-dossier-assessment_v1-0.pdf	Added benefit not proven. In accordance with §35a Social Code Book (SGB) V, the Federal Joint Committee (G-BA) commissioned the Institute for Quality and Efficiency in Health Care (IQWiG) to assess the benefit of the drug anifrolumab. The assessment is based on a dossier compiled by the pharmaceutical company (hereinafter referred to as the “company”). 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.
Atezolizumab [A22-67]	Tecentriq	Adult patients with completely resected non-small cell lung cancer (NSCLC) at high risk of recurrence after platinum-based chemotherapy whose tumours express PD-L1 in ≥ 50% of the tumour cells and who do not have EGFR mutations or ALK-positive NSCLC; adjuvant treatment	Dossier Assessment 17/10/2022	https://www.iqwig.de/download/a22-67_atezolizumab_nutzenbewertung-35a-sgb-v-v1-0.pdf	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	Link	Note
Cerliponase alfa [G22-25]	Brineura	Neuronal ceroid lipofuscinosis type 2	Dossier Assessment 04/10/2022	https://www.iqwig.de/download/g22-25_cerliponase-alfa_bewertung-35a-absatz-1-satz-11-sgb-v_v1-0.pdf	In accordance with §35a (1) Sentence 11 Social Code Book (SGB) V, the added medical benefit of orphan drugs is deemed as proven by the fact that they have been approved. On behalf of 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.
Nirmatrelvir/ritonavir [A22-64]	Paxlovid	Adults with COVID-19 who do not require supplemental oxygen and who are at increased risk for progressing to severe COVID-19	Dossier Assessment 04/10/2022	https://www.iqwig.de/download/a22-64_nirmatrelvir-ritonavir_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-0.pdf	Hint of major 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.
Nivolumab [A22-53] [A22-97]	Opdivo	Adult patients with muscle invasive urothelial carcinoma with tumour cell PD-L1 expression $\geq 1\%$, who are at high risk of recurrence after undergoing radical resection	Dossier Assessment + Addendum 20/10/2022	https://www.iqwig.de/download/a22-53_nivolumab_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-0.pdf	Patients who are eligible for cisplatin-containing therapy for adjuvant treatment: added benefit not proven. Patients who are not eligible for cisplatin-containing therapy for adjuvant treatment: hint of minor 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.
Nivolumab [A22-54] [A22-98]	Opdivo	Adult patients with unresectable advanced, recurrent or metastatic oesophageal squamous cell carcinoma with tumour cell PD-L1 expression $\geq 1\%$; first-line treatment; combination with fluoropyrimidine- and platinum-based combination chemotherapy	Dossier Assessment 20/10/2022	https://www.iqwig.de/download/a22-54_nivolumab_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-0.pdf	Indication 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.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Note
Nivolumab [A22-55] [A22-99]	Opdivo	Adult patients with unresectable advanced, recurrent or metastatic oesophageal squamous cell carcinoma with tumour cell PD-L1 expression $\geq$ 1%; first-line treatment; combination with ipilimumab	Dossier Assessment 20/10/2022	https://www.iqwig.de/download/a22-55_nivolumab_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-o.pdf	Indication 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.
Palbociclib [A22-66]	Ibrance	Postmenopausal patients with hormone receptor-positive, HER2-negative locally advanced or metastatic breast cancer in first-line therapy	Dossier Assessment 04/10/2022	https://www.iqwig.de/download/a22-66_palbociclib_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-o.pdf	Proof 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.
Pembrolizumab [A22-63]	Keytruda	Adult patients with locally advanced, or early-stage triple-negative breast cancer at high risk of recurrence, in combination with chemotherapy as neoadjuvant treatment, and then continued as monotherapy as adjuvant treatment after surgery	Dossier Assessment 04/10/2022	https://www.iqwig.de/download/a22-63_pembrolizumab_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-o.pdf	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.
Secukinumab [A22-68]	Cosentyx	Alone or in combination with methotrexate for the treatment of active juvenile psoriatic arthritis in patients aged 6 years and older whose disease has responded inadequately to, or who cannot tolerate, conventional therapy	Dossier Assessment 17/10/2022	https://www.iqwig.de/download/a22-68_secukinumab_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-o.pdf	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	Link	Note
Secukinumab [A22-69]	Cosentyx	Alone or in combination with methotrexate for the treatment of active enthesitis-associated arthritis in patients aged 6 years and older whose disease has responded inadequately to, or who cannot tolerate, conventional therapy	Dossier Assessment 17/10/2022	https://www.iqwig.de/download/a22-69_secukinumab_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-0.pdf	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.
Selpercatinib [A22-65]	Retsevmo	Adults with advanced RET fusion-positive non-small cell lung cancer; first-line therapy	Dossier Assessment 04/10/2022	https://www.iqwig.de/download/a22-65_selpercatinib_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-0.pdf	Patients with PD-L1 expression $\geq$ 50% of tumour cells: added benefit not proven Patients with PD-L1 expression < 50% of tumour cells: 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	Link	Recommendation
Azacitidine	Vidaza	Oral azacitidine is indicated as maintenance therapy in adult patients with acute myeloid leukaemia (AML) who achieved complete remission (CR) or complete remission with incomplete blood count recovery (CRI) following induction therapy with or without consolidation treatment and who are not candidates for, including those who choose not to proceed to, hematopoietic stem cell transplantation (HSCT).	Technology appraisal guidance [TA827] 05/10/2022	https://www.nice.org.uk/guidance/ta827/resources/oral-azacitidine-for-maintenance-treatment-of-acute-myeloid-leukaemia-after-induction-therapy-pdf-82613375860165	Oral azacitidine is recommended, within its marketing authorisation, as an option for maintenance treatment for acute myeloid leukaemia (AML) in adults who: are in complete remission, or complete remission with incomplete blood count recovery, after induction therapy with or without consolidation treatment, and cannot have or do not want a haematopoietic stem cell transplant. It is recommended only if the company provides oral azacitidine according to the commercial arrangement. The list price for oral azacitidine is £5,867 for a 200-mg or 300-mg pack of 7 tablets (excluding VAT; price confirmed by the company). The company has a commercial arrangement. This makes oral azacitidine 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. The clinical trial evidence shows that if people take oral azacitidine it takes longer for their cancer to relapse, and they live longer than if they have placebo.
Fostamatinib	Tavlesse	Fostamatinib is indicated 'for the treatment of chronic immune thrombocytopenia (ITP) in adult patients who are refractory to other treatments'.	Technology appraisal guidance [TA835] 19/10/2022	https://www.nice.org.uk/guidance/ta835/resources/fostamatinib-for-treating-refractory-chronic-immune-thrombocytopenia-pdf-82613432967109	Fostamatinib is recommended as an option for treating refractory chronic immune thrombocytopenia (ITP) in adults, only if: • they have previously had a thrombopoietin receptor agonist (TPO-RA), or a TPO-RA is unsuitable • the company provides fostamatinib according to the commercial arrangement. The list prices of fostamatinib are: • £3,090 per 60-tablet pack, each tablet contains 100 mg of fostamatinib (excluding VAT; BNF online, accessed August 2022) • £4,635 per 60-tablet pack, each tablet contains 150 mg of fostamatinib (excluding VAT; BNF online, accessed August 2022). Clinical evidence shows that fostamatinib is effective compared with placebo. There is no clinical trial evidence directly comparing fostamatinib with rituximab or mycophenolate. An indirect comparison shows that fostamatinib works better than rituximab at increasing the number of platelets in the blood (cells that help the blood to clot).

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation
Olaparib	Lynparza	Olaparib is indicated as monotherapy for the treatment of adult patients with metastatic castration-resistant prostate cancer and BRCA1/2-mutations (germline and/or somatic) who have progressed following prior therapy that included a new hormonal agent'.	Technology appraisal guidance [TA831] 05/10/2022	https://www.nice.org.uk/guidance/ta831/resources/olaparib-for-previously-treated-brca-mutationpositive-hormonerelapsed-metastatic-prostate-cancer-pdf-82613426248645	Olaparib is not recommended, within its marketing authorisation, for treating hormone-relapsed metastatic prostate cancer with BRCA1 or BRCA2 mutations that has progressed after a newer hormonal treatment (such as abiraterone or enzalutamide). The price for olaparib is £2,317.50 per pack of 56 tablets, each containing 100 mg or 150 mg of the active ingredient (excluding VAT; BNF online accessed February 2021). Clinical trial evidence shows that people taking olaparib have more time before their cancer gets worse, and live longer overall, than people having retreatment with abiraterone or enzalutamide. However, this retreatment is not considered effective and is not standard care in the NHS.
Ozanimod	Zeposia	Ozanimod is indicated for treating moderately to severely active ulcerative colitis in adults when conventional or biological treatments cannot be tolerated or are not working well enough.	Technology appraisal guidance [TA828] 05/10/2022	https://www.nice.org.uk/guidance/ta828/resources/ozanimod-for-treating-moderately-to-severely-active-ulcerative-colitis-pdf-82613377539781	Ozanimod is recommended as an option for treating moderately to severely active ulcerative colitis in adults, only if: - conventional treatment cannot be tolerated or is not working well enough and infliximab is not suitable, or - biological treatment cannot be tolerated or is not working well enough, and - the company provides it according to the commercial arrangement. The price of an ozanimod induction pack is £343 (4 capsules of 0.23 mg and 3 capsules of 0.46 mg per pack). The price of a maintenance pack is £1,373 (0.92 mg, 28-capsule pack) or £4,806 (0.92 mg, 98-capsule pack; all prices excluding VAT; company submission). The estimated cost for the induction and maintenance phases of treatment is £17,910 per person per year (company submission, excluding VAT). Clinical trial evidence shows that ozanimod is more effective than placebo for treating moderately to severely active ulcerative colitis. There is no direct evidence comparing ozanimod with standard treatments that are offered after conventional treatment, but indirect comparisons suggest that it is likely to be as effective as some of them.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation
Palbociclib	Ibrance	Palbociclib is indicated for treating hormone receptor-positive, HER2-negative advanced breast cancer after endocrine therapy	Technology appraisal guidance [TA836] 26/10/2022	https://www.nice.org.uk/guidance/ta836/resources/palbociclib-with-fulvestrant-for-treating-hormone-receptorpositive-her2negative-advanced-breast-cancer-after-endocrine-therapy-pdf-82613434646725	Palbociclib plus fulvestrant is recommended as an option for treating hormone receptor-positive, HER2-negative locally advanced or metastatic breast cancer in adults who have had endocrine therapy only if: exemestane plus everolimus is the most appropriate alternative to a cyclin-dependent kinase 4 and 6 (CDK4/6) inhibitor and the company provides it according to the commercial arrangement. The company's list price is £2,950 per 21-pack of 75 mg, 100 mg or 125 mg capsules (excluding VAT; BNF online, accessed July 2022). The average cost of a course of combination treatment at list price is £6,170.70 for the loading dose and £5,126.42 for the following cycles. The company has a commercial arrangement. This makes palbociclib 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. The new evidence collected from people having treatment through the Cancer Drugs Fund shows that palbociclib plus fulvestrant is clinically effective. Additional clinical trial evidence shows that it increases how long people live compared with placebo plus fulvestrant. Indirect comparisons suggest that it has similar clinical effectiveness to abemaciclib plus fulvestrant and ribociclib plus fulvestrant.
Pembrolizumab	Keytruda	Pembrolizumab as monotherapy is indicated for the adjuvant treatment of adults with renal cell carcinoma at increased risk of recurrence following nephrectomy or following nephrectomy and resection of metastatic lesions'.	Technology appraisal guidance [TA830] 19/10/2022	https://www.nice.org.uk/guidance/ta830/resources/pembrolizumab-for-adjuvant-treatment-of-renal-cell-carcinoma-pdf-82613424569029	Pembrolizumab is recommended, within its marketing authorisation, as an option for the adjuvant treatment of renal cell carcinoma at increased risk of recurrence after nephrectomy, with or without metastatic lesion resection, in adults. It is recommended only if the company provides it according to the commercial arrangement. The cost of a 100 mg per 4 ml vial of pembrolizumab is £2,630 (excluding VAT; BNF online accessed April 2022). The cost of a 12-month course (17 cycles) of treatment is £89,420. Evidence from a clinical trial suggests that, after surgery, pembrolizumab plus routine surveillance increases the time people have before their cancer comes back and how long they live compared with placebo plus routine surveillance.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation
Pembrolizumab	Keytruda	Pembrolizumab is indicated for adjuvant treatment of resected stage 2B or 2C melanoma	Technology appraisal guidance [TA837] 26/10/2022	https://www.nice.org.uk/guidance/ta837/resources/pembrolizumab-for-adjuvant-treatment-of-resected-stage-2b-or-2c-melanoma-pdf-82613436326341	Pembrolizumab is recommended, within its marketing authorisation, as an option for the adjuvant treatment of completely resected stage 2B or 2C melanoma in people 12 years and over. It is recommended only if the company provides pembrolizumab according to the commercial arrangement. The list price is £2,630.00 per 100 mg/4 ml concentrate for solution for infusion vial (excluding VAT; BNF online, accessed August 2022). Clinical evidence shows that adjuvant pembrolizumab increases how long people live without the cancer coming back and getting worse compared with placebo. There is still not enough evidence to know how much pembrolizumab increases how long people live.
Relugolix–estradiol–norethisterone acetate	Ryeqo	Relugolix–estradiol–norethisterone acetate is indicated for the treatment of moderate to severe symptoms of uterine fibroids in adult women of reproductive age.	Technology appraisal guidance [TA832] 19/10/2022	https://www.nice.org.uk/guidance/ta832/resources/relugolixestradiolnorethisterone-acetate-for-treating-moderate-to-severe-symptoms-of-uterine-fibroids-pdf-82613427928261	Relugolix–estradiol–norethisterone acetate is recommended, within its marketing authorisation, as an option for treating moderate to severe symptoms of uterine fibroids in adults of reproductive age. The list price of relugolix–estradiol–norethisterone acetate is £72.00 for a 28-pack of 40 mg/1 mg/0.5 mg tablets (excluding VAT; BNF online, accessed April 2022). The annual treatment cost is £939.21. Costs may vary in different settings because of negotiated procurement discounts. Clinical trial evidence shows that relugolix–estradiol–norethisterone acetate is more effective than placebo for reducing heavy menstrual bleeding. It has only been indirectly compared with GnRH agonists and this suggests it is similarly effective to them, but the results are uncertain.
Zanubrutinib	Brukina	Zanubrutinib has a marketing authorisation in the UK for the treatment of adult patients with Waldenström's macroglobulinaemia (WM) in adults who have received at least one prior therapy, or in first-line treatment for patients unsuitable for chemoimmunotherapy.	Technology appraisal guidance [TA833] 19/10/2022	https://www.nice.org.uk/guidance/ta833/resources/zanubrutinib-for-treating-waldenstroms-macroglobulinaemia-pdf-82613429607877	Zanubrutinib is recommended as an option for treating Waldenström's macroglobulinaemia in adults who have had at least 1 treatment, only if: bendamustine plus rituximab is also suitable and the company provides it according to the commercial arrangement. The list price of zanubrutinib 120x80 mg capsules is £4,928.65 (excluding VAT; company submission). The company has a commercial arrangement. This makes zanubrutinib 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. Clinical evidence from an indirect comparison suggests that people with Waldenström's macroglobulinaemia may live longer and have a better quality of life with zanubrutinib than with standard care. Long-term evidence on the effectiveness of zanubrutinib is not yet available. So, it is unclear how much longer people having zanubrutinib live.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Advice	Evidences
Brolucizumab	Beovu	Brolucizumab is indicated in adults for the treatment of visual impairment due to diabetic macular oedema.	Medicine Advice 10/10/2022	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7136/brolucizumab-beovu-abbreviated-sept-2022-for-website.pdf	following an abbreviated submission: brolucizumab (Beovu®) is accepted for restricted use within NHSScotland.	
Filgotinib	Jyseleca	Filgotinib is indicated for the treatment of moderate to severe active rheumatoid arthritis in adult patients who have responded inadequately to, or who are intolerant to one or more disease-modifying anti-rheumatic drugs (DMARDs). Filgotinib may be used as monotherapy or in combination with methotrexate.	Medicine Advice 10/10/2022	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7138/filgotinib-jyseleca-resubmission-sept-2022-for-website.pdf	following a resubmission: filgotinib (Jyseleca®) is accepted for restricted use within NHSScotland.	In a post hoc subgroup analysis from a phase III study, filgotinib compared with placebo (in combination with methotrexate) improved the signs and symptoms of moderate rheumatoid arthritis (DAS28[CRP] >3.2 to ≤5.1) in patients with an inadequate response to conventional DMARDs.
Ozanimod	Zeposia	Ozanimod is indicated for the treatment of adult patients with moderately to severely active ulcerative colitis (UC) who have had an inadequate response, lost response, or were intolerant to either conventional therapy or a biologic agent.	Medicine Advice 10/10/2022	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7139/ozanimod-zeposia-final-sept-2022-for-website.pdf	following a full submission: ozanimod (Zeposia®) is accepted for use within NHSScotland.	In a randomised, double-blind, phase III study in patients with moderately to severely active UC, clinical remission was achieved by a significantly greater proportion of patients who received ozanimod compared with placebo after induction and maintenance treatment.
Pembrolizumab	Keytruda	Pembrolizumab is indicated in combination with chemotherapy, for the treatment of locally recurrent unresectable or metastatic triple-negative breast cancer in adults whose tumours express PD-L1 with a CPS ≥ 10 and who have not received prior chemotherapy for metastatic disease.	Medicine Advice 10/10/2022	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7142/pembrolizumab-keytruda-tnbc-final-september-2022-for-website.pdf	following a full submission assessed under the end of life and orphan equivalent medicine process: pembrolizumab (Keytruda®) is accepted for restricted use within NHSScotland.	In one randomised, double-blind, phase III study, pembrolizumab plus chemotherapy significantly improved progression free survival and overall survival compared with chemotherapy alone.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Advice	Evidences
Pembrolizumab	Keytruda	In combination with lenvatinib, Pembrolizumab is indicated for the treatment of advanced or recurrent endometrial carcinoma in adults who have disease progression on or following prior treatment with a platinum-containing therapy in any setting and who are not candidates for curative surgery or radiation.	Medicine Advice 10/10/2022	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7140/pembrolizumab-keytruda-ec-final-sept-2022-amended-051022-for-website.pdf	following a full submission assessed under the end of life and orphan equivalent medicine process: pembrolizumab (Keytruda®) is accepted for restricted use within NHSScotland.	
Pembrolizumab	Keytruda	As monotherapy for the adjuvant treatment of adults with renal cell carcinoma (RCC) at increased risk of recurrence following nephrectomy, or following nephrectomy and resection of metastatic lesions.	Medicine Advice 10/10/2022	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7141/pembrolizumab-keytruda-rcc-final-sept-2022-for-website.pdf	following a full submission: pembrolizumab (Keytruda®) is accepted for use within NHSScotland.	In a phase III study, pembrolizumab significantly improved investigator-assessed disease-free survival (DFS) when compared with placebo.
Upadacitinib	Rinvoq	Upadacitinib is indicated for the treatment of adult patients with moderately to severely active ulcerative colitis who have had an inadequate response, lost response or were intolerant to either conventional therapy or a biologic agent.	Medicine Advice 10/10/2022	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7143/upadacitinib-rinvoq-uc-abb-final-sept-2022-for-website.pdf	following an abbreviated submission: upadacitinib (Rinvoq®) is accepted for use within NHSScotland.	