







NEWSLETTER: News from the HTA Agencies

September 2023

SUMMARY

	N° of drugs	Drug Name
	5	Belzutifan • Cenobamate • Tisagenlecleucel • Upadactinib • Zanubrutinib
	28	Amantadine Chlorhydrate • Carmustine • Cemiplimab • Chlorhydrate de Picloxydine • Chlormadinone acetate • Cicabtagene autoleucel • Durvalumab/tremelimumab • Etranacogene dezaparvovec • Evinacumab • Ivacaftor/tezacaftor/elaxacaftor • Latanoprost • Lidocaine/prilocaine • Lisocabtagene maraleucel • Mavacamten • Nitrazepam • Nivolumab • Nomogestrol acetate • Ravulizumab • Semaglutide • Setmelanotide • Somatropine • Sutimlimab • Teclistamab • Tralokinumab • Tremelimumab • Valoctocogene roxaparvovec • Vamorolone • Zabrutinib
	0	
	7	Darolutamide • Esketamine • Lisocabtagene maraleucel • Luspatercept • Ravulizumab • Sacubitril/Valsartan • Secukinumab
	3	Mavacamten • Pembrolizumab • Semaglutide
	7	Eladocogene exuparvovec • Daratumumab Ibrutinib • Mosunetuzumab • Nivolumab • Olipudase alfa • Rimegepant • Vutrisiran

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation	Info on costs
Belzutifan	Welireg	Belzutifan is indicated for the treatment of adult patients with von Hippel-Lindau disease who require therapy for associated nonmetastatic renal cell carcinoma, central nervous system hemangioblastomas, or nonmetastatic pancreatic neuroendocrine tumours, not requiring immediate surgery	CADTH Reimbursement Recommendation	https://www.cadth.ca/sites/default/files/DRR/2023/PC0309%20Welireg%20-%20CADTH%20Final%20Recommendation%20Final.pdf	The CADTH pCODR Expert Review Committee (pERC) recommends that belzutifan be reimbursed for the treatment of adult patients with VHL disease who require therapy for associated nonmetastatic RCC, CNS hemangioblastomas, or nonmetastatic pancreatic neuroendocrine tumours (pNET), not requiring immediate surgery only if the conditions listed in the linked report are met.	Treatment with Welireg is expected to cost \$17,920 per 28 days.
Cenobamate	Xcopri	Cenobamate is indicated as adjunctive therapy in the management of partial onset seizures in adults with epilepsy who are not satisfactorily controlled with conventional therapy	CADTH Reimbursement Recommendation	https://www.cadth.ca/sites/default/files/DRR/2023/SR0770%20Xcopri%20-%20Final%20CADTH%20Recommendation%20Final.pdf	The CADTH Canadian Drug Expert Committee (CDEC) recommends that cenobamate be reimbursed as adjunctive therapy in the management of partial onset seizures in adults with epilepsy whose seizures are not satisfactorily controlled with conventional therapy, only if the conditions listed in the linked report are met.	Treatment with Xcopri is expected to cost \$3,214 per patient per year.
Tisagenlecleucel	Kymriah	Tisagenlecleucel for the treatment of adult patients with relapsed or refractory grade 1, 2, or 3a follicular lymphoma after 2 or more lines of systemic therapy	CADTH Reimbursement Recommendation	https://www.cadth.ca/sites/default/files/DRR/2023/PG0306%20Kymriah%20-%20Final%20CADTH%20Recommendation.pdf	The CADTH pan-Canadian Oncology Drug Review Expert Review Committee (pERC) recommends that tisagenlecleucel be reimbursed for the treatment of adults with relapsed or refractory grade 1, 2, or 3a FL after 2 or more lines of systemic therapy only if the conditions listed in the linked report are met.	Treatment with Kymriah is expected to cost approximately \$450,000 per infusion.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation	Info on costs
Upadactinib	Rinvoq	For the treatment of adult patients with moderately to severely active ulcerative colitis who have demonstrated prior treatment failure, i.e., an inadequate response to, loss of response to, or intolerance to at least 1 of conventional and/or biologic therapy.	CADTH Reimbursement Recommendation	https://www.cadth.ca/sites/default/files/DRR/2023/SR0730%20Rinvoq%20UC%20-%20Final%20CADTH%20Recommendation%20Final-meta.pdf	The CADTH Canadian Drug Expert Committee (CDEC) recommends that upadacitinib be reimbursed for the treatment of adult patients with moderately to severely active ulcerative colitis (UC) who have demonstrated prior treatment failure (i.e., an inadequate response to, loss of response to, or intolerance to at least 1 of conventional therapy and/or biologic therapy), only if the conditions listed in the linked report are met.	Treatment with Rinvoq is expected to cost approximately \$20,861 to \$28,493 per patient for the first year, and \$17,965 to \$27,010 per patient per year thereafter.
Zanubrutinib	Brukinsa	Brukinsa is indicated for the treatment of adult patients with chronic lymphocytic leukemia	CADTH Reimbursement Recommendation	https://www.cadth.ca/sites/default/files/DRR/2023/PC0310REC-Brukinsa_KT%20-%20MFJ_KT-meta.pdf	The CADTH pCODR Expert Review Committee (pERC) recommends that zanubrutinib be reimbursed for the treatment of adult patients with chronic lymphocytic leukemia (CLL) only if the conditions listed in the linked report are met	Treatment with Brukinsa is expected to cost approximately \$272 per patient per day (\$7,614 per 28-day cycle).

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation
Amantadine Chlorhydrate	Mantadix	« traitement des dyskinésies induites par la lévodopa chez les patients atteints de la maladie de Parkinson »	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20371_MANTADIX_PIS_INS_AvisDef_CT20371.pdf	<p>Inscription : Primo-inscription. Avis favorable au remboursement uniquement dans le « traitement des dyskinésies induites par la lévodopa chez les patients atteints de la maladie de Parkinson ». Avis défavorable au remboursement dans les autres situations cliniques de la maladie de Parkinson et dans les autres indications de l'AMM.</p> <p>ASMR: V (absence) 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 MANTADIX (amantadine) 100 mg, capsule (flacon).</p>
Carmustine	Carmustine	<p>dans le traitement des néoplasmes malins suivants en monothérapie ou en combinaison avec d'autres agents antinéoplasiques et/ou d'autres mesures thérapeutiques (radiothérapie, chirurgie): Tumeurs cérébrales: glioblastome, médulloblastome, gliomes du tronc cérébral, astrocytome, épendymome et tumeurs cérébrales métastatiques; Thérapie secondaire dans le traitement du lymphome non hodgkinien et de la maladie de Hodgkin; Mélanome malin en association avec d'autres médicaments antinéoplasiques; Comme conditionnement préalable à une greffe autologue de cellules souches hématopoïétiques (CSH) en cas de maladies hématologiques malignes (Lymphome de Hodgkin/lymphome non hodgkinien). »</p>	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20390_CARMUSTINE%20ACCORPHARMA_PIS_INS_AvisDef_CT20390.pdf	<p>Inscription : Primo-inscription. Avis favorable au remboursement</p> <p>ASMR: V (absence) Ces spécialités sont des hybrides qui n'apportent pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport à aux présentations déjà inscrites.</p>
Carmustine	Carmustine	<p>dans le traitement des néoplasmes malins suivants en monothérapie ou en combinaison avec d'autres agents antinéoplasiques et/ou d'autres mesures thérapeutiques (radiothérapie, chirurgie) :</p> <p>Tumeurs cérébrales : glioblastome, médulloblastome, gliomes du tronc cérébral, astrocytome, épendymome et tumeurs cérébrales métastatiques ;</p> <p>Thérapie secondaire dans le traitement du lymphome non hodgkinien et de la maladie de Hodgkin ;</p> <p>Mélanome malin en association avec d'autres médicaments antinéoplasiques ;</p> <p>Comme conditionnement préalable à une greffe autologue de cellules souches hématopoïétiques (CSH) en cas de maladies hématologiques malignes (Lymphome de Hodgkin/lymphome non hodgkinien). »</p>	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20390_CARMUSTINE%20ACCORPHARMA_PIS_INS_AvisDef_CT20390.pdf	<p>Inscription : Primo-inscription. Avis favorable au remboursement</p> <p>ASMR: V (absence) Ces spécialités sont des hybrides qui n'apportent pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport à aux présentations déjà inscrites.</p>

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation
Carmustine	Carmustine	<p>dans le traitement des néoplasmes malins suivants en monothérapie ou en combinaison avec d'autres agents antinéoplasiques et/ou d'autres mesures thérapeutiques (radiothérapie, chirurgie) :</p> <p>Tumeurs cérébrales : glioblastome, médulloblastome, gliomes du tronc cérébral, astrocytome, épendymome et tumeurs cérébrales métastatiques ;</p> <p>Thérapie secondaire dans le traitement du lymphome non hodgkinien et de la maladie de Hodgkin ;</p> <p>Mélanome malin en association avec d'autres médicaments antinéoplasiques ;</p> <p>Comme conditionnement préalable à une greffe autologue de cellules souches hématopoïétiques (CSH) en cas de maladies hématologiques malignes (lymphome de Hodgkin/lymphome non hodgkinien). »</p>	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20390_CARMUSTIN_E%20ACCORDPHAR_MA_PIS_INS_AvisDef_CT20390.pdf	<p>Inscription : Primo-inscription.</p> <p>Avis favorable au remboursement</p> <p>ASMR: V (absence)</p> <p>Ces spécialités sont des hybrides qui n'apportent pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport à aux présentations déjà inscrites.</p>
Cemiplimab	Libtayo	<p>carcinome épidermoïde cutané métastatique ou localement avancé (CECm ou CECl), qui ne sont pas candidats à une chirurgie curative ni à une radiothérapie</p>	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20301_LIBTAYO_PICREEV_AvisDef_CT20301.pdf	<p>Réévaluation à la demande du laboratoire.</p> <p>Avis favorable au remboursement.</p> <p>ASMR: V (mineur)</p> <p>la Commission considère que LIBTAYO (cémiplimab) apporte une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) dans la stratégie thérapeutique actuelle des patients atteints d'un carcinome épidermoïde cutané métastatique ou localement avancé (CECm ou CECl), qui ne sont pas candidats à une chirurgie curative ni à une radiothérapie curative et qui ne sont pas éligibles à une chimiothérapie (en situation d'échec ou de contre-indication à la chimiothérapie).</p>
Chlorhydrate de Picloxydine	Vitabact	<p>Traitement antiseptique des infections superficielles de l'œil et de ses annexes.</p>	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20282_VITABACT_PIS_RAD_AvisDef_CT20282.pdf	<p>Demande de radiation.</p> <p>Avis favorable à la radiation</p>

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation
Chlormadinone acetate	Chlormadinone viatris	<p>lorsque les alternatives thérapeutiques ont échoué ou sont contre-indiquées et dans le respect des recommandations de surveillance par imagerie cérébrale (quel que soit l'âge) dans :</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. les mastodynies sévères associées à une mastopathie, 2. les hémorragies fonctionnelles et ménorragies des fibromes uniquement en situation préopératoire, 3. l'endométriase. » <p>Avis défavorable au remboursement dans :</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. « les troubles gynécologiques liés à une insuffisance en progestérone et notamment ceux observés en période préménopausique (irrégularités menstruelles, syndrome prémenstruel, mastodynie autre que sévère associée à une mastopathie), 2. les ménorragies des fibromes en dehors de situation préopératoire, 3. le cycle artificiel en association avec un estrogène, 4. la dysménorrhée. » 	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20354_CHLORMADINONE_VIATRIS_PIC_REEV_AvisDEF_CT20354.pdf	<p>Réévaluation à la demande de la CT.</p> <p>Avis favorable au remboursement uniquement « lorsque les alternatives thérapeutiques ont échoué ou sont contre-indiquées et dans le respect des recommandations de surveillance par imagerie cérébrale (quel que soit l'âge) dans : les mastodynies sévères associées à une mastopathie, les hémorragies fonctionnelles et ménorragies des fibromes uniquement en situation préopératoire, l'endométriase. »</p> <p>Avis défavorable au remboursement dans : « les troubles gynécologiques liés à une insuffisance en progestérone et notamment ceux observés en période préménopausique (irrégularités menstruelles, syndrome prémenstruel, mastodynie autre que sévère associée à une mastopathie), les ménorragies des fibromes en dehors de situation préopératoire, le cycle artificiel en association avec un estrogène, la dysménorrhée. »</p>
Cicabtagene autoleucel	Carvykti	« le traitement des patients adultes atteints d'un myélome multiple en rechute et réfractaire, ayant reçu au moins 3 traitements antérieurs incluant un agent immunomodulateur, un inhibiteur du protéasome et un anticorps anti-CD38 et dont la maladie a progressé pendant le dernier traitement, uniquement lorsque toutes les options thérapeutiques ont été épuisées, sur l'avis d'une réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP) ».	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2022-06/carvykti_decision_et_avis_ct.pdf	Autorisation d'accès précoce octroyée
Durvalumab/tremelimumab	Imfinzi/tremelimumab astrazeneca	« en association à une chimiothérapie à base de platine, dans le traitement de première ligne des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) métastatique en l'absence de mutation activatrice de l'EGFR ou de ALK. »	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20228_IMFINZI_TREMELIMUMAB_ASTRAZENECA_PIC_INS_EI_AvisDef_CT20228-20227.pdf	<p>Nouvelle indication et Première évaluation.</p> <p>Avis favorable au remboursement .</p> <p>ASMR: IV (mineur)</p> <p>la Commission considère que l'association IMFINZI (durvalumab) et TREMELIMUMAB ASTRAZENECA (trémélimumab) apporte une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) par rapport à la chimiothérapie à base de platine, au même titre que l'association OPDIVO/YERVOY (nivolumab/ipilimumab), dans le traitement de première ligne des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) métastatique en l'absence de mutation activatrice de l'EGFR ou de ALK.</p>

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation
Etranacogene dezaparovec	Hemgenix	Hémophilie B	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20242_HEMGENIX_PIC_INS_AvisDef_CT20242_EPI774.pdf	Primo-inscription. Avis favorable au remboursement ASMR: IV (mineur) la Commission considère que HEMGENIX (etranacogene dezaparovec) apporte une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) par rapport à la prophylaxie par concentrés de facteur IX.
Evinacumab	Evkeeza	Hypercholestérolémie homozygote familiale. le traitement des patients adultes et adolescents âgés de 12 ans et plus atteints d'hypercholestérolémie homozygote familiale, en complément d'un régime alimentaire et d'autres thérapies réduisant le taux de cholestérol des lipoprotéines de basse densité (LDL-c).	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20205_EVKEEZA_PIC_REEV_AvisDef_CT20205.pdf	Réévaluation. Avis favorable au maintien du remboursement. ASMR: IV (mineur) Par conséquent, la Commission de la Transparence considère qu'EVKEEZA (évinacumab) apporte une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) dans la stratégie de prise en charge des patients adultes et des adolescents âgés de 12 ans et plus atteints d'hypercholestérolémie familiale homozygote, en complément d'un régime alimentaire et d'autres thérapies réduisant le taux de cholestérol des LDL-c.
Ivacaftor/tezacaftor /elaxacaftor	Kaftrio/kalydeco	« en association avec KALYDECO (ivacaftor) dans le traitement des patients atteints de mucoviscidose âgés de 6 ans et plus, non porteurs d'une mutation F508del du gène CFTR (cystic fibrosis trans-membrane conductance regulator) et porteurs d'une mutation répondeuse à ivacaftor/tezacaftor/elaxacaftor sur la base de données in vitro disponibles (voir rubrique 5.1 du RCP) ».	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2023-09/kaftrio_ap227_decision_et_avisct.pdf	Autorisation d'accès précoce octroyée
Latanoprost	Latazed	« Réduction de la pression intraoculaire élevée (PIO) chez les patients atteints de glaucome à angle ouvert et d'hypertonie intraoculaire. Réduction de la PIO élevée chez les patients pédiatriques ayant une PIO élevée et souffrant de glaucome pédiatrique. »	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20449_LATAZED_PIS_INS_AvisDef_CT20449.pdf	Inscription : Primo-inscription. Avis favorable au remboursement ASMR: V (absence) 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.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation
Lidocaine/prilocaine	Emlapatch	l'anesthésie topique de la peau saine lors de : 1. l'insertion d'aiguilles, par exemple insertion de cathéters intraveineux ou prélèvements sanguins, 2. procédures chirurgicales superficielles, chez les adultes et dans la population pédiatrique.	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evaluation/CT-20404_EMLAPATCH_PIS_INS_AvisDef_CT20404.pdf	Inscription : Primo-inscription. Avis favorable au remboursement. ASMR: V (absence)
Lisocabtagene maraleucel	Breyanzi	« Traitement des patients adultes atteints d'un lymphome folliculaire de grade 3B (LF3B) et éligibles à une stratégie d'autogreffe de CSH et des patients atteints de LDGCB, LHGCB, LMPGCB ou LF3B et non éligibles à une stratégie d'autogreffe de CSH, réfractaires ou en rechute dans les 12 mois suivant un traitement de première ligne ».	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2023-09/breyanzi_decision_et_avisct_ct-ap243.pdf	Autorisation d'accès précoce octroyée
Mavacamten	Camzyos	traitement des patients adultes atteints de cardiomyopathie hypertrophique obstructive (CMHo) avec des symptômes (stade II-III de la classification NYHA, New York Heart Association) persistants sous traitement de fond de la CMHo	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2023-09/camzyos_ap2_decision_et_avisct_ap251.pdf	Autorisation d'accès précoce octroyée
Nitrazepam	Mogadon	le traitement des troubles sévères du sommeil dans les cas suivants : insomnie occasionnelle, insomnie transitoire.	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evaluation/CT-20350_MOGADON_PIS_INS_AvisDef_CT20350.pdf	Inscription : Primo-inscription. Avis favorable au remboursement. ASMR: V (absence) 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.
Nivolumab	Opdivo	« en association à une chimiothérapie à base de sels de platine dans le traitement néoadjuvant des patients adultes, atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules résecable à haut risque de récurrence, dont les tumeurs expriment PD-L1 au seuil $\geq 1\%$ et dont les tumeurs ne présentent pas de mutation sensibilisante de l'EGFR connue, ni de translocation ALK connue ».	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2023-09/opdivo_decision_et_avisct_ap267.pdf	Autorisation d'accès précoce octroyée

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation
<p>Nomogestrol acetate</p>	<p>Lutenyl</p>	<p>« lorsque les alternatives thérapeutiques ont échoué ou sont contre-indiquées et dans le respect des recommandations de surveillance par imagerie cérébrale (quel que soit l'âge), chez la femme avant la ménopause : les troubles menstruels liés à une sécrétion progestéronique insuffisante ou absente dans : les mastodynies cycliques sévères associées à une mastopathie, les hémorragies génitales fonctionnelles : métrorragies, ménorragies, incluant celles liées aux fibromes uniquement en situation préopératoire.»</p> <p>Avis défavorable au remboursement de LUTENYL 3,75 mg (acétate de nomégestrol) « en association à un estrogène dans le cadre d'un Traitement Hormonal Substitutif (THS), chez des femmes ménopausées et non hystérectomisées. »</p> <p>et de LUTENYL 5 mg (acétate de nomégestrol) :</p> <p>« chez la femme ménopausée pour des cycles artificiels en association avec un estrogène, chez la femme avant la ménopause : les troubles menstruels liés à une sécrétion progestéronique insuffisante ou absente dans : les anomalies de la durée du cycle : oligoménorrhée, polyménorrhée, spanioménorrhée, aménorrhée (après bilan étiologique), les manifestations fonctionnelles précédant ou accompagnant les règles : dysménorrhée essentielle, syndrome prémenstruel, mastodynies cycliques non sévères.»</p>	<p>Avis de la CT</p>	<p>https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-19258_LUTENYL_PIC_REEV_AvisDef_CT19258.pdf</p>	<p>Réévaluation à la demande de la CT.</p>
<p>Ravulizumab</p>	<p>Ultomiris</p>	<p>« Traitement de la maladie du spectre de la neuromyéélite optique chez les patients adultes présentant des anticorps anti-aquaporine 4 (AQP4) et en échec des traitements de fond immunosuppresseurs (rituximab, azathioprine, mycophénolate mofétil). »</p>	<p>Avis de la CT</p>	<p>https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20332_ULTOMIRIS_PIC_EI_AvisDef_CT20332_EPI789.pdf</p>	<p>Extension d'indication. Avis favorable au remboursement</p> <p>ASMR: V (absence) la Commission considère qu'ULTOMIRIS (ravulizumab) n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la stratégie thérapeutique du traitement de la maladie du spectre de la neuromyéélite optique chez les patients adultes présentant des anticorps anti-aquaporine 4 (AQP4) et en échec des traitements de fond immunosuppresseurs (rituximab, azathioprine, mycophénolate mofétil).</p>

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation
Semaglutide	Wegovy	« En complément d'un régime hypocalorique et d'une augmentation de l'activité physique dans le contrôle du poids, notamment pour la perte de poids et le maintien du poids, chez des adultes avec un Indice de Masse Corporelle (IMC) initial \geq 40 kg/m ² (obésité de classe III ou obésité morbide) en présence d'au moins un facteur de comorbidité lié au poids : Hypertension traitée, Dyslipidémie traitée, Maladie cardiovasculaire établie, Syndrome d'apnée du sommeil appareillé, lorsqu'il n'y a pas d'alternative thérapeutique disponible »	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2023-07/wegovy_renouvap_decision_et_avisct_ap224.pdf	Renouvellement de l'autorisation d'accès précoce octroyée
Setmelanotide	Imcivree	« traitement de l'obésité et le contrôle de la faim dus à des variants génétiquement confirmés associés au syndrome de Bardet-Biedl (SBB) chez les adultes et les enfants âgés de 6 ans et plus ».	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2023-09/imcivree_decision_et_avisct_ct-ap245.pdf	Autorisation d'accès précoce renouvelée
Somatropine	Omnitrope	1. chez l'enfant avec retard de croissance (taille actuelle) inférieure ou égale à - 3 DS et taille parentale ajustée < -1 DS, dans l'indication des enfants nés petits pour l'âge gestationnel avec une taille de naissance < -2 DS et n'ayant pas rattrapé leur retard de croissance (vitesse de croissance < 0 DS au cours de la dernière année) à l'âge de 4 ans ou plus, 2. dans le traitement substitutif des adultes présentant un déficit somatotrope sévère.	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evaluation/med/CT-20221_OMNITROPE_PIC_R_EEV_AvisDef_CT20221.pdf	Réévaluation à la demande de la CT. Avis favorable au maintien du remboursement
Sutimlimab	Enjaymo	« traitement de l'anémie hémolytique des patients adultes atteints de la maladie des agglutinines froides (MAF), uniquement chez les patients ayant un taux d'Hb \leq 10 g/dl ».	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evaluation/med/CT-20233_ENJAYMO_PIC_INS_AvisDef_CT20233.pdf	Primo-inscription. Avis favorable au remboursement ASMR: V (absence) Avis favorable au remboursement

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation
Teclistamab	Tecvayli	« en monothérapie, pour le traitement des patients adultes atteints d'un myélome multiple en rechute et réfractaire, ayant reçu au moins trois traitements antérieurs, incluant un agent immuno-modulateur, un inhibiteur du protéasome et un anticorps anti-CD38 et dont la maladie a progressé pendant le dernier traitement, lorsque toutes les options thérapeutiques ont été épuisées (hors thérapies cellulaires), sur l'avis d'une réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP) ».	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2023-09/tecvayli_decision_et_avisct_ct-ap244.pdf	L'autorisation d'accès précoce est renouvelée
Tralokinumab	Adtralza	« le traitement des adolescents à partir de 12 ans atteints de dermatite atopique modérée à sévère qui nécessite un traitement systémique »	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20181_ADTRALZA_DA_adolescent_PIC_EI_AvisDef_CT20181.pdf	Extension d'indication. Avis favorable au remboursement ASMR: III (modéré) la Commission considère qu'ADTRALZA 150 mg (tralokinumab), solution injectable en seringue préremplie, apporte comme DUPIXENT (dupilumab) une amélioration du service médical rendu modérée (ASMR III) dans la stratégie thérapeutique.
Tremelimumab	Tremelimumab astrazeneca	« en association à une chimiothérapie à base de platine, dans le traitement de première ligne des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) métastatique en l'absence de mutation activatrice de l'EGFR ou de ALK. »	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20228_IMFINZI_TREMELIMUMAB_ASTRAZENECA_PIC_INS_EI_AvisDef_CT20228-20227.pdf	Nouvelle indication et Première évaluation. Avis favorable au remboursement. ASMR: IV (MINEUR) la Commission considère que l'association IMFINZI (durvalumab) et TREMELIMUMAB ASTRAZENECA (trémélimumab) apporte une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) par rapport à la chimiothérapie à base de platine, au même titre que l'association OPDIVO/YERVOY (nivolumab/ipilimumab), dans le traitement de première ligne des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) métastatique en l'absence de mutation activatrice de l'EGFR ou de ALK.
Valoctocogene roxaparvovec	Roctavian	Hémophilie A	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20009_ROCTAVIAN_PIC_INS_AvisDef_CT20009_EPI777.pdf	Première évaluation. Avis favorable au remboursement. ASMR: V (absence) la Commission considère que ROCTAVIAN 2 x 1013 génomes du vecteur/mL (valoctocogene roxaparvovec), solution pour perfusion n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V)

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation
Vamorolone	Agamree	est indiqué dans le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne avant la phase de déclin des fonctions motrices chez les patients ambulatoires âgés de 4 à 7 ans »	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2023-09/vamorolone_decision_et_avisct_ct-ap201.pdf	Autorisation d'accès précoce refusée
Zabrutinib	Brukinsa	<p>le traitement des patients adultes atteints d'une leucémie lymphoïde chronique (LLC) non précédemment traités, uniquement :</p> <p>chez les patients ne présentant pas de délétion 17p et/ou de mutation TP53 et inéligibles à un traitement à base de fludarabine à pleine dose ;</p> <p>chez les patients présentant une délétion 17p et/ou une mutation TP53.</p> <p>Avis favorable au remboursement dans le traitement des patients adultes atteints de LLC ayant reçu au moins un traitement antérieur.</p> <p>Avis défavorable au remboursement dans le traitement des patients adultes atteints d'une LLC, non précédemment traités, ne présentant pas de délétion 17p ou de mutation TP53 et éligibles à un traitement à base de fludarabine.</p>	Avis de la CT	https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-20180_BRUKINSA_PIC_1_NS_AvisDef_CT20180.pdf	<p>Extension d'indication. Avis favorable au remboursement</p> <p>ASMR: IV (mineur) Dans la LLC non précédemment traitée : Chez les patients ne présentant pas de délétion 17p ou de mutation TP53 et inéligibles à un traitement à base de fludarabine BRUKINSA (zanubrutinib) apporte, au même titre qu'IMBRUVICA (ibrutinib), une amélioration du service médical rendu (ASMR IV) par rapport au protocole rituximab-bendamustine. Dans la LLC en rechute/réfractaire : BRUKINSA (zanubrutinib) apporte une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) par rapport à ibrutinib dans la stratégie thérapeutique actuelle chez les patients adultes atteints d'une LLC ayant reçu au moins un traitement antérieur.</p> <p>ASMR: V (absence) Dans la LLC non précédemment traitée : Chez les patients présentant la délétion 17p et/ou la mutation TP53 Compte-tenu : des résultats issus d'une cohorte non comparative de patients dans l'étude SEQUOIA ; de l'impossibilité de tirer de conclusion quant à l'apport du zanubrutinib par rapport aux autres alternatives disponibles tant en matière d'efficacité que de tolérance en l'absence de donnée comparative ; la Commission considère que BRUKINSA (zanubrutinib) n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la stratégie thérapeutique actuelle.</p> <p>Sans objet: Dans la LLC non précédemment traitée : Chez les patients ne présentant pas de délétion 17p ou de mutation TP53 et éligibles à un traitement à base de fludarabine</p>

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation	Info on costs
-						

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation	Info on costs
Darolutamide	Nubeqa	Adult men with metastatic hormone-sensitive prostate cancer	Dossier Assessment [A23-21] + Addendum	https://www.iqwig.de/download/a23-81_darolutamid_addendum-zum-projekt-a23-21_v1-0.pdf	Indication of major added benefit	Darolutamid + Docetaxel ± Prednisolon bzw. Prednison + ADTb, Jahres therapie kosten in € 51 832,87– 53 980,52
Esketamine	Spravato	Adults with treatment-resistant major depressive disorder, who have not responded to at least 2 different treatments with antidepressants in the current moderate to severe depressive episode	Dossier Assessment [A23-75], + Addendum	https://www.iqwig.de/download/a23-75_esketamin_addendum-zum-projekt-a23-18_v1-0.pdf	Added benefit not proven	Jahres therapie kosten in €: 6023,60– 26 713,28
Lisocabtagene maraleucl	Breyanzi	Adults with diffuse large B-cell lymphoma, high grade B-cell lymphoma, primary mediastinal large B-cell lymphoma or follicular lymphoma grade 3B, who relapsed within 12 months from completion of, or are refractory to, first-line chemoimmunotherapy	Dossier Assessment [A23-48]	https://www.iqwig.de/download/a23-48_lisocabtagen-maraleucl_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-0.pdf	<ol style="list-style-type: none"> 1. Patients < 65 years who are eligible for high-dose therapy: hint of a non-quantifiable added benefit 2. Patients ≥ 65 years who are eligible for high-dose therapy: added benefit not proven 3. Patients with diffuse large B-cell lymphoma or high grade B-cell lymphoma who are not eligible for high-dose therapy: added benefit not proven 4. Patients with primary mediastinal large B-cell lymphoma or follicular lymphoma grade 3B who are not eligible for high-dose therapy: added benefit not proven 	Jahres therapie kosten in €: 346 324,33
Luspatercept	Reblozyl	Adults with anaemia associated with non-transfusion-dependent beta-thalassaemia	Dossier Assessment [A23-20], + Addendum	https://www.iqwig.de/download/a23-80_luspatercept_addendum-zum-projekt-a23-20_v1-0.pdf	Hint of minor added benefit	Jahres therapie kosten in €: 4 479,62– 85 555,63

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation	Info on costs
Ravulizumab	Ultomiris	Adults with neuromyelitis optica spectrum disorder who are anti-aquaporin 4 antibody-positive	Dossier Assessment [A23-50]	https://www.iqwig.de/download/a23-50_ravulizumab_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-0.pdf	Added benefit not proven	Jahres therapie kosten in €: 361 456,75
Sacubitril/Valsartan	Entresto	Children and adolescents aged 1 year or older with symptomatic chronic heart failure with left ventricular systolic dysfunction	Dossier Assessment [A23-56]	https://www.iqwig.de/download/a23-56_sacubitril-valsartan_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-0.pdf	Added benefit not proven	Jahres therapie kosten in €: 1625,18–3250,36
Secukinumab	Cosentyx	Adult patients with active moderate to severe hidradenitis suppurativa (acne inversa) with an inadequate response to conventional systemic therapy	Dossier Assessment [A23-51]	https://www.iqwig.de/download/a23-51_secukinumab_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-0.pdf	Added benefit not proven	Jahres therapie kosten in €: 17 857,96–38 798,54

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation	Info on costs
Mavacamten	Camzyos	Mavacamten is an option for treating symptomatic obstructive hypertrophic cardiomyopathy in adults who have a New York Heart Association class of 2 to 3. It is recommended only if: • it is an add-on to individually optimised standard care that includes beta-blockers, non-dihydropyridine calcium-channel blockers or disopyramide, unless these are contraindicated	Technology appraisal guidance [TA913]	https://www.nice.org.uk/guidance/ta913/resources/mavacamten-for-treating-symptomatic-obstructive-hypertrophic-cardiomyopathy-pdf-82615485457861	Mavacamten is recommended for the indication reported	Mavacamten has a list price of £1,073.20 per pack of 28 2.5-mg, 5-mg, 10-mg or 15-mg capsules (company submission).
Pembrolizumab	Keytruda	Pembrolizumab is an option for treating tumours with high microsatellite instability (MSI) or mismatch repair (MMR) deficiency in adults with: • advanced or recurrent endometrial cancer that has progressed during or after a platinum-based therapy, who cannot have curative surgery or radiotherapy • unresectable or metastatic gastric, small intestine or biliary cancer that has progressed during or after 1 therapy • colorectal cancer after fluoropyrimidine combination therapy, only if they cannot have nivolumab with ipilimumab. It is only recommended if: • pembrolizumab is stopped at 2 years of uninterrupted treatment, or earlier if the cancer progresses	Technology appraisal guidance [TA914]	https://www.nice.org.uk/guidance/ta914/resources/pembrolizumab-for-previously-treated-endometrial-biliary-colorectal-gastric-or-small-intestine-cancer-with-high-microsatellite-instability-or-mismatch-repair-deficiency-pdf-82615487137477	Pembrolizumab is recommended for the indication reported	
		Pembrolizumab is an option for treating tumours with high microsatellite instability (MSI) or mismatch repair (MMR) deficiency in adults with: • advanced or recurrent endometrial cancer that has progressed during or after a platinum-based therapy, who cannot have curative surgery or radiotherapy • unresectable or metastatic gastric, small intestine or biliary cancer that has progressed during or after 1 therapy • colorectal cancer after	Technology appraisal guidance [TA914]	https://www.nice.org.uk/guidance/ta914/resources/pembrolizumab-for-previously-treated-endometrial-biliary-colorectal-gastric-or-small-intestine-cancer-with-high-microsatellite-instability-or-mismatch-repair-deficiency-pdf-82615487137477		

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation	Info on costs
Semaglutide	Ozempic	<p>For weight management, including weight loss and weight maintenance, alongside a reduced-calorie diet and increased physical activity in adults, only if:</p> <ul style="list-style-type: none"> • it is used for a maximum of 2 years, and within a specialist weight management service providing multidisciplinary management of overweight or obesity (including but not limited to tiers 3 and 4), and • they have at least 1 weight-related comorbidity and: <ul style="list-style-type: none"> – a body mass index (BMI) of at least 35.0 kg/m², or – a BMI of 30.0 kg/m² to 34.9 kg/m² and meet the criteria for referral to specialist weight management services in NICE's guideline on obesity: identification, assessment and management. 	Technology appraisal guidance [TA875]	https://www.nice.org.uk/guidance/ta875/resources/semaglutide-for-managing-overweight-and-obesity-pdf-82613674831813	Semaglutide is recommended for the indication reported	<p>The list price of semaglutide (Wegovy) 2.4 mg is £175.80 per pack, of 1.7 mg is £124.53 per pack, and of 0.25 mg, 0.5 mg and 1.0 mg is £73.25 per pack (excluding VAT; company communication). Each pack contains 1 pen that delivers 4 doses.</p>

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation	Info on costs
Eladocagene exuparvovec	Upstaza	Eladocagene exuparvovec is indicated for the treatment of patients aged 18 months and older with a clinical, molecular, and genetically confirmed diagnosis of aromatic L-amino acid decarboxylase (AADC) deficiency with a severe phenotype.	Medicine Advice	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7822/umar-eladocagene-exuparvovec-upstaza-final-august-2023-for-website.pdf	The Scottish Medicines Consortium (SMC) has completed its initial assessment of the evidence for the above product using the ultra-orphan framework.	
Daratumumab	Darzalex	Daratumumab is indicated in combination with lenalidomide and dexamethasone for the treatment of adult patients with newly diagnosed multiple myeloma who are ineligible for autologous stem cell transplant (ASCT).	Medicine Advice	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7817/daratumumab-darzalex-final-august-2023-for-website.pdf	following a full submission assessed under the orphan medicine process: daratumumab (Darzalex®) is accepted for use within NHSScotland.	In combination with lenalidomide and dexamethasone: SC = 1,800mg IV = 16mg/kg Given weekly in weeks 1 to 8, given every 2 weeks in weeks 9 to 24, then given every 4 weeks from week 25 onwards (until disease progression). Cost per course (£): Weeks 1 to 8 (total of eight doses): £34,560 Weeks 9 to 24 (total of eight doses): £34,560 Week 25 onwards: £4,320 every 4 weeks
Ibrutinib	Imbruvica	Ibrutinib is indicated in combination with venetoclax for the treatment of adult patients with previously untreated chronic lymphocytic leukaemia (CLL).	Medicine Advice	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7818/ibrutinib-imbruvica-final-august-2023-for-website.pdf	following a full submission assessed under the orphan equivalent medicine process: ibrutinib (Imbruvica®) is accepted for use within NHSScotland.	Ibrutinib plus venetoclax Cost per course (£): 145,448
Mosunetuzumab	Lunsumio	Mosunetuzumab is indicated as monotherapy for the treatment of adult patients with relapsed or refractory follicular lymphoma (FL) who have received at least two prior systemic therapies.	Medicine Advice	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7819/mosunetuzumab-lunsumio-final-august-2023-for-website.pdf	following a full submission assessed under orphan medicine process: mosunetuzumab (Lunsumio®) is not recommended for use within NHSScotland.	Administered via intravenous infusion Cycle 1: 1mg on day 1, 2mg on day 8 and 60mg on day 15 Cycle 2: 60mg on day 1 Cycle 3 onwards: 30mg on day 1 Cost per course (£): Initial 8 cycles 66,660 Each additional cycle 6,600.

Generic name	Brand name	Indication	Type of document	Link	Recommendation	Info on costs
Nivolumab	Opdivo	Nivolumab is indicated in combination with ipilimumab for the first-line treatment of adult patients with unresectable advanced, recurrent or metastatic oesophageal squamous cell carcinoma with tumour cell programmed death ligand (PD-L1) expression \geq 1%	Medicine Advice	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7820/nivolumab-opdivo-non-sub-final-august-2023-for-website.pdf	in the absence of a submission from the holder of the marketing authorisation:nivolumab (Opdivo®) is not recommended for use within NHSScotland.	
Olipudase alfa	Xenpozyme	Olipudase alfa is indicated as an enzyme replacement therapy for the treatment of non-Central Nervous System (CNS) manifestations of Acid Sphingomyelinase Deficiency (ASMD) in paediatric and adult patients with type A/B or type B.	Medicine Advice	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7823/umar-olipudase-alfa-xenpozyme-final-may-2023-amended-110723-for-website.pdf	The Scottish Medicines Consortium (SMC) has completed its initial assessment of the evidence for the above product using the ultra-orphan framework.	
Rimegepant	Vydura	Rimegepant is indicated for the preventive treatment of episodic migraine in adults who have at least four migraine attacks per month.	Medicine Advice	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7821/rimegepant-vydura-resub-final-august-2023-for-website.pdf	Following a resubmission: rimegepant (Vydura®) is accepted for restricted use within NHSScotland.	Cost per year (£): 75MG ONCE EVERY other day --> 2,348
Vutrisiran	Amvuttra	Vutrisiran is indicated for the treatment of hereditary transthyretin-mediated amyloidosis (hATTR amyloidosis) in adult patients with stage 1 or stage 2 polyneuropathy.	Medicine Advice	https://www.scottishmedicines.org.uk/media/7824/vutrisiran-amvuttra-abb-final-aug-2023-for-website-amended-2508.pdf	Following an abbreviated submission: vutrisiran (Amvuttra®) is accepted for use within NSHScotland.	