



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

SYNTHÈSE D'AVIS

19 FEVRIER 2020

volanesorsen
WAYLIVRA 285 mg, solution injectable en seringue préremplie

Première évaluation

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement uniquement chez les patients ayant un syndrome d'hyperchylomicronémie familial (SHCF) génétiquement confirmé, chez qui la réponse au régime alimentaire et au traitement visant à réduire les triglycérides a été insuffisante, et avec un antécédent de pancréatite.

► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique mais de faible ampleur dans la prise en charge actuelle du SHCF.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

Le traitement du syndrome d'hyperchylomicronémie familial repose actuellement sur un régime pauvre en graisses avec 15 à 20 g de graisse par jour, à vie. L'objectif de ce régime est de maintenir le taux de triglycérides < 1000 mg/dL notamment pour limiter le risque de survenue des pancréatites aiguës. Les fibrates et omega-3 utilisés dans d'autres dyslipidémies ont une efficacité marginale chez les patients ayant un syndrome d'hyperchylomicronémie familial.

Place du médicament

WAYLIVRA est un traitement de première intention chez les patients ayant un syndrome d'hyperchylomicronémie familial génétiquement confirmé, et avec un antécédent de pancréatite aiguë.

Chez les patients sans antécédent de pancréatite aiguë, WAYLIVRA n'a pas de place dans la stratégie thérapeutique.

► Recommandations particulières

La décision d'instauration de traitement par WAYLIVRA devra être prise lors de réunions de concertation pluridisciplinaires au sein des centres de référence des maladies rares du pancréas (PaRaDis) ou à défaut au sein d'une réunion de concertation pluridisciplinaire émanant de la NSFA (Nouvelle Société Française d'Athérosclérose) et ce compte tenu de la population spécifique susceptible de bénéficier de ce traitement au regard des données d'efficacité et du profil de tolérance, notamment concernant le risque de thrombopénie (le traitement s'accompagne d'une surveillance régulière de la numération plaquettaire).

Ce document a été élaboré à partir de l'avis de la Commission de la transparence disponible sur www.has-sante.fr