



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ
COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

Mercredi 20 mars 2019

Seul l'avis de la CT fait foi - Occupations sous la responsabilité du laboratoire

AVERTISSEMENT

En application des articles L. 1451-1-1 et R. 1451-6 du Code de la santé publique, la HAS réalise un enregistrement des séances de la commission de la transparence (CT), de la Commission d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDIMTS) et de la Commission évaluation économique et santé publique (CEESP). Pour en faciliter la communication et la compréhension, la HAS a fait le choix de recourir à une transcription des débats par l'intermédiaire d'une société prestataire

Cette prestation associe une saisie directe des débats par sténotypie et une transcription assistée par ordinateur ainsi qu'une relecture médicale. L'objet de cette transcription est de permettre de tracer le déroulé des débats dans un souci de transparence et non de fournir une information scientifique validée. En effet, malgré le professionnalisme de cette prestation, il peut persister dans le texte final des incongruités ou des inexactitudes liées à l'usage d'un vocabulaire hautement spécialisé ou à la nature même des échanges verbaux. La HAS n'effectue aucune validation de ces documents.

La HAS rappelle que les seuls documents validés et opposables sont le procès-verbal de la séance et l'avis définitif de la Commission qui sont mis en ligne sur le site de la HAS.

Pour la publication des transcriptions, et dans un but de protection du secret industriel et commercial, certains mots peuvent avoir été occultés. Les occultations éventuelles sont de la responsabilité de l'entreprise exploitant le produit évalué.

Toute reprise d'un ou plusieurs extraits d'une transcription doit être accompagnée d'une mention en précisant la source et respecter la législation sur la publicité.

Les membres des commissions s'expriment à titre personnel dans le cadre de leur mission d'expertise. Les agents de la HAS (chefs de service, adjoints, chefs de projet) représentent l'institution et s'expriment en son nom.

La HAS rappelle que la connaissance des propos tenus en séance par les membres des commissions et les agents de la HAS ne peut en aucun cas justifier des contacts directs de quelque nature que ce soit avec ces personnes, lesquelles sont tenues à une obligation de confidentialité conformément à l'article R. 161-85 du Code de la sécurité sociale.

1. ONPATTRO – Autre passage

M^{me} TRANCHE, pour la HAS.- M. Daubert peut entrer. M. Lengliné reste à l'extérieur.

M^{me} GRANDE, pour la HAS.- Suite à l'audition du 27 février 2019, on vous propose l'adoption de ce projet d'avis. On est dans l'amylose héréditaire à transthyrétine. Nous vous soumettons pour adoption avec SMR important et une ASMR de niveau III dans la stratégie thérapeutique de l'amylose héréditaire à transthyrétine chez les patients adultes ayant une polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2 prenant en compte cinq points : la démonstration dans une étude de phase III de la supériorité du patisiran par rapport au placebo chez des patients ayant une amylose héréditaire à transthyrétine avec polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2 ; avec une quantité d'effet supplémentaire par rapport au placebo démontrée sur la variation du score mNIS+7, critère de jugement principal portant sur l'invalidité de la neuropathie, avec une amélioration de ce score pour 56 % des patients dans le groupe patisiran contre 4 % dans le groupe placebo, ce qui est considéré comme cliniquement pertinent ; l'impact favorable du patisiran démontré sur la qualité de vie via l'auto-questionnaire NORFOLK-QoL-DN, utilisé comme critère de jugement secondaire hiérarchisé ; le profil de tolérance considéré comme acceptable à court terme ; le besoin médical très partiellement couvert dans la polyneuropathie de stade 1 et non couvert dans la polyneuropathie de stade 2.

Vous considérez qu'ONPATTRO est susceptible d'avoir un impact sur la santé publique.

Sur la stratégie, compte tenu de l'efficacité démontrée sur une échelle d'invalidité de la polyneuropathie avec stabilisation ou amélioration de celle-ci à 18 mois, de l'efficacité démontrée sur la qualité de vie et du profil de tolérance acceptable à 18 mois, marqué essentiellement par la survenue de réactions au site de perfusion, vous considérez que c'est un traitement de première intention dans le traitement de l'amylose héréditaire à transthyrétine, chez les patients adultes ayant une polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2.

Vous regrettez néanmoins l'absence de donnée robuste étayant l'efficacité d'ONPATTRO sur l'amélioration de la fonction cardiaque et sur une réduction de la morbi-mortalité, alors que ces critères de jugement sont pertinents dans cette maladie dont l'espérance de vie est fortement diminuée.

Par ailleurs, vous précisez que les données d'efficacité et de tolérance ont été obtenues à court terme (18 mois) et qu'il persiste donc une incertitude sur l'efficacité et la tolérance d'ONPATTRO à moyen et long terme. Vous estimez que des études de suivi, en cours, demandées par l'AMM, pourront permettre de mieux appréhender le profil de tolérance et d'efficacité d'ONPATTRO.

Enfin, dans les recommandations, vous souhaitez être tenus informés des résultats des études de suivi demandées dans le cadre de l'AMM.

Avez-vous des remarques ?

(Réponse négative)

M. LE PRÉSIDENT.- Nous votons séparément de TEGSEDI (avec les modifications motivées par la modification de l'ASMR). Pour ONPATTRO, êtes-vous d'accord pour adopter l'avis tel qu'il vient d'être dit ?

(Il est procédé au vote.)

Adopté à l'unanimité.

Seul l'avis de la CT fait foi - Occultations sous la responsabilité du laboratoire