

VYND AQEL^{MC}

Cardiomyopathie causée par une amyloïdose à transthyrétine

Avis transmis au ministre en février 2022

Marque de commerce : Vyndaqel

Dénomination commune : Tafamidisméglumine

Fabricant : Pfizer

Forme : Capsule

Teneur : 20 mg

Modification d'une indication reconnue

RECOMMANDATION

En tenant compte de l'ensemble des aspects prévus par la loi, l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS) recommande au ministre de modifier l'indication reconnue pour le paiement de Vyndaqel^{MC} pour le traitement des adultes atteints d'une cardiomyopathie causée par une amyloïdose à transthyrétine (ATTR-CM). L'indication reconnue deviendrait la suivante.

Indication reconnue pour le paiement

- ◆ pour le traitement des adultes atteints d'une cardiomyopathie causée par une amyloïdose à transthyrétine (ATTR-CM).

À l'instauration du traitement, la personne :

- **doit avoir une confirmation de l'absence d'amyloïdose à chaînes légères ;**
et
- doit avoir un diagnostic confirmé par :
 - ~~une confirmation d'ATTR-CM par scintigraphie osseuse ou par biopsie cardiaque;~~
ou
 - ~~une test confirmation~~ **une confirmation génétique de l'ATTR-CM;****et**
- doit présenter des antécédents médicaux d'insuffisance cardiaque incluant une hospitalisation antérieure ou des manifestations cliniques qui ont nécessité un traitement avec un diurétique;
et
- ne doit pas être atteinte d'insuffisance cardiaque de classe IV de la New York Heart Association (NYHA).

Les autorisations sont données à raison d'une dose maximale de 80 mg de tafamidis **méglumine**, une fois par jour.

Notez que les informations caviardées sont des renseignements fournis par le fabricant, ou encore obtenus par l'INESSS, et jugés confidentiels. Conséquemment, nous ne pouvons les publier en raison des restrictions prévues par la Loi sur l'accès aux documents des organismes publics et sur la protection des renseignements personnels (RLRQ, chapitre A-2.1).

La durée maximale de chaque autorisation est de 6 mois.

Lors des demandes pour la poursuite du traitement, le médecin doit confirmer que la cardiomyopathie de son patient ne correspond pas à la classe IV de la NYHA. Le renouvellement ne sera pas autorisé en présence d'une cardiomyopathie de classe IV de la NYHA.

Il est à noter que le tafamidis **et le tafamidis méglumine** ne sont pas autorisés en combinaison avec un autre médicament modificateur de la maladie utilisé dans le traitement de l'amyloïdose à transthyrétine.

Évaluation

DESCRIPTION DU MÉDICAMENT

Le tafamidis méglumine est un stabilisateur spécifique de la transthyrétine (TTR). Il se fixe avec une forte affinité aux sites de liaison à la thyroxine de la protéine TTR. Il stabilise les tétramères de TTR et ralentit la dissociation en monomères de cette protéine, étape cinétiquement limitante dans le processus pathologique de l'ATTR-CM. Le tafamidis méglumine, administré par voie orale, est indiqué pour « le traitement des adultes atteints d'une cardiomyopathie causée par une amyloïdose à transthyrétine (ATTR-CM), sénile ou héréditaire, afin de réduire la mortalité cardiovasculaire et les hospitalisations liées aux manifestations cardiovasculaires ». Il est inscrit sur les listes pour le traitement de l'ATTR-CM, à certaines conditions.

CONTEXTE DE L'ÉVALUATION

La présente réévaluation est réalisée à l'initiative de l'INESSS, à la suite de la réception d'une lettre de cliniciens œuvrant dans le domaine de la cardiologie. L'objectif des présents travaux est de clarifier l'indication reconnue.

VALEUR THÉRAPEUTIQUE

La valeur thérapeutique du tafamidis méglumine a déjà été reconnue par l'INESSS ([INESSS 2020](#)). La clarification de l'indication reconnue vise à éviter la confusion parmi les prescripteurs, notamment concernant les critères d'instauration du traitement. En ce sens, la précision du sel de tafamidis méglumine ainsi que l'ajout d'une confirmation d'absence d'amyloïdose à chaînes légères ont été ajoutés à l'indication reconnue.

JUSTESSE DU PRIX ET RAPPORT ENTRE LE COÛT ET L'EFFICACITÉ

Du point de vue pharmacoéconomique, les changements proposés à l'indication reconnue de ce produit n'entraînent pas de modification des conclusions de l'analyse réalisée antérieurement.

Notez que les informations caviardées sont des renseignements fournis par le fabricant, ou encore obtenus par l'INESSS, et jugés confidentiels. Conséquemment, nous ne pouvons les publier en raison des restrictions prévues par la Loi sur l'accès aux documents des organismes publics et sur la protection des renseignements personnels (RLRQ, chapitre A-2.1).

CONSÉQUENCES SUR LA SANTÉ DE LA POPULATION ET SUR LES AUTRES COMPOSANTES DU SYSTÈME DE SANTÉ ET DE SERVICES SOCIAUX ET CONSIDÉRATIONS PARTICULIÈRES (ÉCONOMIE DE LA SANTÉ, OBJET DU RÉGIME GÉNÉRAL, CONSIDÉRATIONS ÉTHIQUES)

En ce qui concerne l'impact budgétaire net, selon l'INESSS, la modification recommandée à l'indication reconnue n'aurait pas d'impact financier sur les budgets de la RAMQ et des établissements.

CONCLUSION SUR L'ENSEMBLE DES CRITÈRES PRÉVUS PAR LA LOI

Il est recommandé au ministre de modifier l'indication reconnue de Vyndaqel^{MC} pour le traitement des adultes atteints d'ATTR-CM. Cet avis repose sur les éléments suivants :

- La clarification de l'indication reconnue précise les exigences d'instauration du traitement.
- La modification de cette indication n'entraîne pas de modification aux conclusions de l'évaluation pharmacoéconomique antérieure et n'engendrerait pas d'impact budgétaire différentiel.

INFORMATION COMPLÉMENTAIRE À LA RECOMMANDATION

Onpattro^{MC} (patisiran)

- Comme le tafamidis méglumine a été inscrit sur les listes en mars 2021, dans un souci de cohérence, l'INESSS recommande au ministre de modifier l'indication reconnue de Onpattro^{MC} proposée antérieurement ([INESSS 2019 \[Onpattro^{MC}\]](#)) pour la suivante :

- ◆ pour le traitement de la polyneuropathie chez les adultes atteints d'amylose héréditaire de la transthyrétine (ATTRh).

À l'instauration du traitement, la personne :

- doit avoir reçu une confirmation génétique de l'ATTRh;
et
- doit présenter un score au *Neuropathy Impairment Score* (NIS) de 5 à 130 points;
et
- doit avoir une condition ambulatoire qui correspond au stade 1 ou 2 sur l'échelle *Functionnal Ambulation Performance* (FAP) ou au stade 1, 2, 3a ou 3b sur l'échelle d'invalidité liée à la polyneuropathie (PND);
et
- ne doit pas avoir une cardiomyopathie qui correspond à la classe III ou IV de la New York Heart Association (NYHA).

Les autorisations sont données à raison d'une dose maximale de 0,3 mg/kg de patisiran une fois toutes les 3 semaines, jusqu'à une dose maximale de 30 mg.

La durée maximale de chaque autorisation est de 6 mois.

Dans les demandes de poursuite du traitement, le médecin doit confirmer que son patient n'a pas atteint le stade 3 à l'échelle FAP ou le stade 4 à l'échelle PND. Le renouvellement ne sera pas autorisé en présence d'une maladie au stade FAP 3 ou PND 4.

Notez que les informations caviardées sont des renseignements fournis par le fabricant, ou encore obtenus par l'INESSS, et jugés confidentiels. Conséquemment, nous ne pouvons les publier en raison des restrictions prévues par la Loi sur l'accès aux documents des organismes publics et sur la protection des renseignements personnels (RLRQ, chapitre A-2.1).

Il est à noter que le patisiran n'est pas autorisé en combinaison avec un autre médicament modificateur de la maladie utilisé dans le traitement de l'amyloïdose à transthyrétine.

Tegsedi^{MC} (inotersen)

- Comme le tafamidis méglumine a été inscrit sur les listes en mars 2021, dans un souci de cohérence, l'INESSS recommande au ministre de modifier l'indication reconnue de Tegsedi^{MC} proposée antérieurement ([INESSS 2019 \[Tegsedi^{MC}\]](#)) pour la suivante :
 - ◆ pour le traitement de la polyneuropathie chez les adultes atteints d'amylose héréditaire de la transthyrétine (ATTRh).

À l'instauration du traitement, la personne :

- doit avoir reçu une confirmation génétique de l'ATTRh;
et
- doit présenter un score au *Neuropathy Impairment Score* (NIS) de 5 à 130 points;
et
- doit avoir une condition ambulatoire qui correspond au stade 1 ou 2 sur l'échelle *Functionnal Ambulation Performance* (FAP) ou au stade 1, 2, 3a ou 3b sur l'échelle d'invalidité liée à la polyneuropathie (PND);
et
- ne doit pas avoir une cardiomyopathie qui correspond à la classe III ou IV de la New York Heart Association (NYHA).

Les autorisations sont données à raison d'une dose maximale de 284 mg d'inotersen par injection hebdomadaire.

La durée maximale de chaque autorisation est de 6 mois.

Dans les demandes de poursuite du traitement, le médecin doit confirmer que son patient n'a pas atteint le stade 3 à l'échelle FAP ou le stade 4 à l'échelle PND. Le renouvellement ne sera pas autorisé en présence d'une maladie au stade FAP 3 ou PND 4.

Il est à noter que l'inotersen n'est pas autorisé en combinaison avec un autre médicament modificateur de la maladie utilisé dans le traitement de l'amyloïdose à transthyrétine.

PRINCIPALES RÉFÉRENCES UTILISÉES

- **Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS).** Onpattro^{MC} - Patisiran pour le traitement de la polyneuropathie associée à l'amylose héréditaire de la transthyrétine (ATTRh). Québec, Qc :INESSS;août 2019. Disponible à :
https://www.inesss.qc.ca/fileadmin/doc/INESSS/Inscription_medicaments/Avis_au_ministre/Septembre_2019/Onpattro_2019_08.pdf

Notez que les informations caviardées sont des renseignements fournis par le fabricant, ou encore obtenus par l'INESSS, et jugés confidentiels. Conséquemment, nous ne pouvons les publier en raison des restrictions prévues par la Loi sur l'accès aux documents des organismes publics et sur la protection des renseignements personnels (RLRQ, chapitre A-2.1).

- **Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS).** Tegsedi^{MC} - Inotersen pour le traitement de la polyneuropathie associée à l'amylose héréditaire de la transthyrétine (ATTRh). Québec, Qc :INESSS;août 2019. Disponible à :
https://www.inesss.qc.ca/fileadmin/doc/INESSS/Inscription_medicaments/Avis_au_ministre/Septembre_2019/Tegsedi_2019_08.pdf
- **Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS).** Vyndaqel^{MC} - Tafamidis pour le traitement de la cardiomyopathie causée par une amyloïdose à transthyrétine. Québec, Qc :INESSS;2020. Disponible à :
https://www.inesss.qc.ca/fileadmin/doc/INESSS/Inscription_medicaments/Avis_au_ministre/Avril_2020/Vyndaqel_2020_03.pdf

Note : D'autres données, publiées ou non publiées, soumises par le fabricant ou répertoriées par l'INESSS, ont été considérées. Dans un souci de concision, seules les plus pertinentes sont présentées.

Notez que les informations caviardées sont des renseignements fournis par le fabricant, ou encore obtenus par l'INESSS, et jugés confidentiels. Conséquemment, nous ne pouvons les publier en raison des restrictions prévues par la Loi sur l'accès aux documents des organismes publics et sur la protection des renseignements personnels (RLRQ, chapitre A-2.1).