

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

Avis

14 décembre 2016

*nitisinone***ORFADIN 20 mg, gélule**

Flacon de 60 gélules (CIP : 34009 300 325 7 2)

ORFADIN 4mg/ml, suspension buvable

Flacon de 90 ml (CIP : 34009 300 339 1 3)

Laboratoire SWEDISH ORPHAN BIOVITRUM

Code ATC	A16AX04 (nitisinone)
Motif de l'examen	Inscription
Liste concernée	Collectivités (CSP L.5123-2)
Indications concernées	« Traitement de patients adultes et pédiatriques (quel que soit l'âge) avec diagnostic confirmé de tyrosinémie héréditaire de type 1 (HT-1), en association avec un régime alimentaire à faible teneur en tyrosine et en phénylalanine. »

01 INFORMATIONS ADMINISTRATIVES ET REGLEMENTAIRES

AMM	Dates initiales (procédures centralisées) : - ORFADIN 20 mg, gélule : 5 mai 2015 - ORFADIN 4 mg/ml, suspension buvable : 19 juin 2015 L'AMM est associée à un PGR avec la réalisation de deux études : une étude non interventionnelle PASS (tolérance à long terme) et une étude évaluant les paramètres (pharmacocinétique et tolérance) d'une administration en une prise par jour
Conditions de prescription et de délivrance / statut particulier	Liste I Médicament orphelin en décembre 2000 puis retiré du registre communautaire des médicaments orphelins en 2015 Médicament soumis à prescription hospitalière

02 CONTEXTE

Il s'agit d'une demande d'inscription des spécialités ORFADIN 20 mg, gélule et ORFADIN 4 mg/ml, suspension buvable, aux seules collectivités en complément des spécialités ORFADIN 2, 5 et 10 mg gélules déjà inscrites.

L'AMM des nouvelles présentations ORFADIN 20 mg et ORFADIN 4 mg/ml a été obtenue sur la base de deux études ayant démontré la bioéquivalence avec les anciennes présentations.

La forme suspension buvable est plus adaptée pour les patients pédiatriques ayant des difficultés à avaler les gélules (cf. section 4.2 du RCP).

Dans son avis précédent, la Commission a considéré que le service médical rendu des spécialités ORFADIN 2, 5 et 10 mg était important et qu'elles apportaient, en association à un régime alimentaire à faible teneur en tyrosine et en phénylalanine, une amélioration du service médical rendu importante (ASMR de niveau II) par rapport au seul régime alimentaire, dans le traitement de patients ayant une tyrosinémie héréditaire de type 1 (HT-1).

03 CONCLUSIONS DE LA COMMISSION

Considérant l'ensemble de ces données et informations et après débat et vote, la Commission estime :

03.1 Service Médical Rendu

La Commission considère que le service médical rendu par ORFADIN 20 mg et ORFADIN 4mg/ml est important dans l'indication de l'AMM.

La Commission donne un avis favorable à l'inscription sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités dans l'indication et aux posologies de l'AMM.

03.2 Amélioration du Service Médical Rendu

Ces spécialités sont des compléments de gamme qui n'apportent pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport aux présentations déjà inscrites.