

Traitements de la NAH-TTR

Dénomination Commune Internationale (DCI)	Tafamidis 20 mg ²	Patisiran ³	Inotersen ⁴
Nom commercial*	VYNDAQEL®	ONPATTRO®	TEGSEDI®
Mode d'action	Stabilisateur du tétramère de la transthyréline	ARN interférent Blocage spécifique dans le cytoplasme des hépatocytes de la synthèse de la transthyréline	Oligonudéotide antisens Blocage non spécifique dans le noyau de la synthèse de la transthyréline
Indication AMM (autorisation de mise sur le marché)	Le tafamidis est indiqué dans le traitement de la NAH-TTR chez les patients adultes présentant une polyneuropathie symptomatique de stade 1 pour retarder le déficit neurologique périphérique.	ONPATTRO est indiqué dans le traitement de l'amylose héréditaire à transthyréline chez les patients adultes avec une polyneuropathie de stade 1 (marche autonome) ou de stade 2 (marche avec aide).	TEGSEDI est indiqué dans le traitement de la polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2 chez les patients adultes atteints d'amylose à transthyréline héréditaire.
Service médical rendu (SMR)	Important	Important	Important
Amélioration du service médical rendu (ASMR)	Mineure IV	Modérée III	Mineure IV
Intérêt de santé publique (ISP)	Non	Oui	Non
Place dans la stratégie thérapeutique	Avis de la Haute Autorité de la Santé (HAS) VYNDAQEL Octobre 2019 VYNDAQEL (tafamidis) reste une option thérapeutique dans la polyneuropathie de stade 1 dans l'hATTR	Avis HAS ONPATTRO Mars 2019 Patisiran est un traitement de première intention dans le traitement de l'amylose héréditaire à transthyréline chez les patients adultes avec une polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2.	Avis HAS TEGSEDI Mars 2019 Inotersen est un traitement de deuxième intention, chez les patients qui ne peuvent bénéficier d'ONPATTRO, dans le traitement de l'amylose héréditaire à transthyréline, chez les patients adultes avec une polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2.