
Modèle de résumé de rapport de synthèse

Autorisation d'accès compassionnel [Nom du médicament - DCI]

Rapport n° [...] Période du [...] au [...]

1- Introduction

L'ANSM (Agence Nationale de Sécurité du Médicament) délivre des autorisations d'accès compassionnel (AAC) pour le médicament [nom du médicament, DCI, forme et dosage] dans les situations suivantes : Insérer critères d'octroi .

La mise à disposition du médicament dans le cadre des autorisations d'accès compassionnel a démarré le XX/XX/XXXX.

Au début de la période couverte par ce rapport de synthèse, ce médicament ne dispose pas encore d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) en France.

2- Données recueillies

Toutes les données ci-dessous doivent être présentées de manière cumulative sur la période totale de mise à disposition en AAC (du 1er patient inclus jusqu'à ce rapport). Les données de pharmacovigilance doivent également être systématiquement présentées pour la période concernée par le rapport. Les caractéristiques générales et les données d'efficacité pour la période concernée peuvent être présentés, mais ne sont pas obligatoires si non pertinentes (ex : si très peu de nouvelles inclusions, pas de changement notable sur la période en termes d'efficacité). Le texte ci-dessous mentionne les variables à détailler pour la rédaction de ce résumé. Les résultats devront également être présentés sous forme de tableau deux colonnes (période couverte par le rapport de synthèse et période cumulée). Pour certaines données (exemple : évolution de l'inclusion des patients, répartition de patients) les graphiques sont encouragés.

a. Caractéristiques générales des patients / prescripteurs

Suivi des patients

- Nombre de patients pour lesquels une demande d'AAC a été octroyée et une fiche d'initiation transmise.

- Nombre de patients exposés pour lesquels les données ont été recueillies (indiquer le pourcentage de données manquantes par variable).
- Durée de suivi médiane sous traitement en précisant le motif des arrêts/interruptions/modifications de traitements.

Caractéristiques générales des patients

- Age (moyenne, médiane, min, max), préciser le nombre de patients pédiatriques si applicable.
- Sexe (proportion femmes/hommes).
- Poids (moyenne, médiane, min, max).

Caractéristiques de la maladie

Faire apparaître les principales caractéristiques de la maladie des patients inclus (diagnostic, stade de la maladie, symptômes cliniques, antécédents médicaux, variables biologiques) au regard des critères d'octroi en l'AAC, et des données recueillies dans le protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP).

Caractéristiques des prescripteurs

Indiquer le nombre de prescripteurs, leurs spécialités, zones géographiques et types d'établissement.

Pour les données d'utilisation du médicament et d'efficacité, le dénominateur à utiliser pour le calcul des pourcentages est le nombre de patients exposés au médicament concerné par l'accès compassionnel.

b. Conditions d'utilisation du médicament

Décrire les conditions d'utilisation du médicament dans le cadre de l'AAC selon les données recueillies dans le PUT-SP avec à minima les informations suivantes : posologies, co-prescriptions, durée médiane de traitement, modifications de posologie, critères d'arrêt et de reprise de traitement. Une présentation avec un tableau est encouragée.

c. Données d'efficacité

Pour chaque variable d'efficacité mentionnée dans le PUT-SP, rapporter le pourcentage de données manquantes, les durées médianes de suivis, les valeurs et les variations par rapport à l'inclusion. Rapporter les intervalles de confiance à 95% si pertinent.

Pour les données de mortalité, le cas échéant, présenter les médianes de survie globale depuis l'initiation du traitement (si atteinte) et les taux de survie. Indiquer le nombre de décès et les raisons (y compris les liens éventuels avec le traitement). Rapporter ces données sur la période et en cumulé sous forme de tableau incluant le numéro de patient, âge, sexe, cause du décès, chronologie avec le traitement, lien de causalité, et le cas échéant préciser le numéro de cas de pharmacovigilance associé.

d. Données nationales de pharmacovigilance

Cette section devra contenir les informations suivantes sur la période du rapport et en cumulé :

- nombre de patients ayant présenté au moins un effet indésirable (en distinguant total, graves et non graves) ;
- nombre total d'effets indésirables rapportés et nombre d'effets indésirables attendus (*si le document de référence fourni le permet*) (en distinguant total, graves et non graves), préciser les PT des effets inattendus (*si le document de référence fourni le permet*) (en distinguant graves et non graves);
- nombre d'effets indésirables d'issue fatale ou avec mise en jeu du pronostic vital;
- nombre d'effets indésirables ayant conduit à une modification/interruption/arrêt de traitement ; préciser les EI ayant conduit à un arrêt définitif du traitement;
- préciser si un signal de sécurité a été nouvellement identifié ou réévalué dans le cadre de l'AAC durant la période considérée ; et, le cas échéant, préciser la nature du signal, la conclusion de l'évaluation de ce signal (signal potentiel/confirmé/non confirmé) et les mesures de réduction de risque/actions de surveillance prises (modification du RCP, du PUT-SP, surveillance/suivi particulier de ce type d'effet indésirable, communication aux professionnels de santé) ;
- préciser si d'autres actions ont été mises en œuvre suite à l'évaluation des données de sécurité disponibles par ailleurs ;
- Nombre de situations particulières rapportés avec ou sans EI

3- Conclusion

Faire une discussion générale sur la population exposée, sur les conditions d'utilisation, sur l'efficacité, ainsi que sur la sécurité d'emploi observée. Discuter et justifier les éventuelles données manquantes.

Faire une évaluation comparative par rapport à la période précédente, et mettre en évidence toute nouvelle information de sécurité et/ou d'efficacité.

Proposer une conclusion sur l'efficacité et la sécurité du médicament dans le cadre des AAC.