



INNOVATION - ACCÈS DÉROGATOIRE

PUBLIÉ LE 13/02/2019 - MIS À JOUR LE 16/10/2020

La commission d'évaluation initiale de l'ANSM rend un avis favorable pour une première ATU de cohorte dans une indication fondée sur un événement moléculaire

La Commission d'évaluation initiale du rapport entre les bénéfices et les risques, réunie le 31 janvier 2019 à l'ANSM, s'est prononcée en faveur de la demande d'Autorisation temporaire d'utilisation de cohorte (ATUc) pour le larotrectinib, dans l'indication du Traitement des patients adultes et pédiatriques atteints de tumeurs solides localement avancées ou métastatiques présentant une fusion NTRK (Neurotrophic Tyrosine Receptor Kinase) réfractaires aux traitements standards ou en l'absence d'alternative thérapeutique appropriée.

À savoir

L'avis de la Commission fait suite aux travaux du Groupe de travail en onco-hématologie qui avait également formulé un avis favorable en date du 14 décembre 2018 pour l'octroi de cette ATUc pour le larotrectinib.

Il s'agit de la 1^{ère} demande d'ATUc dont l'indication est fondée sur un événement moléculaire (fusion du gène NTRK) et est indépendante de l'organe ou du tissu, sièges de la tumeur. Cette fusion de gènes, issue d'un réarrangement impliquant des gènes NTRK, conduit à la production d'une protéine de fusion TRK anormalement active et impliquée dans le développement de divers types de cancers. Le larotrectinib agit en bloquant sélectivement les protéines TRK.

Le Larotrectinib (Vitrakvi) a obtenu une autorisation de mise sur le marché (AMM) aux Etats-Unis en novembre 2018. En Europe, une demande d'AMM en procédure européenne centralisée est en cours d'instruction depuis septembre 2018, dans le cadre de la procédure d'évaluation accélérée. La France est co-rapporteur pour l'évaluation de ce dossier.

La délivrance de cette ATUc permet, dans l'attente de l'AMM, d'accélérer l'accès aux patients à cette thérapeutique innovante. La mise en œuvre de cette ATUc devrait intervenir dans les prochaines semaines.

[Retour sur la séance de la Commission d'évaluation initiale du rapport bénéfice/risque des produits de santé du 31 janvier 2019 \(13/02/2019\)](#)