PUBLIÉ LE 05/07/2023

Décision du 20/06/2023 - Renouvellement du cadre de prescription compassionnelle de la spécialité Mabthera 100mg et 500mg, solution à diluer pour perfusion

DÉCISIONS (MÉDICAMENTS) - ACCÈS DÉROGATOIRE

Décision de renouvellement du cadre de prescription compassionnelle des médicaments

- **Mabthera 100 mg, solution à diluer pour perfusion**
- **Mabthera 500 mg, solution à diluer pour perfusion**

et des spécialités identifiées comme biologiques similaires et inscrites sur la liste de référence des groupes biologiques similaires mentionnée à l'article l.5121-10-2 du code de la sante publique dans l'indication "traitement du purpura thrombopénique immunologique (PTI) sévère réfractaire aux autres traitements (par exemple corticoïdes, immunoglobulines IV)"

La directrice générale de l'Agence nationale du médicament et des produits de santé,

Vu le code de la santé publique, notamment les articles L. 5121-12-1 III, L. 5121-14-3, et R. 5121-76-1 à R. 5121-76-11 ;

Vu la recommandation temporaire d'utilisation établie le 30 juillet 2018, en application de l'article L. 5121-12-1 du code de la sante publique alors en vigueur pour le(s) médicament(s) précités ;

Vu l'article 78 IV D de la loi n° 2020-1576 du 14 décembre 2020 de financement de la sécurité sociale pour 2021, dont il résulte que, depuis le 1er juillet 2021, les spécialités faisant l'objet d'une RTU dont l'échéance est postérieure à cette date sont réputées faire l'objet d'un cadre de prescription compassionnelle (CPC) ;

Considérant qu'il est toujours constaté un besoin clinique des spécialités à base de rituximab dans le traitement du Purpura Thrombopénique Immunologique (PTI) sévère, réfractaire aux autres traitements (par exemple corticoïdes, immunoglobulines IV).

Actuellement, 29 patients ont reçu du rituximab via ce cadre de prescription compassionnel, dont 27 continuent à recevoir rituximab.

- Concernant l'efficacité, une augmentation du taux de plaquettes est observée, dans les trois premiers mois de suivi, pour la quasi-totalité des patients. De plus, 12 patients sont en rémission complète, 3 en rémission partielle et 1 seul en échec de traitement.
- Concernant la tolérance, aucune fiche de suivi ne mentionnait la survenue d'effet indésirable durant cette période, et aucun nouveau signal de sécurité n'a été mis en évidence lors de l'analyse des cas extraits de la base de données de pharmacovigilance internationale. Ces données ne modifient pas la présomption d'un rapport bénéfice / risque favorable du rituximab dans l'indication du CPC.

A la vue de ces résultats, et malgré un nombre élevé de données manquantes, le besoin au sein de cette population est confirmé.

Considérant que, dans l'intérêt des patients, il est nécessaire de maintenir un encadrement sécurisé de l'utilisation des médicaments concernés par le CPC dans l'indication précitée ;

Décide :

Article 1er : Le CPC précité est renouvelé pour une durée de trois ans.

Article 2 : La présente décision entre en vigueur le lendemain de sa publication sur le site Internet de l'ANSM.

Fait, le 20 juin 2023

Dr Christelle RATIGNIER-CARBONNEIL
Directrice générale de l'ANSM