PUBLIÉ LE 22/05/2024

Décision du 17/05/2024 - Cadre de prescription compassionnelle de Onpattro (patisiran) 2 mg/mL, solution à diluer pour perfusion

DÉCISIONS (MÉDICAMENTS) - ACCÈS DÉROGATOIRE

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

Vu le code de la santé publique, notamment les articles L. 5121-12-1 III, L5121-14-3 et R.5121-76-1 à R. 5121-76-11 ;

Décide :

Article 1er :
Un cadre de prescription compassionnelle (CPC) est établi pour le médicament :

- Onpattro 2 mg/mL, solution à diluer pour perfusion

dans l'indication suivante :

- Traitement de l'amylose à transthyrétine de type sauvage ou héréditaire chez les patients adultes présentant une cardiomyopathie (ATTR-CM) dont la pathologie évolue malgré un traitement par tafamidis ou intolérants à ce dernier.

Article 2 :
L'entreprise qui assure l'exploitation du médicament couvert par le présent CPC est responsable de la mise en oeuvre du CPC conformément au protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients figurant en annexe de la présente décision.
Le suivi national de pharmacovigilance dans le cadre du CPC est assuré par le Centre Régional de Pharmacovigilance (CRPV) de Nice.

Article 3 :
Un rapport périodique de synthèse des données, tel que prévu à l'article R. 5121-76-6 du code de la santé publique est transmis à l'ANSM par voie dématérialisée ainsi qu'au CRPV de Nice par l'entreprise qui assure l'exploitation du médicament couvert par le présent CPC, conformément à la périodicité et aux modalités d'envoi précisées dans le protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients mentionné à l'article 2.
Une analyse finale de l'ensemble des données recueillies au cours du CPC est transmise à l'ANSM dans un délai de 6 mois suivant la fin du CPC.
Chaque rapport de synthèse est accompagné d'un résumé destiné à être publié, après validation de l'ANSM, sur le site internet de cette dernière.

Article 4 :
Le présent CPC, accompagné du protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients qui lui est annexé, est publié sur le site internet de l'ANSM.

Article 5 :
Le présent CPC est valable pour une durée de trois ans à compter de sa date d'entrée en vigueur, à savoir le lendemain de sa publication sur le site internet de l'ANSM.

Fait à Saint-Denis, le 17/05/2024

Christelle RATIGNIER-CARBONNEIL
Directrice générale de l'ANSM