PUBLIÉ LE 02/07/2025

Décision du 30/06/2025 – Cadre de prescription compassionnelle du médicament Hemlibra 30 mg/mL et 150 mg/mL, solution injectable

INNOVATION - ACCÈS COMPASSIONNEL

Décision du 30/06/2025 établissant un cadre de prescription compassionnelle des médicaments

- ***Hemlibra 30 mg/mL, solution injectable***
- ***Hemlibra 150 mg/mL, solution injectable***

dans l'indication :
Traitement pour prévenir les épisodes hémorragiques et en diminuer la sévérité, chez les patients adultes atteints d'hémophilie A acquise par auto-anticoprs anti-facteur VIII

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 ;

Vu la lettre de l'ANSM, en date du**15 mai 2025** confirmant à Roche, son intention d'établir un cadre de prescription compassionnelle (CPC) pour les spécialités et les indications précitées et lui adressant, pour observations, les projets de décision et de protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP) ;

Décide

Article 1er
Un cadre de prescription compassionnelle (CPC) est établi pour les médicaments :
Hemlibra 30 mg/mL, solution injectable
Hemlibra 150 mg/mL, solution injectable
dans l'indication suivante :
« Traitement pour prévenir les épisodes hémorragiques et en diminuer la sévérité, chez les patients adultes atteints d'hémophilie A acquise par auto-anticorps anti-facteur VIII ».

Article 2
L'entreprise qui assure l'exploitation des médicaments couverts 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 Toulouse.

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 Toulouse par l'entreprise qui assure l'exploitation des médicaments couverts 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 30/06/2025

Catherine PAUGAM-BURTZ
Directrice générale