PUBLIÉ LE 01/08/2025

Décision du 29/07/2025 - Cadre de prescription compassionnelle de Orphacol 50 mg et 250 mg, gélule

DÉCISIONS (MÉDICAMENTS) - ACCÈS DÉROGATOIRE

Décision établissant un cadre de prescription compassionnelle des médicaments Orphacol 50 mg, gélule et Orphacol 250 mg, gélule dans l'indication « Traitement de la xanthomatose cérébrotendineuse chez les nourrissons, les enfants et les adolescents âgés de 1 mois à 18 ans, ainsi que chez les adultes. »

La directrice générale de l'Agence nationale de sécurite 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 13 mai 2025 confirmant au laboratoire Thérévia, 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) ;

Vu les observations dudit laboratoire en date du 26 juin 2025 ;

Décide :

Article 1er :
Un cadre de prescription compassionnelle (CPC) est établi pour les médicaments :
Orphacol 50 mg, gélule et Orphacol 250 mg, gélule
dans l'indication suivante :
« Traitement de la xanthomatose cérébrotendineuse chez les nourrissons, les enfants et les adolescents âgés de 1 mois à 18 ans, ainsi que chez les adultes. »

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 Montpellier.

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 Montpellier 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 29/07/2025

Catherine Paugam-Burtz

Directrice générale de l'ANSM