DÉCISIONS (MÉDICAMENTS) - ACCÈS DÉROGATOIRE

PUBLIÉ LE 28/08/2025

Décision du 27/08/2025 - Modification du cadre de prescription compassionnelle de Onpattro (patisiran) 2 mg/mL, solution à diluer pour perfusion

Dans l'indication :
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.

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, L. 5121-14-3 et R.5121-76-9 ; Vu le cadre de prescription compassionnelle (CPC) établi le 17 mai 2024 ; Vu les différents échanges avec le laboratoire en charge de l'exploitation du médicament précité afin de modifier le protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP) ;

Considérant que les critères définissant la progression des patients traités par tafamidis, mentionnés dans le protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP) doivent être actualisés ;

Considérant que cette modification du CPC n'emporte pas de conséquence sur la durée de validité de celui-ci ;

Décide :

Article 1er :
Le PUT-SP annexé au CPC précité est modifié en ce qui concerne les rubriques « Indication et conditions d'utilisation dans le CPC » et « Conditions de prescription et de délivrance du CPC ».

Article 2 :
Le PUT-SP joint à la présente décision remplace le protocole du CPC en vigueur.

Article 3 :
La présente décision et le PUT-SP qui lui est annexé sont publiés sur le site Internet de l'ANSM. Ils entrent en vigueur le lendemain de cette publication.

Fait à Saint-Denis le 27/08/2025

Catherine Paugam-Burtz
Directrice générale de l'ANSM

+ Consultez la fiche CPC Onpattro