PUBLIÉ LE 25/09/2026

Décision du 22/09/2026 – Cadre de prescription compassionnelle du médicament Blincyto 38,5 microgrammes, poudre pour solution à diluer et solution pour solution pour perfusion

INNOVATION - ACCÈS COMPASSIONNEL

Dans l'indication « En monothérapie dans le traitement des patients pédiatriques à partir de l'âge de 1 mois, présentant une LAL à précurseurs B exprimant le CD19 avec chromosome Philadelphie négatif nouvellement diagnostiquée, dans le cadre du traitement de consolidation des patients présentant un risque intermédiaire ou un haut risque de rechute»

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 21 août 2026 confirmant au laboratoire titulaire de l'autorisation de mise sur le marché (AMM) concernée, son intention d'établir un cadre de prescription compassionnelle (CPC) pour le médicament et l'indication précitée et leur 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 dates des 31 août 2026 et 14 septembre 2026 ;

Décide

Article 1er
Un cadre de prescription compassionnelle (CPC) est établi pour le médicament :
Blincynto 38,5 microgrammes, poudre pour solution à diluer et solution pour solution pour perfusion
dans l'indication suivante :
« En monothérapie dans le traitement des patients pédiatriques à partir de l'âge de 1 mois, présentant une LAL à précurseurs B exprimant le CD19 avec chromosome Philadelphie négatif nouvellement diagnostiquée, dans le cadre du traitement de consolidation des patients présentant un risque intermédiaire ou un haut risque de rechute ».

Article 2
L'entreprise qui assure l'exploitation du médicament couvert par le présent CPC est responsable de la mise en œuvre 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 Paris Saint-Louis.

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 Paris Saint-Louis 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 22/09/2026

Catherine PAUGAM-BURTZ
Directrice générale