PUBLIÉ LE 27/08/2020 - MIS À JOUR LE 24/10/2022

Décision du 28/11/2018 - Recommandation temporaire d'utilisation du médicament (RTU) Vyndaqel (tafamidis) dans le traitement de l'amylose cardiaque à transthyrétine

INNOVATION - ACCÈS COMPASSIONNEL

RECOMMANDATION TEMPORAIRE D'UTILISATION DE VYNDAQEL DANS LE TRAITEMENT DE L'AMYLOSE CARDIAQUE A TRANSTHYRETINE Le directeur général de l'Agence NATIONALE DE SECURITE DU MEDICAMENT ET DES PRODUITS DE SANTE

Vu le code de la santé publique, notamment les articles L. 5121-12-1, L5121-14-3 et R. 5121-76-1 à R. 5121-76-9 ;

DECIDE :Article 1er :

Une RTU est établie pour le médicament :

VYNDAQEL 20 mg, capsule molle,

Exploité par Pfizer,
23-25 avenue du Docteur Lannelongue
75014 PARIS

dans l'indication suivante :

« Traitement de l'amylose cardiaque à transthyrétine de forme héréditaire ou sénile, chez les patients adultes présentant une insuffisance cardiaque restrictive de classe NYHA I, II ou III.».

Article 2 :

Le laboratoire exploitant la spécialité VYNDAQEL (à base de tafamidis) est responsable de la mise en place du suivi des patients ainsi que du recueil et de l'analyse des données générées conformément au protocole de suivi des patients figurant en annexe de la présente décision.

L'enquête nationale de pharmacovigilance dans le cadre de la présente RTU est assurée par le Centre Régional de Pharmacovigilance (CRPV) de Nice.

Article 3 :

Un rapport de synthèse semestriel des données de suivi des patients et des informations relatives à l'efficacité, à la sécurité et aux conditions réelles d'utilisation de la spécialité précitée est transmis par le laboratoire à l'ANSM ainsi qu'au CRPV de Nice par tout moyen conférant date certaine. La période de suivi couvre la période comprise entre la date de début du suivi des patients et la date d'anniversaire correspondante. Le délai de transmission du rapport par le laboratoire ne doit pas excéder un mois.

L'analyse finale de l'ensemble des données recueillies au cours de la RTU est transmise par le laboratoire dans un délai de 6 mois suivant la fin du suivi des patients traités.

Chaque rapport de synthèse est accompagné d'un résumé établi par le laboratoire concerné, destiné à être publié, après validation de l'ANSM, sur le site internet de cette dernière.

Article 4 :

La présente RTU est diffusée par l'ANSM sur son site internet.

Elle est également diffusée sans caractère promotionnel par le laboratoire précité sur son site internet et auprès des professionnels de santé concernés ; les mesures prises pour cette diffusion sont soumises à l'avis préalable de l'ANSM.

Par ailleurs, dans le cadre du bon usage de la spécialité faisant l'objet de la présente RTU, il appartient au laboratoire précité de prendre toute mesure d'information utile à l'attention des prescripteurs concernés afin que cette spécialité soit prescrite dans le respect de la présente RTU et afin qu'ils participent au protocole de suivi des patients.

Article 5 :

La présente RTU est valable pour une durée de trois ans renouvelable à compter de sa date d’entrée en vigueur mentionnée sur le site internet de l’ANSM, à savoir le lendemain de la publication de l’arrêté de prise en charge de la spécialité dans l’indication visée par la RTU.

Article 6 :

Le laboratoire précité transmet à l’ANSM la date d’inclusion du premier patient traité dans le cadre de la présente RTU et, chaque mois, le nombre de nouveaux patients traités.

Article 7 **:**

La présente RTU est notifiée à l’intéressé.

Fait, le 28/11/2018