

# Upstaza

Actualisation du 04/03/2026

Renouvellement de l'AAP pour Upstaza,  $2.8 \times 10^{11}$  génomes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion

## Spécialité(s) pharmaceutique(s)

**Upstaza,  $2.8 \times 10^{11}$  génomes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion**

## Substance active

Eladocagene exuparvovec

## Laboratoire

PTC Therapeutics International Ltd

## AMM

## Documents de référence dans le cadre de l'AMM

## Indication(s) dans ce cadre

## Documents de référence dans ce cadre

[Suivi des patients](#)

[Base publique du médicament](#)

[Titulaire \(s\)](#)

[Critères d'octroi](#)

[Indications](#)

[Code\(s\) CIP](#)

[Documents de référence](#)

[Lire aussi](#)

[Autres informations](#)

[Données d'inclusion](#)

[Résumé de rapport de synthèse périodique](#)

## Upstaza, 2.8 x 10<sup>11</sup> génomes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion

Fin d'AAC le 01/01/2023

### Résumés de rapport de synthèse périodiques

- ↓ Résumé du rapport de synthèse n° 1- ATUn Upstaza, 2.8 x 10<sup>11</sup> génomes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 décembre 2020 au 3 juin 2021 (24/03/2022) ↓ Résumé du rapport de synthèse n° 2- ATUn Upstaza, 2.8 x 10<sup>11</sup> génomes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 juin 2021 au 3 décembre 2021 (24/03/2022) ↓ Résumé du rapport de synthèse n°3- AAC Upstaza, 2.8 x 10<sup>11</sup> génomes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 décembre 2021 au 3 juin 2022 (22/09/2022)) ↓ Résumé du rapport de synthèse n° 4- AAC Upstaza, 2.8 x 10<sup>11</sup> génomes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 juin 2022 au 3 décembre 2022 (24/02/2023)
- ↓ Résumé du rapport de synthèse n° 5 - AAC Upstaza, 2.8 x 10<sup>11</sup> génomes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 décembre 2022 au 3 juin 2023 (03/05/2024) ↓ Résumé du rapport de synthèse n° 6 - AAC Upstaza, 2.8 x 10<sup>11</sup> génomes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 juin 2023 au 3 décembre 2023 (03/05/2024) ↓ Résumé du rapport de synthèse n° 7 - AAC Upstaza, 2.8 x 10<sup>11</sup> génomes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 décembre 2023 au 3 juin 2024 (28/10/2024) ↓ Résumé du rapport de synthèse n° 8 - AAC Upstaza, 2.8 x 10<sup>11</sup> génomes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 juin 2024 au 3 décembre 2024 (28/03/2025)

### Autorisation d'accès précoce (AAP)

#### Upstaza, 2.8 x 10<sup>11</sup> génomes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion

#### Indication de l'AAP octroyée le 15/12/2022, renouvelée le 14/12/2023, le 24/12/2024 et le 22/01/2026

Traitement de patients âgés de 18 mois et plus présentant un diagnostic clinique, moléculaire et génétiquement confirmé de déficit en décarboxylase d'acide L-aminé aromatique (aro-matic L amino acid decarboxylase, AADC) associé à un phénotype sévère.

- Médicament disponible dans le cadre d'un accès précoce post AMM

### Autorisation de mise sur le marché (AMM) - Oui