

Upstaza

Spécialité(s) pharmaceutique(s)

Upstaza, 2.8 x 10¹¹ génotypes 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](#)

Autorisation d'accès compassionnel (AAC)

Upstaza, 2.8 x 10¹¹ génotypes 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 10¹¹ génotypes 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, 2.8×10^{11} génotypes 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, 2.8×10^{11} génotypes 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, 2.8×10^{11} génotypes 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, 2.8×10^{11} génotypes 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, 2.8×10^{11} génotypes 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, 2.8×10^{11} génotypes 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, 2.8×10^{11} génotypes 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, 2.8×10^{11} génotypes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion

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

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

