

# Upstaza

## Spécialité(s) pharmaceutique(s)

**Upstaza, 2.8 x 10<sup>11</sup> 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 10<sup>11</sup> 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 10<sup>11</sup> génotypes de vecteur/0,5 mL, solution pour

perfusion - Période du 4 décembre 2020 au 3 juin 2021 (24/03/2022) [!\[\]\(cead67df4d82d6c83effe4f8699a7d8f\_img.jpg\)](#) Résumé du rapport de synthèse n° 2- ATUn Upstaza,  $2.8 \times 10^{11}$  génotypes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 juin 2021 au 3 décembre 2021 (24/03/2022) [!\[\]\(67433ad4a135c113d9a9c29aff5e5943\_img.jpg\)](#) Résumé du rapport de synthèse n°3- AAC Upstaza,  $2.8 \times 10^{11}$  génotypes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 décembre 2021 au 3 juin 2022 (22/09/2022)) [!\[\]\(224f6e2d313753bf4040edb5ba29eeab\_img.jpg\)](#) Résumé du rapport de synthèse n° 4- AAC Upstaza,  $2.8 \times 10^{11}$  génotypes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 juin 2022 au 3 décembre 2022 (24/02/2023)

[!\[\]\(1d3a1175dd4902218e694b9c098adb83\_img.jpg\)](#) Résumé du rapport de synthèse n° 5 - AAC Upstaza,  $2.8 \times 10^{11}$  génotypes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 décembre 2022 au 3 juin 2023 (03/05/2024) [!\[\]\(e2297bc882e4a3f95bff068ab9c9101f\_img.jpg\)](#) Résumé du rapport de synthèse n° 6 - AAC Upstaza,  $2.8 \times 10^{11}$  génotypes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 juin 2023 au 3 décembre 2023 (03/05/2024) [!\[\]\(69eafe5577bb2820ded2637faee72eea\_img.jpg\)](#) Résumé du rapport de synthèse n° 7 - AAC Upstaza,  $2.8 \times 10^{11}$  génotypes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 décembre 2023 au 3 juin 2024 (28/10/2024) [!\[\]\(63df79f9df20930b0436ff68907f4313\_img.jpg\)](#) Résumé du rapport de synthèse n° 8 - AAC Upstaza,  $2.8 \times 10^{11}$  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, $2.8 \times 10^{11}$ 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

