

PUBLIÉ LE 29/03/2021 - MISE À JOUR LE 28/03/2025

Upstaza

Base publique du médicament

Spécialité(s) pharmaceutique(s)
Upstaza, 2.8 x 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 nationts
Suivi des patients

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 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 synthése n° 1- ATUn Upstaza, 2.8 x 10¹¹ 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 synthése n° 2- ATUn Upstaza, 2.8 x 10¹¹ génomes de vecteur/0,5 mL, solution pour perfusion - Période du 4 juin 2021 au 3 décembre 2021

ANSM - Page 2 sur 3 - 30.11.2025 09:47

Résumé du rapport de synthése n°3- AAC Upstaza, 2.8 x 10¹¹ 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 synthése n° 4-AAC Upstaza, 2.8 x 10¹¹ 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 synthése n° 5 - AAC Upstaza, 2.8 x 10¹¹ 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 synthése n° 6 - AAC Upstaza, 2.8 x 10¹¹ 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 synthése n° 7 - AAC Upstaza, 2.8 x 10¹¹ 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 synthése n° 8 - AAC Upstaza, 2.8 x 10¹¹ 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 1011 génomes 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

п