PUBLIÉ LE 29/03/2021 - MISE À JOUR LE 04/03/2026

Upstaza

Actualisation du 04/03/2026

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

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 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^{11} 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^{11} 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^{11} 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^{11} 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^{11} 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^{11} 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^{11} 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^{11} 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^{11} 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^{11} 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