

### Direction Médicale Médicaments 1

Pôle oncologie – Pôle oncohématologie, hématologie, néphrologie  
Personnes en charge : Nicolas ALBIN – Liora BRUNEL – Chantal TOULOT

## Comité Scientifique Permanent Oncologie-Hématologie Séance du 19 mars 2021 (10h à 17h30)

### Ordre du jour


Points	Sujets abordés	pour audition, information, adoption ou discussion
I	Présentation de la nouvelle direction DMM1 - Adoption du compte-rendu séance du 22/01/2021	Information - Adoption
II	Points sur : - déclarations publiques d'intérêts - Post CHMP - point COVID	Information
<b>Dossiers thématiques</b>		
II	- ATU de cohorte initiale Capmatinib - Novartis	Discussion vote
	- ATU de cohorte d'extension d'indication Kisplyx® - Biodimed / EISAI	Discussion vote
III	- Pré-soumission ATU de cohorte d'extension d'indication Kymriah - Novartis	Discussion vote
IV	- ATU de cohorte initiale Abecma - BMS/Celgène	Discussion vote
I	- ATU de cohorte d'extension d'indication Vyxeos liposomal - Jazz Pharmaceuticals	Discussion vote

## Participants

Nom des participants	Statut (modérateur, membre, évaluateur, ...)	Présent	Absent /excusé
<b>Membres</b>			
BAY Jacques-Olivier	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
BENE Marie-Christine	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
BENSADOUN René-Jean	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
BERDAÏ Driss	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
BOUTONNAT Jean	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
BRAHMI Medhi	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
EBERST-URBAN Lauriane	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
GUILLLOT Bernard	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
KOSMIDER Olivier	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
KEMPF Emmanuelle	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
LAIGLE-DONADEY Florence	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
LAPIERE Jérémy	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
PLANTAZ Dominique	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
QUESNEL Bruno	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
RICHE Christian	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
SAKHRI Linda	Membre		<input checked="" type="checkbox"/>
TALEB Amina	Membre	<b>Visio</b>	<input type="checkbox"/>
<b>Expert(s)</b>			
		<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
		<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Autres</b>			
HOOG-LABOURET Nathalie	INCA	<b>Visio</b>	
SCHWAGER Manon	INCA	<b>Visio</b>	
BISOT-LOCARD Ségolène	NOVARTIS	<b>Visio</b>	
BUTURUGA Alexandru	NOVARTIS	<b>Visio</b>	
OUARET Schéhérazade	NOVARTIS	<b>Visio</b>	
WINTERGERST Delphine	NOVARTIS	<b>Visio</b>	
CARRERE Florence	BIODIMED	<b>Visio</b>	
DE SAUVEBEUF Côme	BIODIMED	<b>Visio</b>	
GUILBOT Angèle	BIODIMED	<b>Visio</b>	
MONTEUX Agnès	EISAI	<b>Visio</b>	
ROUX Emmanuel	EISAI	<b>Visio</b>	
SAAL Hakim	EISAI	<b>Visio</b>	
AFFINITO Sylvain	NOVARTIS	<b>Visio</b>	
BOURG Elisabeth	NOVARTIS	<b>Visio</b>	
MERLAT-GUITARD Annabelle	NOVARTIS	<b>Visio</b>	
OPREA Cristina	NOVARTIS	<b>Visio</b>	

Nom des participants	Statut (modérateur, membre, évaluateur, ...)	Présent	Absent /excusé
MORSCHHAUSER Franck	LYSA	<b>Visio</b>	
DELMER Alain	SFH	<b>Visio</b>	
Frédéric BASSI	BMS/CELGENE	<b>Visio</b>	
BOUARAB Roza	BMS/CELGENE	<b>Visio</b>	
DEMASY Arthur	BMS/CELGENE	<b>Visio</b>	
JAGER MORALI Martine	BMS/CELGENE	<b>Visio</b>	
KONE Sébastien	BMS/CELGENE	<b>Visio</b>	
LABLANCHE Véronique	BMS/CELGENE	<b>Visio</b>	
LEPAGE Agathe	BMS/CELGENE	<b>Visio</b>	
LOVERIDGE Michael	BMS/CELGENE	<b>Visio</b>	
NOVICK Steven	BMS/CELGENE	<b>Visio</b>	
TINEL Antoine	BMS/CELGENE	<b>Visio</b>	
DELCOUR Bernard	AF3M	<b>Visio</b>	
GILLOT Laurent	AF3M	<b>Visio</b>	
ARNULF Bertrand	IFM	<b>Visio</b>	
MOREAU Philippe	IFM	<b>Visio</b>	
DUCHENE François	JAZZ PHARMACEUTICALS	<b>Visio</b>	
PEREZ Magalie	JAZZ PHARMACEUTICALS	<b>Visio</b>	

<b>ANSM</b>			
ALBIN Nicolas	Conseiller médical	<b>Présent</b>	
YOLDJIAN Isabelle	Directrice	<b>Visio</b>	
SAINTE MARIE Isabelle	Directrice adjointe	<b>Visio</b>	
ANDREOLLI Laura	Evaluateur PV	<b>Visio</b>	
BELGODERE Laetitia	Evaluateur clinique	<b>Visio</b>	
BENLAZAR Anissa	Evaluateur clinique	<b>Visio</b>	
BOUDALI Lotfi	Conseiller scientifique	<b>Présent</b>	
BURBANCK Matthew	Evaluateur non-clinique	<b>Visio</b>	
BRUNEL Liora	Cheffe de Pôle	<b>Présente</b>	
CHU Céline	Evaluateur clinique	<b>Visio</b>	
GADEYNE Marie	Cheffe de Pôle	<b>Visio</b>	
HOLINGUE Brenda	Evaluateur clinique	<b>Visio</b>	
JAMBON Stéphanie	Evaluateur clinique	<b>Visio</b>	
KEROUANI-LAFAYE Ghania	Evaluateur clinique	<b>Visio</b>	
MATKO Caroline	Evaluateur clinique	<b>Visio</b>	
ABID Wiem	Stagiaire	<b>Visio</b>	



ANFOSSO Maud	Stagiaire	Visio	
AUSSEL Clotilde	Stagiaire	Visio	
MAHUNGU Janine	Stagiaire	Visio	
PACAUD Chloé	Stagiaire	Visio	

## 1. Introduction

---

### 1.1. Point sur les DPI et les situations de conflits d'intérêts

Le modérateur, après avoir vérifié que les membres n'ont pas de nouveaux liens à déclarer et que les DPI sont à jour, précise qu'aucune situation de conflit d'intérêts n'a été identifiée ou signalé au regard des dossiers à l'ordre du jour ;

Aucun lien n'a été identifié pour les membres et les experts

## Dossiers

---

### ATU de cohorte initiale Capmatinib

Numéro/type/nom du dossier	Capmatinib
Laboratoire(s)	Novartis
Direction produit concernée	DMM1 - Pôle Oncologie
Expert(s)	
Evaluateur(s) en charge du dossier	

### Présentation du dossier

---

Le laboratoire Novartis a sollicité une mise à disposition précoce de sa spécialité Capmatinib dans le cadre d'une ATU de cohorte, dans l'indication suivante :

- Traitement en monothérapie des patients adultes présentant un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC), localement avancé ou métastatique présentant une mutation de l'exon-14 de c-MET chez les patients ayant déjà reçu au moins une première ligne de traitement, ou selon le prescripteur, non éligibles à une chimiothérapie.

Cette spécialité est disponible en France depuis juin 2019 dans le cadre des ATU (200 pts au 28/02). Les données d'efficacité et de sécurité soumises à l'appui de cette d'ATU de cohorte sont issues de l'étude pivotale GEOMETRY mono-1 : étude de phase 2 internationale, multicentrique, prospective, multicohortes et monobras.

### Conclusions du CSP

**Question posée :** L'avis du CSP Onco-Hématologie est sollicité sur la soumission du dossier d'ATU de cohorte du Capmatinib en monothérapie dans le traitement des patients adultes présentant un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC), localement avancé ou métastatique présentant une mutation de l'exon-14 de c-MET.

#### Votes

Nombre de votants	16
Nombre d'avis favorables	13
Nombre d'avis défavorables	1
Nombre d'abstention	2

#### Explication des votes

Avis majoritaires	
Avis minoritaires	

#### Conclusions

Le CSP Onco-Hématologie souligne les points suivants :

- 1) Que les données soumises datent d'il y a plus d'un an (janvier 20). En conséquence, en l'absence de données actualisées (non disponibles au moment de l'instruction de la demande) il est difficile d'apprécier la durabilité et l'ampleur de l'activité du Capmatinib dans la situation clinique revendiquée.
- 2) Que la Survie Sans Progression et la Survie Globale sont difficiles à interpréter dans un essai ouvert non randomisé.
- 3) Qu'à la date du 16 avril 2019, pour l'ensemble des cohortes (n= 334), indépendamment du lien de causalité avec Capmatinib, il a été rapporté 53 (15.9%) décès survenus dans les 30 jours qui suivent la dernière prise de Capmatinib. Parmi ces décès précoces, 11 sont en relation avec la survenue d'un évènement indésirable : pneumopathie (n=3), arrêt cardiaque (n=2), fibrillation auriculaire (n=1), hépatite, pneumopathie bactérienne, septicémie, choc septique, détresse respiratoire. Un seul décès a été jugé relié au traitement par Capmatinib (pneumopathie interstitielle).
- 4) Que toutefois le profil de tolérance du Capmatinib est acceptable : les évènements indésirables (EI) les plus fréquents ( $\geq 10\%$  des patients) rapportés, comprenaient : œdème périphérique (51%), nausée (45%) et vomissement (28%), élévation du taux de créatinine (24%), dyspnée (23%) et diminution de l'appétit (21%).

- 5) En l'absence d'alternative thérapeutique spécifique ciblant la mutation de l'exon 14 de c-MET, il y a un besoin médical non couvert pour la population de patients CBNPC avancé ou métastatique présentant cette mutation.

**En conclusion :**

Avis favorable à la mise à disposition du Capmatinib dans le cadre d'une ATU de cohorte dans l'indication suivante :

- Traitement de patients atteints d'un CBNPC avancé ou métastatique porteurs d'une mutation de c-MET affectant l'exon 14,
- et
- Ayant déjà reçu une première ligne de traitement à base doublet de platine ± immunothérapie,
- et
- Non éligibles au traitement par Capmatinib dans le cadre d'un essai clinique.

## Références documentaires

### Dossiers

### ATU de cohorte d'extension d'indication Kisplyx®

Numéro/type/nom du dossier	Kisplyx®
Laboratoire(s)	Biodimed pour (Laboratoires EISA)
Direction produit concernée	DMM1 - Pôle Oncologie
Expert(s)	
Evaluateur(s) en charge du dossier	

### Présentation du dossier

Le laboratoire a présenté le dossier de pré-soumission de l'ATU de cohorte d'extension pour leur spécialité KISPLYX (Lenvatinib) en association au Pembrolizumab en première ligne dans le traitement des patients adultes de pronostic intermédiaire/défavorable atteints d'un carcinome rénal avancé à cellules claires : pour lesquels les associations pembrolizumab avec l'axitinib ou nivolumab avec le cabozantinib ou nivolumab avec l'ipilimumab ou les monothérapies sunitinib, pazopanib, tivozanib ou cabozantinib ne sont pas appropriées OU lorsqu'aucune alternative thérapeutique appropriée n'est disponible. Lors de la présentation, le laboratoire a précisé vouloir modifier le périmètre de la demande d'ATU de cohorte d'extension pour leur spécialité: Lenvatinib en association au Pembrolizumab en première ligne dans le traitement des patients adultes atteints d'un carcinome rénal avancé à cellules claires.


Les données d'efficacité et de sécurité soumises à l'appui de cette d'ATU de cohorte sont issues de l'étude -307 (CLEAR) : une étude de phase 3 multicentrique, randomisée, en ouvert visant à comparer l'efficacité et la sécurité du lenvatinib en association à l'évérolimus ou au pembrolizumab versus sunitinib seul comme traitement de première ligne chez des patients atteints d'un carcinome rénal avancé.

Au total, 1069 patients ont été inclus dans cette étude et randomisés selon un ratio 1 : 1 : 1. 355 patients ont reçu lenvatinib 20 mg/j (voie orale) plus pembrolizumab 200 mg/3 semaines (IV), 357 patients lenvatinib 18 mg/j (voie orale) plus évérolimus 5mg/j (voie orale) et 357 patients sunitinib 50 mg (voie orale) 4 semaines avec / 2 semaines sans traitement en alternance.

L'objectif principal était d'évaluer l'efficacité de lenvatinib plus pembrolizumab par la durée de survie sans progression (SSP) à partir de l'analyse centralisée du Comité de Revue Indépendante (CRI) en fonction du critère d'évaluation de la réponse tumorale (RECIST modifié, version 1.1). La randomisation est stratifiée sur la localisation géographique et le groupe pronostic MSKCC (favorable / intermédiaire / défavorable). Les objectifs secondaires d'efficacité incluaient la survie globale (SG) et le taux de réponse objective (ORR).

A la date du 28 août 2020 (gel de la base), une amélioration statistiquement et cliniquement significative de la durée de SSP a été observée dans le bras lenvatinib plus pembrolizumab : 23.9 mois (95% CI : 20.8, 27.7) versus 9.2 mois (95% CI: 6.0, 11.0) dans le bras sunitinib (hazard ratio [HR]=0.39, [95% CI: 0.32, 0.49],  $P<0.0001$ ). Les analyses en sous-groupe ont montré que ce bénéfice en faveur de l'association testée est retrouvée dans tous les sous-groupes d'intérêts incluant le groupe pronostic MSKCC (Memorial Sloan Kettering Cancer Center) et IMDC





(International Metastatic RCC Database Consortium), le statut PD-L1 et chez les patients présentant une tumeur à contingent sarcomatoïde.

Le profil de sécurité observé avec l'association était généralement consistant avec celui observé avec chacune des molécules prises séparément à l'exception d'une incidence plus élevée des cas non graves d'hypothyroïdie (42,6%).

### Conclusions du CSP

**Question posée :** Le CSP Onco-Hématologie est sollicité sur la soumission du dossier d'ATU de cohorte d'extension du Lenvatinib en association au Pembrolizumab en première ligne dans le traitement des patients adultes atteints d'un carcinome rénal avancé à cellules claires.

#### Votes

Nombre de votants	16
Nombre d'avis favorables	8
Nombre d'avis défavorables	3
Nombre d'abstention	5

#### Explication des votes

Avis majoritaires	
Avis minoritaires	Cadre réglementaire des ATU de cohorte

#### Conclusions

Les membres du CSP Onco-Hématologie ont souligné :

- L'absence d'étude comparative (ou méta-analyse en réseau) avec les traitements disponibles dans l'indication revendiquée. Le laboratoire base sa comparaison sur des données historiques,
- Une incidence élevée des cas d'hypertension artérielle de grade  $\geq 3$  avec l'association : 25,3%
- Une cassure sur la courbe des données de survie à 33 mois (immaturité des données au-delà de 23 mois),
- L'absence de données sur la qualité de vie,
- La nécessité de préciser la prise en charge en cas de protéinurie et insuffisance rénale dans le protocole d'utilisation thérapeutique (PUT).

Les membres du CSP Onco-Hématologie se sont positionnés en faveur de la soumission du dossier d'ATU de cohorte d'extension de Lenvatinib en association au Pembrolizumab dans l'indication revendiquée par le laboratoire, compte tenu d'un rapport bénéfices-risques présumé favorable au regard des données disponibles présentées lors de cette pré-soumission. Le CSP ne s'est toutefois pas prononcé sur l'éligibilité de ce médicament dans le cadre du dispositif d'ATU pour ce qui concerne l'indication thérapeutique revendiquée.

Au regard des critères prévus à l'article L.5121-12 du code de la santé publique, il est rappelé qu'un médicament ne peut notamment bénéficier d'une ATU qu'en l'absence de traitement approprié dans l'indication concernée et lorsque la mise en œuvre du traitement ne peut pas être différée. Compte tenu de ce qui précède, il est demandé au laboratoire de justifier la perte de chance pour un patient ou une sous

population de patients à ne pas bénéficier de cette ATU de cohorte, compte tenu de l'existence de traitements avec AMM disponibles dans l'indication revendiquée pour l'ATU de cohorte.

## Références documentaires

### Dossiers

#### - ATU de cohorte d'extension d'indication Kymriah

Numéro/type/nom du dossier	Kymriah
Laboratoire(s) autres	Novartis
Direction produit concernée	DMM1 - Pôle greffe (organes tissus cellules), thérapie cellulaire, transfusion (produits sanguins labiles), médicaments dérivés du plasma, médecine nucléaire (radio-pharmaceutique), agents de contraste
Expert(s)	Marie-Christine Bene Jacques Olivier Bay
Evaluateur(s) en charge du dossier	

#### Présentation du dossier

En séance, le laboratoire Novartis a présenté le dossier de pré-soumission de l'ATU de cohorte d'extension pour sa spécialité Kymriah dans le traitement de patients adultes atteints de lymphome folliculaire en rechute ou réfractaire après au moins deux lignes de traitement.

Les données d'efficacité et de sécurité soumises à l'appui de cette ATU de cohorte sont issues de l'étude pivot de phase II (ELARA), multicentrique, internationale, mono-bras, chez des patients atteints d'un lymphome folliculaire, en rechute ou réfractaire. 97 patients ont été traités, à la dose médiane de  $2,06 \times 10^8$  cellules CAR-T positifs viables, dans le range de l'AMM européenne de Kymriah indiquée chez les patients adultes atteints de lymphome diffus à grandes cellules B. Le profil de tolérance observé chez les patients évaluable est comparable à celui observé dans les données issues du post-marketing de Kymriah. Aucun nouveau signal de sécurité observé.

Le représentant de la Société Française d'Hématologie (SFH) a confirmé le besoin médical non couvert au-delà de la 2<sup>ème</sup> ligne de traitement pour les patients atteints d'un lymphome folliculaire. Il a également précisé que le profil de toxicité de ce CAR-T cells est maintenant connu, et que les équipes médicales sont plus expérimentées

Le représentant du LYSA a indiqué que les dossiers des patients étaient discutés en réunion de collégialité pluridisciplinaire (RCP). Il a également présenté les différentes stratégies de traitements disponibles dans le lymphome folliculaire et a confirmé la place de cette thérapeutique qui répond à un besoin médical non couvert à ce jour.

## Conclusions du CSP

---

**Question posée :** Le CSP Onco-Hématologie est sollicité sur la pré-soumission de l'ATU de cohorte d'extension de Kymriah dans le traitement de patients adultes atteints de lymphome folliculaire en rechute ou réfractaire après au moins deux lignes de traitement.

### Votes

Nombre de votants	14
Nombre d'avis favorables	14
Nombre d'avis défavorables	0
Nombre d'abstention	0

### Explication des votes

Avis majoritaires	
Avis minoritaires	

### Conclusions

Le CSP Onco-Hématologie a émis un avis un avis favorable à l'unanimité des membres présents à la soumission du dossier d'ATU de cohorte d'extension de Kymriah dans l'indication suivante :

- Traitement de patients adultes atteints de lymphome folliculaire en rechute ou réfractaire après au moins deux lignes de traitement.

### Références documentaires

### Dossiers

#### - ATU de cohorte initiale Abecma

Numéro/type/nom du dossier	Abecma
Laboratoire(s) autres	BMS/Celgène
Direction produit concernée	DMM1 - Pôle greffe (organes tissus cellules), thérapie cellulaire, transfusion (produits sanguins labiles), médicaments dérivés du plasma, médecine nucléaire (radio-pharmaceutique), agents de contraste
Expert(s)	Olivier Kosmider Bruno Quesnel
Evaluateur(s) en charge du dossier	

#### Présentation du dossier

En séance, le laboratoire BMS/Celgene a présenté les données disponibles en vue d'une mise à disposition précoce de sa spécialité Abecma dans le cadre d'une ATU de cohorte, dans l'indication suivante : Traitement des patients adultes atteints d'un myélome multiple en rechute et réfractaire, ayant reçu au moins trois traitements antérieurs, incluant un agent immunomodulateur, un inhibiteur du protéasome et un anticorps anti-CD38, et dont la maladie a progressé pendant le dernier traitement. Le laboratoire a précisé que l'évaluation de la procédure centralisée de l'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) du produit Abecma est en cours auprès de l'EMA.


Les données d'efficacité et de sécurité soumises à l'appui de l'AMM et de cette ATU de cohorte sont principalement issues de l'étude pivot de phase II (KarMMa), multicentrique, internationale, mono-bras, chez 128 patients traités, atteints d'un myélome multiple en rechute/réfractaire, ayant reçu au moins 3 traitements antérieurs contre le myélome, incluant un agent immunomodulateur, un inhibiteur du protéasome et un anticorps anti-CD38.

Cette spécialité est disponible en France depuis décembre 2019 dans le cadre des ATU nominatives, bien que le laboratoire ait informé l'Agence de l'indisponibilité de ce médicament, liée à leur faible capacité de production et à leur décision de réserver les médicaments produits aux essais cliniques

Le représentant de la Société Française d'Hématologie (SFH) a soulevé le problème de l'accessibilité au traitement, L'Agence a rappelé que l'ATU de cohorte doit permettre un accès au médicament sur tout le territoire avec équité. C'est un engagement du laboratoire lors du dépôt de la demande d'ATU de cohorte. Il n'est pas possible d'être sélectif sur certains centres. Toutefois, il peut y avoir un certain délai de déploiement de cette ATU sur d'autres établissements de santé.

Le représentant de la SFH a rappelé que les principales toxicités attendues (syndrome de relargage des cytokines et neurotoxicité) sont similaires à celles des autres CAR-T cells disponibles sur le marché dans d'autres indications thérapeutiques.

Les représentants de l'Intergroupe Francophone du Myélome (IFM) ont exprimé leur inquiétude quant au nombre de médicaments produits prévus par le laboratoire a priori très inférieur au nombre de patients susceptibles d'en bénéficier dans le cadre de l'ATU de cohorte. Il s'agit d'un médicament d'intérêt thérapeutique majeur.



L'Association Française des Malades du Myélome Multiple (AF3M) a exprimé l'attente des malades. Ce CAR-T cells représentant une source d'espoir pour eux. Un point d'attention a, de nouveau, été porté sur l'égalité d'accès pour tous les patients.

L'un des représentants de l'IFM a précisé le positionnement de ce médicament par rapport au Belantamab après un échec des tri-thérapies +/- greffe.

Enfin, le CSP a confirmé que ce médicament s'insère dans la stratégie thérapeutique de traitement des patients atteints d'un myélome multiple.

### Conclusions du CSP

#### Question posée :

Le CSP Onco-Hématologie est sollicité sur la soumission du dossier d'ATU de cohorte de Abecma dans le traitement de patients adultes atteints d'un myélome multiple en rechute et réfractaire, ayant reçu au moins trois traitements antérieurs, incluant un agent immunomodulateur, un inhibiteur du protéasome et un anticorps anti-CD38, et dont la maladie a progressé pendant le dernier traitement.

#### Votes

Nombre de votants	12
Nombre d'avis favorables	12
Nombre d'avis défavorables	0
Nombre d'abstention	0

#### Explication des votes

Avis majoritaires	
Avis minoritaires	

#### Conclusions

Le CSP Onco-Hématologie a émis un avis favorable à l'unanimité des membres présents à la mise à disposition de Abecma dans le cadre d'une ATU de cohorte dans l'indication suivante :

Traitement des patients adultes atteints d'un myélome multiple en rechute et réfractaire, ayant reçu au moins trois traitements antérieurs, incluant un agent immunomodulateur, un inhibiteur du protéasome et un anticorps anti-CD38, et dont la maladie a progressé pendant le dernier traitement.

#### Références documentaires



### Dossiers

---

#### - ATU de cohorte d'extension d'indication Vyxeos liposomal

Numéro/type/nom du dossier	Vyxeos liposomal
Laboratoire(s) autres	Novartis
Direction produit concernée	DMM1 - Pôle oncohématologie, hématologie, néphrologie
Expert(s)	
Evaluateur(s) en charge du dossier	

#### Présentation du dossier

---

Le laboratoire Jazz Pharmaceuticals a présenté les données en vue d'une demande d'ATU de cohorte initiale pour Vyxeos (daunorubicine et cytarabine).

Indication proposée : « Vyxeos® liposomal est indiqué pour le traitement des patients pédiatriques et des jeunes adultes âgés de 1 à 21 ans et présentant une leucémie aiguë myéloblastique en rechute ou réfractaire ».

## Conclusions du CSP

---

**Question posée :** Le CSP Onco-Hématologie est sollicité sur la soumission du dossier d'ATU de cohorte d'extension de Vyxeos liposomal dans le traitement des patients pédiatriques et des jeunes adultes âgés de 1 à 21 ans et présentant une leucémie aiguë myéloblastique en rechute ou réfractaire.

### Votes

Nombre de votants	10
Nombre d'avis favorables	9
Nombre d'avis défavorables	0
Nombre d'abstention	1

### Explication des votes

Avis majoritaires	
Avis minoritaires	

### Conclusions

Le CSP Onco-Hématologie a émis un avis favorable pour l'ATU de cohorte Vyxeos.

### Références documentaires