

Modèle de protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD)

Accès précoce – SCEMBLIX (asciminib)

La demande	
Spécialité	SCEMBLIX 20mg ou 40mg, comprimés pelliculés
DCI	asciminib
Indication	Traitement en monothérapie des patients adultes atteints de leucémie myéloïde chronique (LMC) en phase chronique sans mutation T315I : <ul style="list-style-type: none">- précédemment traités par tous les inhibiteurs de tyrosine kinase (ITK) disponibles sur le marché et ayant rechuté, ou réfractaires ou intolérants aux ITK d'après l'évaluation du médecin ; ou- ayant été précédemment traités par au moins 3 ITK et pour qui le traitement par les ITK restants est contre-indiqué.
Date d'octroi	14/04/2022
Périodicité des rapports de synthèse	8 mois (le prochain rapport de synthèse devra être disponible dans le dossier de renouvellement d'accès précoce)
Renseignements administratifs	
Contact laboratoire titulaire ou CRO	Société ITEC Services (Excelya Bordeaux) 7 Avenue Pierre Mendès France 33270 Floirac, pour le compte de Novartis Tél : 08 05 38 58 30 Fax : 05 57 77 85 01
CRPV en charge du suivi de l'accès précoce, le cas échéant	CRPV de Brest
Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire	global.privacy_office@novartis.com

Dernière date de mise à jour : 27/04/2022

Retrouvez toutes les informations sur ce médicament en accès précoce sur le RCP du médicament disponible sur les sites internet de [la HAS](#) et [de l'ANSM](#)



Sommaire

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur	4
Le médicament	6
Calendrier des visites	8
Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients	9
Annexes	10
Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données	10
Annexe 2. Rôle des différents acteurs	23
Annexe 3. Documents d'information à destination des patients avant toute prescription d'un médicament en accès précoce : SCEMBLIX (asciminib)	27
Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières	40

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur

Vous souhaitez prescrire ou dispenser un médicament au potentiel innovant disponible au titre d'une autorisation d'accès précoce et d'une prise en charge dérogatoire par l'Assurance maladie.

Cette autorisation vous engage à :

 RESPECTER les conditions d'utilisation, en particulier l'indication thérapeutique	 INFORMER le patient des bénéfices attendus et des risques liés à l'utilisation de ce médicament, du cadre spécifique de cette prescription, de son caractère dérogatoire et provisoire et lui préciser son rôle dans le recueil de données*	 RECUEILLIR et TRANSMETTRE au laboratoire toutes les données cliniques demandées en vue de leur analyse par les autorités sanitaires	 DÉCLARER tout effet indésirable et situations particulières sur signalement.social-sante.gouv.fr (si AMM) ou directement auprès de l'industriel (pré-AMM)
--	--	---	---

Participer à cette démarche, c'est permettre au patient de bénéficier du traitement dans les meilleures conditions et contribuer au développement des connaissances scientifiques.

* Une autorisation d'accès précoce est toujours temporaire, délivrée pour une durée d'un an renouvelable. Elle peut être retirée ou suspendue en fonction des nouvelles données disponibles. La poursuite du traitement est toutefois possible pour les patients en cours de traitement.

Le 14/04/2022, la Haute Autorité de santé (HAS) a délivré une autorisation d'accès précoce, après avis de l'Agence Nationale de Sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) concernant le rapport bénéfice/risque présumé, pour le médicament SCEMBLIX (asciminib) dans l'indication : Traitement en monothérapie des patients adultes atteints de leucémie myéloïde chronique (LMC) en phase chronique sans mutation T315I : précédemment traités par tous les inhibiteurs de tyrosine kinase (ITK) disponibles sur le marché et ayant rechuté, ou réfractaires ou intolérants aux ITK d'après l'évaluation du médecin ; ou ayant été précédemment traités par au moins 3 ITK et pour qui le traitement par les ITK restants est contre-indiqué. Ce médicament ne dispose pas encore d'une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM).

Cette décision est susceptible d'évoluer (maintien, modification ou retrait) en fonction des nouvelles données. En cas de retrait ou de suspension, un dispositif de continuité de prise en charge des patients en cours de traitement est prévu.

Ce dispositif remplace l'ancien système des autorisations temporaires d'utilisation (ATU) de cohorte et de prise en charge temporaire post-AMM (PECT). Pour plus d'informations sur le dispositif d'accès précoce, veuillez consulter [le site internet de la HAS](#).

L'accès précoce est une procédure permettant l'utilisation, à titre exceptionnel, d'un médicament dans une indication précise soit avant la délivrance d'une AMM, soit dans l'attente de sa prise en charge par l'Assurance maladie au titre de son AMM, dès lors que toutes les conditions suivantes sont remplies :

- la maladie est grave, rare ou invalidante ;
- il n'existe pas de traitement approprié ;
- l'efficacité et la sécurité de ce médicament, pour l'indication considérée, sont fortement présumées au vu des résultats des essais thérapeutiques ;
- le médicament est présumé innovant ;
- la mise en œuvre du traitement ne peut être différée.

Cette autorisation d'accès précoce est subordonnée au respect d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données (PUT-RD), présent document, dont les objectifs sont les suivants :

Apporter aux prescripteurs et aux patients toute l'information pertinente sur le médicament et son utilisation. À cette fin vous trouverez dans ce document :

- une description du médicament ainsi que des conditions d'utilisation et de prescription complétée par le RCP du médicament : Sites internet de la HAS : Haute Autorité de Santé - Avis et décisions sur les médicaments (has-sante.fr) et de l'ANSM : ATU de cohorte et AAP en cours - ANSM (sante.fr) ;
- des notes d'information que le prescripteur doit remettre au patient avant toute prescription du médicament (voir [annexe III](#)) ;

Organiser la surveillance des patients notamment via le recueil des effets indésirables/situations particulières auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I

Recueillir également des données relatives à l'utilisation du médicament en vie réelle afin d'évaluer en continu les critères permettant le maintien de l'autorisation d'accès précoce susvisée. L'analyse de ces données permettra également, à termes, de contribuer à l'évaluation de ce médicament par la commission de la transparence en vue de sa prise en charge pérenne par l'Assurance maladie. Les prescripteurs et les pharmaciens sont tenus de participer au recueil de ces informations et de les transmettre aux laboratoires. **Une convention entre le titulaire et l'établissement peut définir les modalités de dédommagement de l'établissement pour le temps consacré à la collecte de données**¹.

¹ Conformément au II de l'article R5121-70 du Code de la Santé Publique

Le médicament

Cette section résume les principales caractéristiques du médicament et ses conditions d'utilisation. Outre ces informations, avant que soit prescrit ou dispensé un médicament dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce, il est impératif de se référer au RCP disponible sur les sites internet de [la HAS](#) et [de l'ANSM](#)

Spécialités concernées

SCEMBLIX (asciminib) 20 mg comprimés pelliculés

SCEMBLIX (asciminib) 40 mg comprimés pelliculés

Caractéristiques du médicament

L'asciminib est un inhibiteur puissant de la tyrosine kinase ABL/BCR-ABL1. L'asciminib inhibe l'activité kinase d'ABL1 de la protéine de fusion BCR-ABL1, en ciblant spécifiquement la poche du myristoyl d'ABL.

Indication

Traitement en monothérapie des patients adultes atteints de leucémie myéloïde chronique (LMC) en phase chronique sans mutation T315I :

- précédemment traités par tous les inhibiteurs de tyrosine kinase (ITK) disponibles sur le marché et ayant rechuté, ou réfractaires ou intolérants aux ITK d'après l'évaluation du médecin ; ou
- ayant été précédemment traités par au moins 3 ITK et pour qui le traitement par les ITK restants est contre-indiqué.

Posologie

La dose quotidienne totale recommandée d'asciminib est de 80 mg. Asciminib doit être pris par voie orale à raison de 40 mg deux fois par jour à environ 12 heures d'intervalle.

Toute modification du schéma posologique sera réalisée à la discrétion du prescripteur, si nécessaire pour la prise en charge du patient.

Pour tout ajustement posologique faisant suite à la survenue d'événements indésirables, veuillez-vous référer au RCP rubrique 4.2.

Les comprimés doivent être pris par voie orale en dehors des repas. La consommation d'aliments doit être évitée pendant au moins 2 heures avant et 1 heure après la prise d'asciminib.

Conditions de prescription et de délivrance

En complément des conditions de prescription et de délivrance, se rapporter à [l'annexe II](#) pour plus d'informations sur les mentions obligatoires à porter sur l'ordonnance.

- Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement
- Médicament soumis à prescription hospitalière.
- Prescription réservée aux spécialistes en hématologie ou aux médecins compétents en maladies du sang.

Calendrier des visites

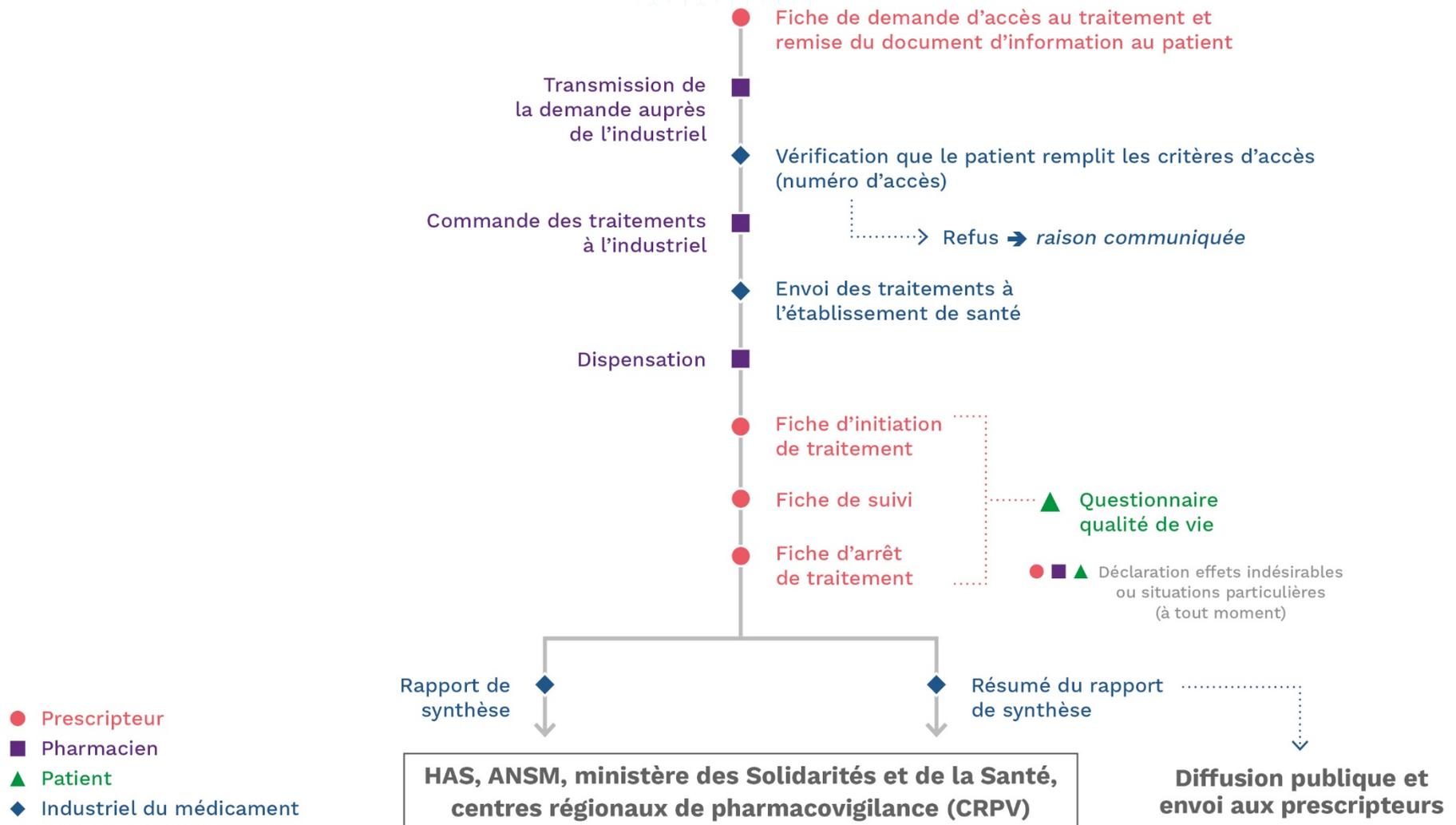
	Demande d'accès au traitement	Première administration ¹	Suivi du traitement (M1, M2, M3, M6, M9, M12...) et/ou arrêt
Remise de la note d'information destinée au patient par le médecin prescripteur	X		
Collecte de données sur les caractéristiques des patients			
Déclaration de conformité médicale aux critères d'éligibilité	X	X	X ²
Bilan biologique	X		
Antécédents de traitement et histoire de la maladie	X		
Test de grossesse (si applicable)	X		
Collecte de données sur les conditions d'utilisation			
Posologie		X	X
Interruption de traitement			X
Collecte de données d'efficacité			
Données de survie			X ³
Données d'arrêt de traitement toutes causes			X
Auto-questionnaire de qualité de vie (MDASI-CML)		X	X
Collecte de données de tolérance/situations particulières			
Suivi des effets indésirables/situation particulières		X	X

¹ Uniquement pour les patients initiés dans le cadre de l'accès précoce.

² Uniquement lors de la 1^{ère} visite de suivi dans le cadre de l'accès précoce pour les patients issus de l'ATU nominative/accès compassionnel avec PUT.

³ Dans la fiche d'arrêt définitif ou de non-initiation de traitement

Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients



Annexes

Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données

Mode de collecte des données :

Les fiches suivantes sont à remplir électroniquement :

- [Fiche de demande d'accès au traitement](#)
- Fiche d'initiation de traitement : dès la 1ère administration de traitement
- Fiches de suivi de traitement : lors des visites après la 1ère [administration](#)
- [Fiche d'arrêt de traitement](#) : en cas d'arrêt définitif ou de non-initiation de traitement
- Fiche de déclaration des effets indésirables ou situation particulière hors grossesse (si applicable)
- Fiche de signalement d'une grossesse (si applicable)

Le questionnaire de qualité de vie est à compléter par tous les patients initiant le traitement dans le cadre de l'accès précoce. Il est disponible au format papier en annexe I et sera à remettre au patient le jour de la visite d'initiation puis à chaque visite de suivi. Le patient doit le compléter avant la première prise d'asciminib puis à chaque visite. Une fois le questionnaire rempli, le patient devra le renvoyer à la CRO Excelya en charge de la collecte des données, à l'aide de l'enveloppe T fournie.

Fiche de demande d'accès au traitement

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Date de la demande : __/__/____

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : |_|_|_| Prénom (2 premières lettres) : |_|_|

Date de naissance : __/__/__ (MM/AAAA) Poids (kg) : |_|_|_| Taille (cm) : |_|_|_|

Sexe : M F

Si femme en âge de procréer, se référer au paragraphe 4.6 du RCP

L'accès précoce ne remplace pas l'essai clinique, le prescripteur doit vérifier que le patient n'est pas éligible à un essai clinique dont les inclusions sont ouvertes en France. Pour plus d'information consulter <https://www.clinicaltrialsregister.eu/> ou <https://clinicaltrials.gov/>.

Possibilité d'inclure le patient dans un essai clinique en cours dans l'indication qui fait l'objet de l'accès précoce ? Oui Non

Si oui, orientez le patient vers l'essai clinique.

Maladie

Diagnostic et état du patient

Diagnostic : _____ Date du diagnostic initial : __/__/__ (MM/AAAA)

Leucémie Myéloïde Chronique (LMC)

En phase : chronique accélérée blastique

Etat actuel du patient :

Taux du transcrit BCR-ABL1 : |_|_|_|, |_|_|_| %

Réponse hématologique complète : oui non non évaluée

Réponse cytogénétique complète : oui non non évaluée

Si non, veuillez préciser : partielle (Ph+ 1% à 35%)

mineure (Ph+ 36% à 65%)

minime (Ph+ 66% à 95%)

aucune (Ph+ > 95%)

Bilan clinique : Un ECG doit être réalisé avant d'instaurer le traitement par asciminib.

Si ECG réalisé :

Normal : Oui Non

Traitements antérieurs par ITK

Traitements antérieurs ou en cours de la maladie : Oui Non

↳ Si oui, nombre de lignes de traitement précédemment reçues : | _ | _ |

Ligne de traitement	Nom/DCI du produit ou association de produit
1	<input type="checkbox"/> Imatinib <input type="checkbox"/> Nilotinib <input type="checkbox"/> Dasatinib <input type="checkbox"/> Bosutinib <input type="checkbox"/> Ponatinib
2	<input type="checkbox"/> Imatinib <input type="checkbox"/> Nilotinib <input type="checkbox"/> Dasatinib <input type="checkbox"/> Bosutinib <input type="checkbox"/> Ponatinib
3	<input type="checkbox"/> Imatinib <input type="checkbox"/> Nilotinib <input type="checkbox"/> Dasatinib <input type="checkbox"/> Bosutinib <input type="checkbox"/> Ponatinib
4	<input type="checkbox"/> Imatinib <input type="checkbox"/> Nilotinib <input type="checkbox"/> Dasatinib <input type="checkbox"/> Bosutinib <input type="checkbox"/> Ponatinib
5	<input type="checkbox"/> Imatinib <input type="checkbox"/> Nilotinib <input type="checkbox"/> Dasatinib <input type="checkbox"/> Bosutinib <input type="checkbox"/> Ponatinib

Biologie

Un hémogramme complet, avec numération et formule leucocytaire, doit être pratiqué avant l'instauration du traitement par SCEMBLIX (se référer au RCP, section 4.2).

Traitement par SCEMBLIX (asciminib)

Concernant l'utilisation du médicament notamment les mises en garde spéciales, précautions d'emploi et contre-indications, veuillez-vous référer au RCP du médicament disponible sur les sites internet de [la HAS](#) et [de l'ANSM](#)

Posologie et durée envisagée

La dose quotidienne totale recommandée d'asciminib est de 80 mg. Asciminib doit être pris par voie orale à raison de 40 mg deux fois par jour à environ 12 heures d'intervalle.

Toute modification du schéma posologique est laissée à la discrétion du prescripteur, selon les besoins de la prise en charge du patient.

Pour tout ajustement posologique faisant suite à la survenue d'événements indésirables, veuillez-vous référer au RCP rubrique 4.2.

Les comprimés doivent être pris par voie orale en dehors des repas. La consommation d'aliments doit être évitée pendant au moins 2 heures avant et 1 heure après la prise d'asciminib.

Engagement du prescripteur

Critères d'éligibilité

Pour être éligible à l'accès précoce, le patient doit remplir l'ensemble des critères suivants :

- Patients adultes atteints de leucémie myéloïde chronique (LMC) en phase chronique sans mutation T315I :
 - Précédemment traités par tous les inhibiteurs de tyrosine kinase (ITK) disponibles sur le marché et ayant rechuté, ou réfractaires ou intolérants aux ITK d'après l'évaluation du médecin ;
 - Ou ayant été précédemment traités par au moins 3 ITK et pour qui le traitement par les ITK restants est contre-indiqué.

Critères de non-éligibilité

Le patient est non éligible à l'accès précoce s'il remplit l'un des critères ci-dessous :

- Patient présentant une contre-indication ou une hypersensibilité à asciminib ou à l'un des excipients du médicament.

Je certifie que le patient remplit les critères d'éligibilité ci-dessus :

Oui Non

Si, au regard de ces critères, le patient n'est pas éligible à l'accès précoce, le prescripteur peut, par l'intermédiaire du pharmacien de l'établissement de santé, faire d'emblée une demande d'autorisation d'accès compassionnel auprès de l'ANSM en justifiant la demande.

J'ai remis les documents d'information au patient (disponibles en [annexe III](#)) et certifie que le patient a été informé de la collecte de ses données personnelles : Oui Non

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	
Hôpital :	Hôpital :
<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé	<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé
Département : __ __	Département : __ __
Numéro FINESS : _____	Numéro FINESS : _____
Tél : Numéro de téléphone.	Tél : Numéro de téléphone.
E-mail : xxx@domaine.com	E-mail : xxx@domaine.com
Date : __/__/____	Date : __/__/____
<input type="checkbox"/> J'atteste l'authenticité des données	<input type="checkbox"/> J'atteste l'authenticité des données
Le prescripteur, en cochant cette case, s'engage sur l'authenticité des données.	Le pharmacien, en cochant cette case, s'engage sur l'authenticité des données.

Chez Novartis, nous veillons à la protection de vos données personnelles. Toutes les informations concernant le traitement de ces données sont disponibles ici : www.novartis.fr/notice-information. En résumé : Novartis Pharma S.A.S. utilise les données collectées afin d'assurer la gestion de sa relation avec les professionnels de santé et répondre à ses obligations. Elles seront conservées pour une durée conforme à la réglementation. Vous disposez d'un droit d'accès, de rectification, d'obtenir la limitation du traitement de vos données personnelles et de donner des directives sur le sort de vos données après votre décès. Vous ne disposez ni du droit d'opposition, ni du droit à l'effacement des données, ni du droit à la portabilité des données. Si vous souhaitez nous adresser une question à ce sujet et/ou exercer vos droits, veuillez nous contacter à : droit.information@novartis.com. Vous pouvez soumettre une réclamation à notre délégué à la protection des données en écrivant à global.privacy_office@novartis.com, et auprès de la CNIL (<https://www.cnil.fr/>) en cas de violation de vos droits.

Encadré réservé à la cellule ATU asciminib au nom du laboratoire (si absence de plateforme électronique) :

Demande acceptée ; Numéro patient d'accès précoce : _____

Request N° : RN | _____ |

Demande refusée ; Motif du refus : _____

Date : __/__/____

Fiche d'initiation de traitement

(Première administration)

À remplir par le prescripteur / pharmacien

Date de la visite : __/__/____

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : |_|_|_| Prénom (2 premières lettres) : |_|_|

N° patient d'accès précoce : |_|_|_|_|_|_|_|

Request N° : RN |_|_|_|_|_|_|_|

Maladie et biologie

Des modifications majeures sont-elles survenues depuis la demande d'accès précoce ?

Oui Non

Engagement du prescripteur

Je confirme que le patient remplit toujours les critères d'éligibilité à l'accès précoce : Oui Non

Si le patient ne remplit plus les critères d'éligibilité de l'accès précoce, le prescripteur ne peut initier le traitement de son patient dans le cadre de l'accès précoce mais peut par l'intermédiaire du pharmacien de l'établissement de santé, faire une demande d'accès compassionnel en la justifiant.

Conditions d'utilisation

Date de 1^{ère} administration : __/__/____

Posologie et durée prescrite du traitement

La dose quotidienne totale recommandée d'asciminib est de 80 mg. Asciminib doit être pris par voie orale à raison de 40 mg deux fois par jour à environ 12 heures d'intervalle.

Posologie : _____mg/jour

Les comprimés doivent être pris par voie orale en dehors des repas. La consommation d'aliments doit être évitée pendant au moins 2 heures avant et 1 heure après la prise d'asciminib.

Concernant l'utilisation du médicament notamment les mises en garde spéciales, précautions d'emploi et contre-indications, veuillez-vous référer au RCP du médicament disponible sur les sites internet de [la HAS](#) et [de l'ANSM](#)

Évaluation de l'effet du traitement par SCEMBLIX (asciminib)

Qualité de vie (MDASI-CML)

À compléter par le patient par auto-questionnaire en annexe I.

Le questionnaire de qualité de vie est à compléter par tous les patients initiant le traitement dans le cadre de l'accès précoce. Il est disponible au format papier en annexe I et sera à remettre au patient le jour de la visite d'initiation puis à chaque visite de suivi. Le patient doit le compléter avant la première prise d'asciminib puis à chaque visite. Une fois le questionnaire rempli, le patient

devra le renvoyer à la CRO Excelya en charge de la collecte des données, à l'aide de l'enveloppe T fournie.

Est-ce que le questionnaire de qualité de vie a été remis au patient ? oui non

Effet(s) indésirable(s)/ Situation(s) particulière(s)

Y a-t-il eu apparition d'effet(s) indésirable(s) immédiat(s) suspecté(s) d'être lié(s) au traitement ou une situation particulière à déclarer ?

Oui Non

Si oui, procéder à leur déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I.

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	Hôpital :
Hôpital :	<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé
<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé	Département : ____
Département : ____	Numéro FINESS : _____
Numéro FINESS : _____	Tél : Numéro de téléphone.
Tél : Numéro de téléphone.	E-mail : xxx@domaine.com
E-mail : xxx@domaine.com	Date : __/__/____
Date : __/__/____	<input type="checkbox"/> J'atteste l'authenticité des données
<input type="checkbox"/> J'atteste l'authenticité des données	Le pharmacien, en cochant cette case, s'engage sur l'authenticité des données.
Le prescripteur, en cochant cette case, s'engage sur l'authenticité des données.	

Fiche de suivi de traitement

(Visites après la première administration)

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Pour rappel, la collecte des données continue après l'arrêt de traitement jusqu'à la fin de l'accès précoce

Date de la visite : ___/___/____

- Suivi trimestriel du : Mois 1 Mois 2 Mois 3 Mois 6 Mois 9
 Mois 12 Mois 15 Mois 18 Mois 21 Mois 24 Mois 27
 Autre mois

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : |_|_|_| Prénom (2 premières lettres) : |_|_|

N° patient d'accès précoce : |_|_|_|_|_|_|_|_| Request N° : RN _____

Patient issu de l'ATU nominative/accès compassionnel avec PUT (à cocher uniquement lors de la première visite de suivi dans le cadre de l'accès précoce) : Oui Non

Si oui :

- le patient satisfait les critères d'éligibilité de l'accès précoce : Oui Non

Pour rappel, ces critères sont les suivants :

Patients adultes atteints de leucémie myéloïde chronique (LMC) en phase chronique sans mutation T315I :

- précédemment traités par tous les inhibiteurs de tyrosine kinase (ITK) disponibles sur le marché et ayant rechuté, ou réfractaires ou intolérants aux ITK d'après l'évaluation du médecin ; ou
 - ayant été précédemment traités par au moins 3 ITK et pour qui le traitement par les ITK restants est contre-indiqué.
- merci de compléter la fiche de suivi correspondante en vous basant sur la date d'initiation du traitement.

Conditions d'utilisation

Date de l'administration : ___/___/____

Interruption/arrêt temporaire de traitement ou modification de posologie Oui Non

Si oui, préciser en complétant le tableau suivant :

¹ En cas d'interruption, la dose à indiquer dans le tableau est « 0 mg/jour »

² En cas d'effet indésirable, procéder à leur déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I

Nouvelle dose d'asciminib administrée ¹	Dates de début et de fin du palier de dose considéré	En cours	Raisons de la modification/interruption ? ¹ (à la date de début du palier de dose considéré)
_____ mg / jour	Du ___/___/___ au ___/___/___	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Apparition d'un effet indésirable ² suspecté d'être lié au traitement <input type="checkbox"/> Effet thérapeutique non satisfaisant <input type="checkbox"/> Autre raison non reliée au traitement
_____ mg / jour	Du ___/___/___ au ___/___/___	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Apparition d'un effet indésirable ² suspecté d'être lié au traitement <input type="checkbox"/> Effet thérapeutique non satisfaisant <input type="checkbox"/> Autre raison non reliée au traitement
_____ mg / jour	Du ___/___/___ au ___/___/___	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Apparition d'un effet indésirable ² suspecté d'être lié au traitement <input type="checkbox"/> Effet thérapeutique non satisfaisant <input type="checkbox"/> Autre raison non reliée au traitement
_____ mg / jour	Du ___/___/___ au ___/___/___	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Apparition d'un effet indésirable ² suspecté d'être lié au traitement <input type="checkbox"/> Effet thérapeutique non satisfaisant <input type="checkbox"/> Autre raison non reliée au traitement
...

Y a-t-il eu un arrêt définitif du traitement depuis le suivi précédent ?

Oui Non

Si Oui, compléter la « Fiche d'arrêt définitif ou de non-initiation de traitement » en plus de cette « Fiche de suivi de traitement »

Évaluation de l'effet du traitement par SCEMBLIX (asciminib)

Survie globale

Temps entre la date d'initiation du traitement par SCEMBLIX et la date de décès de toutes causes. Le statut vital des patients sera collecté pendant toute la durée du programme d'accès précoce via la fiche d'arrêt définitif de traitement (si le décès survient en cours de traitement). Le recueil de cette donnée spécifique sera aussi collecté si celui-ci survient après la fin du traitement. Après la fin du programme d'accès précoce, le statut vital des patients pourrait également être collecté.

Temps jusqu'à arrêt de traitement toutes causes

Temps entre la date d'initiation du traitement par SCEMBLIX et la date d'arrêt de traitement de toutes causes.

Qualité de vie (MDASI-CML)

À compléter par le patient par auto-questionnaire en [annexe I](#).

Le questionnaire de qualité de vie est à compléter par tous les patients initiant le traitement dans le cadre de l'accès précoce. Il est disponible au format papier en annexe I et sera à remettre au patient le jour de la visite d'initiation puis à chaque visite de suivi. Le patient doit le compléter avant la première prise d'asciminib puis à chaque visite. Une fois le questionnaire rempli, le patient devra le renvoyer à la CRO Excelya en charge de la collecte des données, à l'aide de l'enveloppe T fournie.

Est-ce que le questionnaire de qualité de vie a été remis au patient ?

oui non

Effet(s) indésirable(s)/Situation(s) particulière(s)

Y a-t-il eu apparition d'effet(s) indésirable(s) suspecté(s) d'être lié(s) au traitement ou une situation particulière à déclarer depuis la dernière visite ? Oui Non

Si oui, procéder à leur déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I.

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	Hôpital : _____
Hôpital : <input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé	<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé
Département : __ __	Département : __ __
N° FINESS : _____	N° FINESS : _____
Tél : Numéro de téléphone.	Tél : Numéro de téléphone.
E-mail : xxx@domaine.com	E-mail : xxx@domaine.com
Date : __/__/____	Date : __/__/____
<input type="checkbox"/> J'atteste l'authenticité des données	<input type="checkbox"/> J'atteste l'authenticité des données
Le prescripteur, en cochant cette case, s'engage sur l'authenticité des données.	Le pharmacien, en cochant cette case, s'engage sur l'authenticité des données.

Fiche d'arrêt définitif ou de non-initiation de traitement

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Date de l'arrêt définitif de traitement : __/__/____

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : |_|_|_| | Prénom (2 premières lettres) : |_|_|

N° patient d'accès précoce : |_|_|_|_|_|_|_|

Request N° : RN |_|_|_|_|_|_|_|

Posologie à l'arrêt du traitement : _____

Raisons de l'arrêt du traitement

Traitement par asciminib jamais initié

Survenue d'un effet indésirable suspecté d'être lié au traitement

| Procéder à sa déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I.

Survenue d'un effet indésirable non suspecté d'être lié au traitement

Grossesse

| En cas de grossesse, veuillez compléter la « Fiche de signalement de situations particulières » (Annexe I).

Progression de la maladie

Effet thérapeutique non satisfaisant

Décès

→ Date du décès : __/__/____ JJ/MM/AAAA

→ Raison du décès : Décès lié à un effet indésirable suspecté d'être lié au traitement

| Procéder à sa déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I.

Décès lié à la progression de la maladie

Autre raison : _____

Souhait du patient d'interrompre le traitement

Patient perdu de vue, préciser la date de dernier contact : __/__/____

Ne remplit plus les critères d'éligibilité, préciser : _____

Autre, préciser : _____

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	Hôpital : _____
Hôpital :	<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé
<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé	Département : __ __
Département : __ __	N° FINESS : _____
N° FINESS : _____	Tél : Numéro de téléphone.
Tél : Numéro de téléphone.	E-mail : xxx@domaine.com
E-mail : xxx@domaine.com	Date : __/__/____
Date : __/__/____	<input type="checkbox"/> J'atteste l'authenticité des données
<input type="checkbox"/> J'atteste l'authenticité des données	Le pharmacien, en cochant cette case,
Le prescripteur, en cochant cette case,	s'engage sur l'authenticité des données.
s'engage sur l'authenticité des données.	

Questionnaire qualité de vie

À compléter par le patient



French
MDASI-CML-CURRET

Fiche de déclaration des effets indésirables ou situation particulière hors grossesse



AP1
ABL001_Annexe_Fich

Fiche de signalement d'une grossesse



Questionnaire
Grossesse AP1 ascimi

Annexe 2. Rôle des différents acteurs

1. Rôle des professionnels de santé

1.1. Le prescripteur

L'accès précoce implique le strict respect des mentions définies dans le résumé des caractéristiques du produit notamment les indications, les contre-indications, les conditions de prescription et de dispensation, ainsi que l'information et le suivi prospectif des patients traités tels que prévus par le PUT-RD.

Avant tout traitement, le prescripteur :

prend connaissance du RCP et du présent PUT-RD ;

vérifie l'éligibilité de son patient au médicament disposant d'une autorisation d'accès précoce ;

informe, de manière orale et écrite via le document d'information disponible en [annexe III](#), le patient, son représentant légal, s'il s'agit d'un mineur, la personne chargée de la mesure de protection juridique, s'il s'agit d'un majeur faisant l'objet d'une mesure de protection juridique avec représentation relative à la personne, ou la personne de confiance que le patient a désignée :

- de l'absence d'alternative thérapeutique, des risques encourus, des contraintes et du bénéfice susceptible d'être apporté par le médicament ;
- du caractère précoce et dérogoire de la prise en charge par l'Assurance maladie du médicament prescrit dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce ;
- des modalités selon lesquelles cette prise en charge peut, le cas échéant, être interrompue,
- de la collecte de leurs données et de leurs droits relatifs à leurs données personnelles.

Lorsque l'autorisation d'accès précoce est délivrée dans une indication pour laquelle le médicament ne dispose pas d'une autorisation de mise sur le marché (AMM), le prescripteur précise que la prescription ne s'effectue pas dans le cadre d'une AMM mais d'une autorisation d'accès précoce. Le prescripteur veille à la bonne compréhension de ces informations.

complète la demande d'accès au traitement, en informe la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné qui la complète à son tour et la transmet au laboratoire exploitant l'autorisation d'accès précoce.

Après réception de l'avis favorable d'accès au traitement du laboratoire, le prescripteur informe le médecin traitant du patient.

Le prescripteur indique sur l'ordonnance l'une ou l'autre des mentions suivantes :

« prescription hors autorisation de mise sur le marché au titre d'une autorisation d'accès précoce » (pour les accès précoces pré-AMM) ;

ou

« prescription au titre d'une autorisation d'accès précoce » (pour les accès précoces post-AMM).

Le prescripteur est tenu de participer au recueil des données collectées dans le cadre du PUT-RD. Il transmet à l'entreprise qui assure l'exploitation du médicament les données de suivi des patients traités, selon des modalités assurant le respect du secret médical.

Lors de l'initiation du traitement, le prescripteur remplit la fiche d'initiation de traitement (J0 première administration) et planifie des visites de suivi (voir calendrier de suivi dans le PUT-RD) au cours desquelles il devra également :

- remplir la fiche de suivi correspondante,
- remettre au patient (initiant le traitement dans le cadre de l'accès précoce) le jour de la visite d'initiation puis à chaque visite de suivi, le questionnaire de qualité de vie accompagné de l'enveloppe T,
- rechercher la survenue d'effets indésirables et situations particulières, procéder à leur déclaration, le cas échéant selon les modalités prévues en [annexe IV](#),
- remplir la fiche d'arrêt définitif ou de non-initiation de traitement, le cas échéant.

Chaque fiche est envoyée systématiquement et sans délai à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné pour transmission au laboratoire.

1.2. Le pharmacien

Seules les pharmacies à usage intérieur d'un établissement de santé ou les pharmaciens ayant passé convention avec un établissement de santé peuvent délivrer les médicaments sous accès précoce.

Le pharmacien :

- complète la demande d'accès au traitement ainsi que les fiches préalablement remplies par le prescripteur lors de chaque visite, et les transmet au laboratoire exploitant l'autorisation d'accès précoce ;
- commande le médicament auprès du laboratoire ;
- assure la dispensation du médicament sur prescription du médecin ;
- déclare tout effet indésirable suspecté d'être lié au traitement et situations particulières qui lui seraient rapportés.

Le pharmacien est tenu de participer au recueil des données collectées dans le cadre du PUT-RD.

2. Rôle du patient

Tout patient :

- prend connaissance des informations délivrées par son médecin et notamment des documents d'information sur son traitement qui lui sont remis ([voir annexe III](#)) ;
- remplit les questionnaires de qualité de vie, si applicable ;
- informe les professionnels de santé de tout effet indésirable ou le déclare lui-même sur le portail : www.signalement-sante.gouv.fr.

3. Rôle du laboratoire

L'entreprise qui assure l'exploitation du médicament :

réceptionne les fiches de demandes d'accès au traitement, d'initiation et de suivi, et intègre les données dans sa base de suivi de l'accès précoce ;

vérifie que les patients répondent aux critères d'éligibilité de l'accès précoce (notamment en ce qui concerne les indications thérapeutiques et contre-indications) ;

adresse, au prescripteur et à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné, l'avis favorable d'accès au traitement ou l'avis défavorable ;

est responsable de traitement au sens du règlement général sur la protection des données (RGPD) ;

collecte et analyse toutes les informations recueillies dans le cadre du PUT-RD, notamment les données d'efficacité et de pharmacovigilance. Il établit selon la périodicité définie en 1^{er} page, le rapport de synthèse accompagné d'un projet de résumé qu'il transmet à la HAS et à l'ANSM et au CRPV en charge du suivi de l'accès précoce, puis transmet le résumé de ce rapport, publié par la HAS et l'ANSM, aux médecins, aux pharmacies à usage intérieur concernées ainsi qu'à l'ensemble des CRPV et Centres antipoison ;

respecte et applique les obligations réglementaires en matière de pharmacovigilance : il enregistre, documente, et déclare via Eudravigilance tout effet indésirable suspecté d'être dû au médicament selon les conditions prévues à l'article R. 5121-166 du Code de la santé publique et aux GVP Module VI (*Collection, management and submission of reports of suspected adverse reactions to medicinal products*) et dont il aurait été informé directement ;

contacte l'ANSM sans délai et le CRPV en charge du suivi en cas de signal émergent de sécurité (quels que soient le pays de survenue et le cadre d'utilisation du médicament concerné) ou de fait nouveau susceptible d'avoir un impact sur le rapport bénéfice/risque du médicament et nécessitant le cas échéant d'adresser rapidement une information aux utilisateurs du médicament en accès précoce (médecins, pharmaciens, patients), conformément aux GVP Module IX (*Emergent Safety Issues*) ;

finance le recueil des données dans le cadre de l'accès précoce, s'assure de l'assurance qualité et de la collecte rigoureuse exhaustive des données ;

s'assure du bon usage du médicament dans le cadre de l'accès précoce ;

approvisionne en conséquence la PUI et assure le suivi de lots ;

assure la continuité des traitements initiés dans le cadre de l'accès précoce dans les conditions visées à l'article L. 162-16-5-4 du Code de la Sécurité sociale.

4. Rôle des agences de santé (ANSM et HAS)

La HAS prend la décision d'autorisation d'accès précoce.

Lorsque le médicament, dans l'indication considérée, ne bénéficie pas encore d'une autorisation de mise sur le marché, cette décision est rendue après avis conforme de l'ANSM attestant de la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament dans l'indication concernée par l'accès précoce. L'avis conforme de l'ANSM, auxquels sont joints les RCP, notice et étiquetage, est annexé à la décision de la HAS.

Le PUT-RD, élaboré le cas échéant avec l'ANSM sur proposition du laboratoire, est annexé à la décision de la HAS.

La HAS et l'ANSM diffusent sur leurs sites internet leurs décisions et avis, le RCP, la notice, l'étiquetage et le PUT-RD ainsi que les résumés des rapports de synthèse.

À la suite de la délivrance de l'autorisation d'accès précoce :

la HAS et l'ANSM le cas échéant prennent connaissance des informations transmises par le laboratoire ainsi que par le CRPV en charge du suivi de l'accès précoce et prennent toute mesure utile de manière à assurer la sécurité des patients et le bon usage du médicament ; elles évaluent en collaboration avec le CRPV en charge du suivi les rapports périodiques de synthèse et publient le résumé de ces rapports établis par le laboratoire ;

l'ANSM informe sans délai le laboratoire et le CRPV en charge du suivi en cas de signal émergent de sécurité qui lui aurait été notifié ou déclaré directement qui pourrait remettre en cause l'accès précoce ;

la HAS peut être amenée à modifier le PUT-RD ou retirer/suspendre la décision d'accès précoce selon les données disponibles ;

en cas d'urgence, l'ANSM peut également suspendre temporairement la décision d'accès précoce pré-AMM pour des motifs de santé publique.

5. Rôle du CRPV en charge du suivi de l'accès précoce

Le centre régional de pharmacovigilance (CRPV) désigné en 1^{er} page assure le suivi de pharmacovigilance de l'accès précoce au niveau national. Il est destinataire (via le laboratoire) des rapports périodiques de synthèse et des résumés. Il effectue une analyse critique de ces documents afin d'identifier et d'évaluer les éventuels signaux de sécurité soulevés par le rapport de synthèse et valide le contenu du résumé. À cette fin, il peut demander au laboratoire de lui fournir toute information complémentaire nécessaire à l'évaluation.

Annexe 3. Documents d'information à destination des patients avant toute prescription d'un médicament en accès précoce : SCEMBLIX (asciminib)

Votre médecin vous a proposé un traitement par SCEMBLIX (asciminib) du laboratoire pharmaceutique NOVARTIS PHARMA S.A.S. dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce à un médicament.

Ce document a pour objectif de vous informer sur cette prescription et ce à quoi elle vous engage. Il complète les informations de votre médecin et vous aidera à prendre une décision à propos de ce traitement.

Qu'est-ce qu'une autorisation d'accès précoce à un médicament avant autorisation de mise sur le marché dans l'indication considérée ?

Des premières recherches jusqu'à la commercialisation, tout nouveau médicament doit franchir plusieurs étapes durant lesquelles il est évalué, dans une indication² donnée, pour savoir s'il est sûr et s'il apporte un réel bénéfice aux personnes malades.

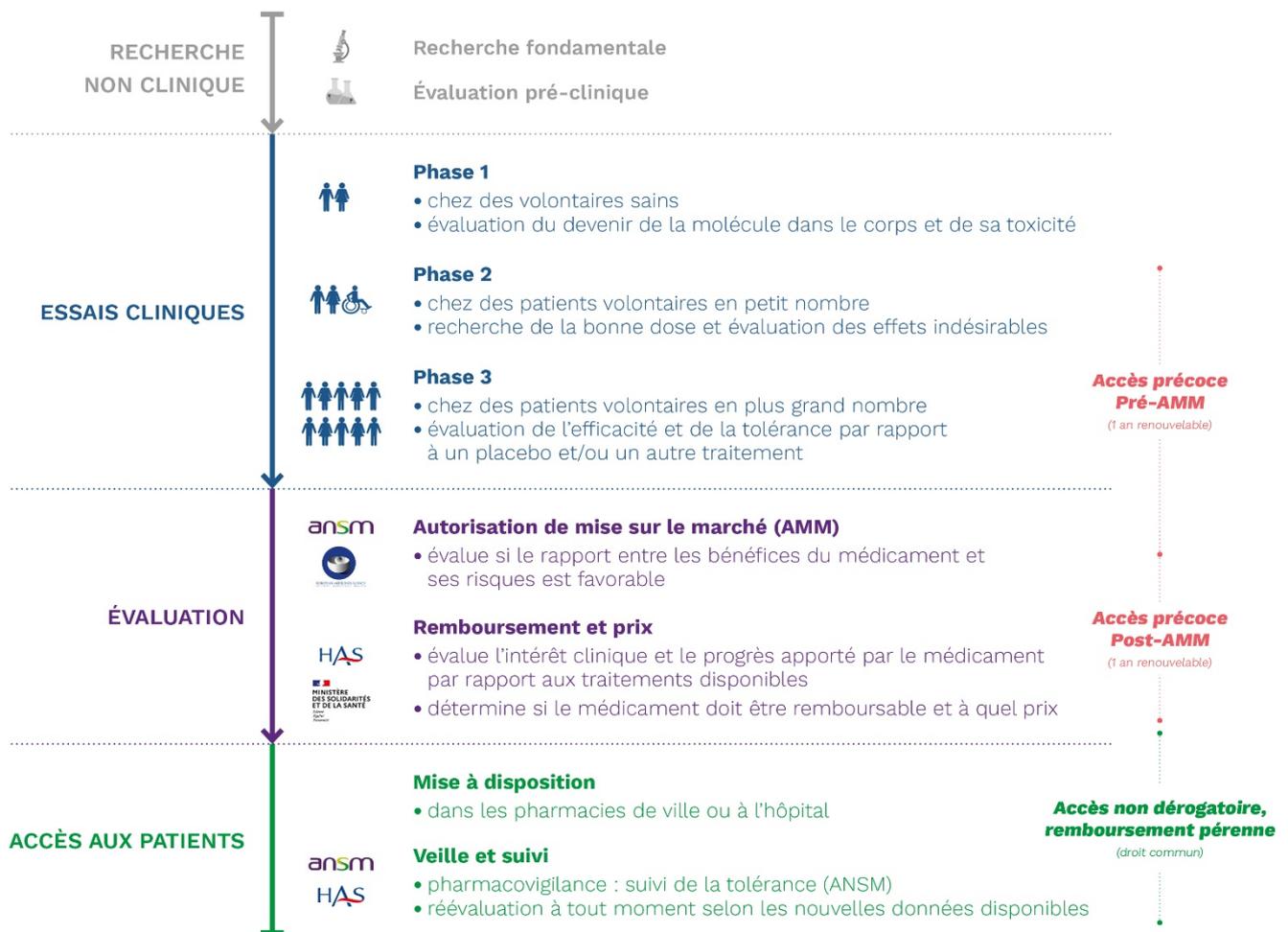
Ce parcours, depuis le début de la recherche fondamentale jusqu'à l'autorisation de mise sur le marché et la décision de remboursement et de prix, prend plusieurs années (voir schéma ci-dessous).

Une autorisation d'accès précoce permet à des personnes qui en ont un besoin urgent de prendre un médicament sans attendre qu'il ait franchi les dernières étapes.

C'est une solution pour qu'une personne qui a une maladie grave, rare ou invalidante reçoive rapidement un médicament lorsqu'il n'existe pas d'autre traitement approprié pour elle et que son état de santé ne permet pas d'attendre.

Les médicaments prescrits en accès précoce sont présumés innovants, ils sont susceptibles d'apporter un changement positif important aux personnes qui le prennent. Il s'agit par exemple du premier médicament disponible pour soigner cette maladie ou d'une nouvelle façon de prendre un traitement (par exemple des comprimés plutôt qu'une perfusion).

² Une « indication » est la maladie ou les symptômes que le médicament est capable de traiter.



Cette prescription en accès précoce est dite *dérogatoire*, ce qui veut dire que c'est une autorisation exceptionnelle accordée en dehors des règles habituelles qui s'appliquent aux médicaments en général.

L'accès précoce va de pair avec le recueil obligatoire de données pour s'assurer que le médicament est sûr et efficace en conditions réelles d'utilisation. Ces données sont recueillies par le laboratoire pharmaceutique auprès des médecins qui prescrivent le médicament, des pharmaciens qui le dispensent et des patients qui le prennent. Elles sont transmises de manière anonyme aux autorités de santé pour évaluer le médicament pendant l'accès précoce en vue de son autorisation de mise sur le marché et de son remboursement.

Les médicaments mis à disposition dans ce cadre sont intégralement pris en charge par l'Assurance maladie, sans avance de frais de votre part. Pour connaître les conditions de prise en charge d'éventuels autres frais, comme les déplacements et les hébergements, renseignez-vous auprès de l'équipe médicale qui vous suit.

Le médicament que l'on vous propose est-il sûr ? Est-ce que vous courez des risques en le prenant ?

Même si ce traitement n'a pas encore été totalement évalué et que l'étape des essais cliniques est encore en cours, les premiers résultats des recherches³ ont conduit à estimer que l'efficacité et la sécurité de ce médicament étaient fortement présumées dans l'indication considérée.

Un médicament est efficace quand il a des effets bénéfiques pour les personnes qui le prennent.

Un médicament est sûr lorsqu'il est bien toléré et n'a pas d'effets indésirables trop importants. Les effets indésirables sont les conséquences inattendues et désagréables du traitement (douleurs, nausées, diarrhée, etc.).

Ainsi, il est très probable que les effets indésirables de ce médicament ne soient pas trop importants par rapport au bénéfice attendu.

Cependant, dans le cas d'un médicament disposant d'une autorisation d'accès précoce, on ne sait pas encore tout sur les effets indésirables et l'efficacité du médicament dans l'indication considérée. Par conséquent, les risques pris par le patient sont plus grands pour ce médicament que pour les médicaments déjà commercialisés.

Vous pouvez en parler avec votre médecin. N'hésitez pas à poser toutes vos questions. Il vous donnera des informations sur les bénéfices et effets attendus de ce médicament dans votre situation, sur ses avantages, mais aussi sur les risques, les incertitudes ou les inconvénients (effets secondaires, contraintes de prise, etc.).

Vous pouvez aussi, en complément de ces informations, prendre connaissance de la notice du médicament dans sa boîte s'il y en a une ou sur le site internet de l'Agence nationale du médicament et des produits de santé (ANSM) - <https://ansm.sante.fr>

Vous pouvez noter ici ce qui est important pour vous (les questions que vous voulez poser à votre médecin, ce que vous ne voulez pas oublier de lui dire, etc.).

Voici les questions que certaines personnes ont posées à leur médecin :

- Que signifie être obligé de recueillir des données ? (voir plus loin, paragraphe « A quoi cela vous engage-t-il ») ;
- Existe-t-il d'autres traitements disponibles pour moi ?
- Quelle différence avec un essai clinique ?

Vous êtes libre d'accepter ou de refuser la prescription de ce médicament.

Après avoir échangé avec votre médecin, c'est à vous de décider. Vous pouvez prendre le temps de réfléchir et faire appel si besoin à la personne de confiance que vous avez désignée.

³ Il s'agit de recherches impliquant la personne humaine à des fins commerciales auxquelles il a été procédé en vue de la demande d'autorisation de mise sur le marché.

À tout moment, vous avez le droit de changer d'avis et de demander à ne plus prendre ce médicament. Il faut alors en informer votre médecin le plus tôt possible.

L'équipe qui vous suit doit vous apporter la même qualité de soins, quelle que soit votre décision. Vous ne serez pas pénalisé.

En pratique, comment allez-vous recevoir ce médicament ?

La présentation d'un médicament et son utilisation varient d'un médicament à l'autre : en perfusion, en gélules ou comprimés à avaler, en injection, en inhalations, etc. Demandez des précisions à votre médecin ou reportez-vous à la notice du médicament dans sa boîte s'il y en a une ou sur le site de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) - <https://ansm.sante.fr>.

L'utilisation de ce médicament est très encadrée, très précise. Si vous prenez ce médicament chez vous, il est important :

- de respecter les préconisations qui vous ont été données pour le prendre et le conserver (certains médicaments doivent être conservés au réfrigérateur, sont à prendre à distance des repas, etc.) ;
- de demander des précisions sur le lieu où vous pourrez le trouver. Les médicaments en accès précoce ne sont pas disponibles dans les pharmacies de ville, mais seulement dans des hôpitaux. Au besoin, demandez à l'équipe qui vous suit si votre médicament peut être disponible dans un hôpital près de chez vous.

À quoi cela vous engage-t-il ? Quelles seront vos contraintes ?

Comme il y a peu de recul sur le médicament qui vous est proposé dans l'indication considérée, son utilisation précoce est observée avec attention pour mieux l'évaluer et le connaître. Cette surveillance est décrite en détail dans le protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD) disponible sur le site internet de la Haute Autorité de santé (HAS), de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) et du ministère chargé de la Santé (voir les adresses des sites dans la partie « Pour en savoir plus »).

Votre retour sur ce traitement est essentiel. C'est pourquoi votre avis sur ce médicament et les effets qu'il a sur vous sera recueilli de deux façons : à chaque visite avec votre médecin et entre les visites.

À chaque consultation

- ➔ Votre médecin va vous poser des questions sur la façon dont vous vous sentez avec ce traitement et rassembler des données personnelles sur votre santé et vos habitudes de vie. Pour plus de détails sur les données personnelles recueillies et vos droits, vous pouvez lire le document intitulé « Accès précoce à un médicament - Traitement des données personnelles » (voir en fin de document la rubrique « Pour en savoir plus »).

Chez vous, entre les consultations

- ➔ Vous devrez remplir un questionnaire, en ligne ou sous format papier, qui porte sur votre qualité de vie avec le médicament : vos impressions sur le traitement, comment vous vous sentez, ce que le traitement vous apporte comme changement, etc. La forme du questionnaire, le rythme et les conseils pratiques pour le remplir vous seront transmis par l'équipe de soins.

Ce questionnaire de qualité de vie sera à remplir à l'initiation du traitement (avant la première prise d'asciminib) puis à chaque visite de suivi. Il est disponible au format papier et une lettre T préaffranchie vous est fournie pour envoi à la CRO Excelya en charge de la collecte des données.

Par ailleurs, il est important que vous déclariez les effets indésirables du médicament, c'est-à-dire les conséquences inattendues et désagréables du traitement que vous pourriez ressentir (douleurs, nausées, diarrhées, etc.).

En pratique

Si vous ne vous sentez pas comme d'habitude ou en cas de symptôme nouveau ou inhabituel : parlez-en à votre médecin, à votre pharmacien ou à votre infirmier/ère.

Vous pouvez, en complément, déclarer les effets indésirables, en précisant qu'il s'agit d'un médicament en accès précoce, directement via le système national de déclaration - site internet : www.signalement-sante.gouv.fr.

En partageant votre expérience de ce traitement, vous allez faire avancer les connaissances sur ce médicament, ce qui sera très utile dans la perspective de sa commercialisation éventuelle dans l'indication considérée.

Lorsque l'on vous prescrit un médicament dans le cadre d'un accès précoce, vous n'entrez pas dans un essai clinique. L'objectif principal est de vous soigner et non de tester le médicament. Vous n'avez donc pas à faire d'examens supplémentaires en plus de ceux prévus dans votre prise en charge habituelle.

Combien de temps dure une autorisation d'accès précoce à un médicament ?

Une autorisation d'accès précoce est toujours temporaire, dans l'attente que le médicament puisse être commercialisé et remboursé dans l'indication considérée.

L'autorisation d'accès précoce à un médicament avant son autorisation de mise sur le marché est délivrée pour une durée d'un an, renouvelable tous les ans jusqu'à sa prise en charge financière pérenne par l'Assurance maladie.

Elle peut être retirée ou suspendue dans des cas très particuliers, en fonction des nouvelles données, à la demande du laboratoire pharmaceutique ou des autorités de santé (pour plus d'informations sur ces retraits ou suspensions, reportez-vous au [guide intitulé « Accès précoce des médicaments : accompagnement des laboratoires » disponible sur le site de la Haute Autorité de santé](#)).

Que se passe-t-il si l'autorisation est suspendue ou retirée ?

Dans le cas où l'autorisation d'accès précoce de votre médicament serait retirée ou suspendue alors qu'il vous apporte des bénéfices, votre médecin pourra quand même continuer à vous le prescrire, si vous le souhaitez, pendant un an maximum à compter de la date de l'arrêté du ministre des Solidarités et de la Santé qui acte la fin de sa prise en charge financière par l'Assurance maladie.

Toutefois, ceci n'est pas possible si de nouvelles informations montrent que le médicament n'est pas assez sûr.

Traitement de vos données personnelles

Le traitement par un médicament prescrit dans le cadre d'un accès précoce implique le recueil de données personnelles concernant votre santé.

Vous trouverez des informations complémentaires relatives à vos droits dans la rubrique suivante : [« Accès précoce à un médicament – Traitement des données personnelles »](#).

Pour en savoir plus

- Notice du médicament que vous allez prendre ([à consulter sur le site de l'ANSM](#))
- Décision de la HAS sur cette autorisation d'accès précoce ([disponible sur le site de la HAS](#))
- Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données de votre médicament (en annexe de la décision de la HAS)
- [Informations générales sur les autorisations en accès précoce des médicaments](#)
- [Infographie sur le dispositif de l'accès précoce aux médicaments](#)

Des associations de patients impliquées dans la maladie qui vous concerne peuvent vous apporter aide et soutien. Renseignez-vous auprès de l'équipe médicale qui vous suit.

Association LMC France : <https://www.lmc-france.fr>

Association Laurette Fugain : <https://www.laurettefugain.org>

Ce document a été élaboré par la Haute Autorité de santé et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé, en collaboration avec des membres d'associations de patients, membres de France Assos Santé, France Lymphome Espoir, le TRT5-CHV et Eurordis ; il a été relu par des associations de patients & d'usagers, des professionnels de santé et des entreprises du médicament concernées par l'accès précoce aux médicaments.

Note d'information à destination des patients sur le traitement des données personnelles

Un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce vous a été prescrit. Ceci implique un traitement de données personnelles sur votre santé. Ces données personnelles sont des informations qui portent sur vous, votre santé, vos habitudes de vie.

Ce document vous informe sur les données personnelles qui sont recueillies et leur traitement, c'est-à-dire l'utilisation qui en sera faite. Le responsable du traitement des données est NOVARTIS PHARMA S.A.S. en tant que laboratoire titulaire de l'autorisation d'accès précoce.

Si vous avez bénéficié de ce médicament dans le cadre d'une Autorisation Temporaire d'Utilisation, les données précédemment collectées seront utilisées selon les conditions de l'accès précoce détaillées ci-dessous.

À quoi vont servir vos données ?

Pour pouvoir obtenir une autorisation d'accès précoce, un médicament doit remplir plusieurs critères : présenter plus de bénéfices que de risques, être présumé innovant, etc ⁴. Vos données personnelles et en particulier les informations sur votre qualité de vie avec le traitement, permettront d'évaluer en continu si ces critères sont toujours remplis.

À terme, elles permettront aussi d'évaluer le médicament en vue de sa prise en charge par l'Assurance maladie.

Vos données personnelles pourront-elles être réutilisées par la suite ?

Vos données personnelles pourront également être utilisées ensuite pour faire de la recherche, étude ou de l'évaluation dans le domaine de la santé.

Cette recherche se fera dans les conditions autorisées par le Règlement européen général sur la protection des données (RGPD) et la loi du 6 janvier 1978 modifiée dite loi « informatique et liberté » et après accomplissement des formalités nécessaire auprès de la CNIL. Dans ce cadre, elles pourront être utilisées de manière complémentaire avec d'autres données vous concernant. Cela signifie que vos données personnelles collectées au titre de l'accès précoce pourront être croisées avec des données du système national des données de santé (SNDS), qui réunit plusieurs bases de données de santé (telles que les données de l'Assurance maladie et des hôpitaux).

Vous pouvez vous opposer à cette réutilisation à des fins de recherche auprès du médecin prescripteur du médicament en accès précoce.

Les informations relatives à une nouvelle recherche à partir de vos données pourront être disponibles sur le site du *Health Data Hub* qui publie un résumé du protocole de recherche pour tous les projets qui lui sont soumis : <https://www.health-data-hub.fr/projets> et à l'adresse suivante : <https://www.novartis.fr/politique-de-confidentialite#notice>

⁴ Pour en savoir plus sur ces critères, voir le [site de la HAS](#).

Sur quelle loi se fonde le traitement des données ?

Ce traitement de données est fondé sur une obligation légale à la charge de l'industriel, responsable du traitement, (article 6.1.c du [RGPD](#)) telle que prévue aux articles [L. 5121-12 et suivants du Code de la santé publique](#) relatifs au dispositif d'accès précoce aux médicaments.

La collecte de données de santé est justifiée par un intérêt public dans le domaine de la santé (article 9.2.i) du RGPD).

Quelles sont les données collectées ?

Votre médecin et le pharmacien qui vous a donné le médicament seront amenés à collecter les données personnelles suivantes autant que de besoin aux fins de transmission au laboratoire pharmaceutique :

votre identification : numéro, la première lettre de votre nom et la première lettre de votre prénom, sexe, âge ou année et mois de naissance ou date de naissance complète si nécessaire dans un contexte pédiatrique ;

les informations relatives à votre état de santé : notamment l'histoire de votre maladie, vos antécédents personnels ou familiaux, vos autres maladies ou traitements ;

les informations relatives aux conditions d'utilisation du médicament impliquant notamment : l'identification des professionnels de santé vous prenant en charge (médecins prescripteurs et pharmaciens dispensateurs, etc.), vos autres traitements, les informations relatives aux modalités de prescription et d'utilisation du médicament ;

l'efficacité du médicament ;

la nature et la fréquence des effets indésirables du médicament (ce sont les conséquences inattendues et désagréables du traitement que vous pourriez ressentir, par exemple : douleur, nausées, diarrhées, etc.) ;

les motifs des éventuels arrêts de traitement.

Pour certains traitements, des données pourront être collectées auprès de vos proches (partenaire, ascendance, descendance, etc.), par exemple l'efficacité et la tolérance du traitement ou la qualité de vie de l'aidant.

Vous pourrez également être invité à compléter vous-même des questionnaires relatifs à votre qualité de vie.

Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités de NOVARTIS PHARMA S.A.S. et ses éventuels sous-traitants (société de recherche sous contrat) sous une forme pseudonymisées. Vous ne serez identifié que par la première lettre de votre nom et la première lettre de votre prénom, ainsi que par votre âge.

Vos données pourront également être transmises au personnel habilité des autres sociétés du groupe NOVARTIS auquel appartient NOVARTIS PHARMA S.A.S..

Ces informations seront traitées uniquement pour les finalités décrites ci-dessus. Un rapport de ces informations appelé rapport de synthèse ainsi qu'un résumé de ce rapport sont transmis par le laboratoire NOVARTIS PHARMA S.A.S. à la HAS, aux ministres chargés de la Santé et de la

Sécurité sociale et à l'Agence nationale de la sécurité des médicaments ainsi qu'au centre régional de pharmacovigilance désigné pour assurer au niveau national le suivi de l'accès précoce.

Le résumé de ces rapports est également susceptible d'être adressé aux médecins qui ont prescrit le médicament, aux pharmaciens qui l'ont délivré ainsi qu'aux centres antipoison.

Cette synthèse, ce rapport et ce résumé ne comprendront aucune information permettant de vous identifier.

Transferts hors Union européenne

Vos données pourront faire l'objet d'un transfert vers des organismes établis en dehors de l'Union européenne lorsque le transfert est strictement nécessaire à la mise en œuvre du traitement de vos données.

À cette fin, le laboratoire met en place les garanties nécessaires pour assurer la protection de vos droits en matière de protection des données personnelles, quel que soit le pays où vos données personnelles sont transférées.

Vos données personnelles peuvent être transmises à des entités du groupe NOVARTIS ou des prestataires de NOVARTIS situés dans des pays autres que la France, y inclus des pays situés en dehors de l'Union Européenne notamment à des fins d'hébergement, de gestion administrative ou d'analyse statistique, soit dans un pays disposant d'un niveau de protection adéquat (notamment la Suisse) soit dans un pays ne disposant pas d'un tel niveau de sécurité (comme l'Inde). Cependant dans ce cas, la sécurité de vos données personnelles sera assurée soit sur la base des règles internes d'entreprise du groupe Novartis, soit par la mise en œuvre de clauses contractuelles types approuvées par la Commission Européenne que vous pouvez obtenir en écrivant à droit.information@novartis.com.

Vous avez le droit de demander une copie de ces garanties au laboratoire pharmaceutique NOVARTIS PHARMA S.A.S..

Combien de temps sont conservées vos données ?

Vos données personnelles sont conservées pendant une durée de deux ans suivant l'approbation par l'ANSM du résumé du dernier rapport de synthèse prévu aux articles R. 5121-73-1 et R. 5121-76-1 du CSP pour une utilisation active. Les données seront ensuite archivées durant la durée de l'autorisation de mise sur le marché de la spécialité pharmaceutique concernée et jusque dix ans après l'expiration de cette autorisation. À l'issue de ces délais, vos données seront supprimées ou anonymisées.

Les données seront-elles publiées ?

La Haute Autorité de santé et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé publient sur leur site internet un résumé du rapport de synthèse des informations recueillies pour l'évaluation du médicament.

Des synthèses des résultats pourront par ailleurs être publiées dans des revues scientifiques.

Aucun de ces documents publiés ne permettra de vous identifier.

Quels sont vos droits et vos recours possibles ?

Le médecin qui vous a prescrit le médicament en accès précoce est votre premier interlocuteur pour faire valoir vos droits sur vos données personnelles.

Vous pouvez demander à ce médecin :

- à consulter vos données personnelles ;
- à les modifier ;
- à limiter le traitement de certaines données.

Si vous acceptez d'être traité par un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce, vous ne pouvez pas vous opposer à la transmission des données listées ci-dessus ou demander leur suppression. Le droit à l'effacement et le droit à la portabilité ne sont également pas applicables à ce traitement.

Vous pouvez cependant vous opposer à la réutilisation de vos données pour de la recherche.

Vous pouvez contacter directement votre médecin pour exercer ces droits.

Vous pouvez, par ailleurs, contacter le délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire à l'adresse suivante global.privacy_office@novartis.com pour exercer ces droits, ce qui implique la transmission de votre identité au laboratoire.

Vous pouvez également faire une réclamation à la Commission nationale de l'informatique et des libertés (CNIL) notamment sur son site internet www.cnil.fr.

Note d'information relatif au traitement des données personnelles à destination des prescripteurs, pharmaciens et professionnels impliqués dans l'accès précoce

Dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce, NOVARTIS PHARMA S.A.S., et ses éventuels sous-traitants, seront dans l'obligation d'effectuer un traitement de vos données personnelles.

Cette note d'information a pour objectif de vous informer sur vos droits et les modalités dont NOVARTIS PHARMA S.A.S., et ses éventuels sous-traitants, traiteront vos données personnelles.

Quelle est la Finalité du traitement de mes données personnelles ?

Le traitement de vos données personnelles a pour finalité la collecte, l'enregistrement, l'analyse, le suivi, la documentation, la transmission et la conservation des données relatives à l'accès, à l'initiation, au suivi et à l'arrêt des prescriptions de Asciminib conformément au Protocole d'Utilisation Thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD) approuvé par les autorités de santé, ainsi que la gestion de nos contacts avec vous.

Ce traitement de vos données personnelles est justifié par l'intérêt public de l'accès précoce et les obligations de NOVARTIS PHARMA S.A.S. dans la conduite de cet accès précoce conformément à la réglementation applicable et au PUT-RD.

Qui est le Responsable de traitement

Le responsable de traitement des données personnelles est : NOVARTIS PHARMA S.A.S., 8/10 Rue Henri Sainte Claire Deville, 92500 Rueil-Malmaison.

Quelles sont les données collectées ?

Dans le cadre de cet accès précoce, NOVARTIS PHARMA S.A.S. (ou ses sous-traitants), collectera des données permettant de vous identifier et comprenant : nom, prénom, spécialité, numéro d'inscription au répertoire partagé des professionnels de santé (RPPS), le type d'établissement, département, numéro FINESS, coordonnées professionnelles (courriels, téléphone), rôle dans le cadre de l'accès précoce ainsi que les documents et dates associées collectés dans le cadre de la conduite de l'accès précoce (fiches du PUT-RD, échanges, dates des demandes etc.) permettant de documenter la bonne conduite de l'accès précoce et le respect de la réglementation applicable.

Ces données sont celles transmises par vos soins ainsi que par les différents professionnels de santé impliqués dans la conduite de l'accès précoce.

Le traitement sera limité aux données indispensables à l'accès précoce et le traitement effectué sera limité à cette finalité.

Dans l'attente de la publication de nouveaux textes, le traitement de vos données personnelles sera réalisé dans le strict respect de l'Autorisation Unique 41, relatif aux traitements automatisés de données à caractère personnel par les entreprises ou organismes exploitant ou important des médicaments dans le cadre des autorisations temporaires d'utilisation (ATU) et recommandations temporaires d'utilisation (RTU), publiée par la CNIL pour laquelle Novartis a pris un engagement de conformité, le règlement européen RGPD et la loi informatique et libertés modifiée.

Qui sont les destinataires de mes données personnelles ?

Auront accès à vos données personnelles traitées dans le cadre de cet accès précoce les services suivants de NOVARTIS PHARMA S.A.S. ou de ses sous-traitants :

- le pharmacien responsable ou son représentant ainsi que toute personne dûment habilitée et placée sous sa responsabilité, et ce dans la limite de leurs missions et obligations relatives à l'accès précoce
- le responsable de la pharmacovigilance ainsi que les collaborateurs placés sous sa responsabilité, et ce dans la limite de leurs missions et obligations relatives à l'accès précoce
- les membres des services en charge des affaires médicales, de la recherche et du développement, des opérations cliniques, des affaires réglementaires, et ce dans la limite de leurs missions et obligations relatives à l'accès précoce
- les membres des services de biométries en charge du data management et des analyses statistiques, et ce dans la limite de leurs missions et obligations relatives à l'accès précoce
- les membres du service en charge de la gestion des commandes, de l'approvisionnement et de la distribution du médicament dans le cadre de l'accès précoce, et ce dans la limite de leurs missions et obligations relatives à l'accès précoce
- les membres du service de l'assurance qualité et de la compliance peuvent, de façon ponctuelle et motivée, avoir accès à ces données pour vérifier le respect des exigences réglementaires et des procédures internes.
- les sous-traitants de NOVARTIS PHARMA S.A.S. dans la limite de leurs missions et des clauses contractuelles.
- les collaborateurs du groupe NOVARTIS PHARMA S.A.S. dans la limite de leurs rôles et responsabilités et ce dans le respect de leurs obligations de secret professionnels.

Peuvent également avoir accès à vos données personnelles :

- les autorités de santé françaises, les autorités de santé d'autres pays, les centres régionaux de pharmacovigilance et les centres anti-poison dans le cadre de l'exercice de leurs missions telles que définies par les textes réglementaires applicables.

Quels sont mes droits et comment les exercer ?

Conformément à la loi informatique et libertés modifiée et au règlement (UE) no 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données, et abrogeant la directive 95/46/CE (règlement dit RGPD), vos droits d'accès, de rectification, à l'effacement, à la limitation du traitement, à la portabilité des données et d'opposition s'exercent à

tout moment auprès du responsable de traitement, conformément aux dispositions des articles 15, 16, 17, 18, 20 et 21 du RGPD. Vous pouvez également définir des directives sur le sort de vos données après votre décès. Pour exercer vos droits vous pouvez solliciter le Délégué à la protection des données de NOVARTIS à l'adresse suivante : droit.information@novartis.com.

Pour plus d'information vous pouvez également consulter les pages dédiées au traitement des données personnelles sur le site internet de NOVARTIS PHARMA S.A.S. : <https://www.novartis.fr/notices>.

Enfin, vous disposez également du droit d'introduire une réclamation auprès de la Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés (CNIL) en ligne (<https://www.cnil.fr>).

Quelle est la durée de conservation de mes données personnelles ?

La durée de conservation et d'archivage de vos données personnelles seront conformes aux obligations réglementaires applicables.

Mes données personnelles peuvent-elles et selon quelles modalités être transférées hors de France et de l'Union Européenne ?

Vos données personnelles peuvent être transmises à des entités du groupe NOVARTIS PHARMA S.A.S. ou des prestataires de NOVARTIS PHARMA S.A.S. situés dans des pays autres que la France, y inclus des pays situés en dehors de l'Union Européenne notamment à des fins d'hébergement, de gestion administrative ou d'analyse statistique, soit dans un pays disposant d'un niveau de protection adéquat (notamment la Suisse) soit dans un pays ne disposant pas d'un tel niveau de sécurité (comme l'Inde). Cependant dans ce cas, la sécurité de vos données personnelles sera assurée soit sur la base des règles internes d'entreprise du groupe NOVARTIS PHARMA S.A.S., soit par la mise en œuvre de clauses contractuelles types approuvées par la Commission Européenne que vous pouvez obtenir en écrivant à droit.information@novartis.com.

Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières

Qui déclare ?

Tout médecin, chirurgien-dentiste, sage-femme ou pharmacien ayant eu connaissance d'un effet indésirable/situation particulière susceptible d'être dû au médicament doit en faire la déclaration. Les autres professionnels de santé peuvent également déclarer tout effet indésirable suspecté d'être dû au médicament, dont ils ont connaissance.

Le patient ou son représentant mandaté (personne de confiance qu'il a désignée, associations agréées sollicitées par le patient) peut déclarer les effets indésirables/situations particulières qu'il, ou son entourage, suspecte d'être liés à l'utilisation du médicament.

Que déclarer ?

Tous les effets indésirables, graves et non graves, survenant dans des conditions d'utilisation conformes ou non conformes aux termes de l'autorisation, y compris en cas de surdosage, de mésusage, d'usage détourné, d'abus, d'erreur médicamenteuse, d'exposition professionnelle, d'interaction médicamenteuse, d'un défaut de qualité d'un médicament ou de médicaments falsifiés, d'une exposition en cours de grossesse (maternelle ou via le sperme), d'une exposition paternelle (altération potentielle des spermatozoïdes), d'une exposition au cours de l'allaitement.

En outre, il convient également de déclarer toute situation particulière :

- toute erreur médicamenteuse sans effet indésirable, qu'elle soit avérée, potentielle ou latente,
- toute suspicion d'inefficacité thérapeutique (partielle ou totale), en dehors des progressions naturelles de la maladie sous-jacente (en particulier avec les vaccins, les contraceptifs, les traitements de pathologies mettant en jeu le pronostic vital, les résistances inattendues à des traitements médicamenteux ou toute autre situation jugée cliniquement pertinente),
- toute suspicion de transmission d'agents infectieux liée à un médicament ou à un produit,
- toute exposition à un médicament au cours de la grossesse ou de l'allaitement sans survenue d'effet indésirable ;
- toute situation jugée pertinente de déclarer.

Quand déclarer ?

Tous les effets indésirables/situations particulières doivent être déclarés dès que le professionnel de santé ou le patient en a connaissance.

Comment et à qui déclarer ?

- **Pour les professionnels de santé :**
 - La déclaration se fait via les fiches de déclarations du PUT-RD auprès du laboratoire pour les médicaments ne disposant pas d'une AMM.

- **Pour les patients et/ou des associations de patients :**

- Le plus tôt possible, après la survenue du ou des effets indésirables / situations particulières auprès du médecin, du pharmacien ou de l'infirmier/ère. Il est également possible de déclarer les effets indésirables/situations particulières directement via le système national de déclaration et le réseau des centres régionaux de pharmacovigilance : www.signalement-sante.gouv.fr en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.

