

# ATU NOMINATIVE

## PROTOCOLE D'UTILISATION THERAPEUTIQUE ET DE RECUEIL D'INFORMATIONS

### ASCIMINIB 40 mg, comprimés pelliculés (ABL001)

Juin 2021 - Version 1

<p><b>Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM)</b></p> <p><b>ATU</b></p> <p><b>143-147 Bd Anatole France</b></p> <p><b>93285 Saint Denis Cedex</b></p> <p><b>Courriel : atu@ansm.sante.fr</b></p>	<p><b>NOVARTIS PHARMA S.A.S.</b> <b>8/10 Rue Henri Sainte Claire Deville</b> <b>92500 Rueil Malmaison</b></p> <p><b>Cellule ATU Asciminib</b> <b>Société ITEC Services (Excelya Bordeaux)</b> <b>7 Avenue Pierre Mendès France 33270 Floirac,</b> <b>pour le compte de Novartis</b></p> <p>Tél : 08 05 38 58 30 Fax : 05 57 77 85 01</p>
---	--

## Table des matières

<b>1</b>	<b>INTRODUCTION</b> .....	<b>3</b>
1.1	Le médicament.....	3
1.2	Autorisation temporaire d'utilisation.....	3
1.2.1	Généralités.....	3
1.2.2	Le protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations (PUT) .....	4
1.3	Information des patients .....	4
<b>2</b>	<b>MODALITES PRATIQUES DE PRESCRIPTION, DE DELIVRANCE DU MEDICAMENT ET DE SUIVI DES PATIENTS</b> .....	<b>4</b>
2.1	Rôle du médecin hospitalier prescripteur .....	5
2.1.1	Formalités pour l'obtention d'une ATU nominative.....	5
2.1.2	Suivi médical des patients.....	5
2.1.3	Arrêt de traitement .....	6
2.2	Rôle du pharmacien d'établissement de santé .....	7
2.3	Rôle de l'Agence Nationale de Sécurité du Médicaments et des Produits de Santé (ANSM)	7
2.4	Rôle du laboratoire Novartis PHARMA S.A.S. ....	8
<b>3</b>	<b>PHARMACOVIGILANCE</b> .....	<b>8</b>
3.1	Rôle des professionnels de santé.....	8
3.1.1	Qui déclare ?.....	8
3.1.2	Que déclarer ?.....	9
3.1.3	Quand déclarer ? .....	9
3.1.4	Comment déclarer ?.....	9
3.1.5	A qui déclarer ? .....	9
3.2	Rôle des patients et/ou des associations de patients .....	9
3.3	Rôle du laboratoire Novartis PHARMA S.A.S. ....	10
3.3.1	Transmission immédiate à l'ANSM des effets indésirables dont Novartis PHARMA S.A.S. a connaissance.....	10
3.3.2	Transmission des rapports périodiques de synthèse .....	10
3.4	Rôle de l'ANSM .....	10
3.5	Rôle du CRPV désigné responsable du suivi national.....	11
<b>4</b>	<b>ANNEXES</b> .....	<b>12</b>

# 1 INTRODUCTION

## 1.1 Le médicament

Asciminib (ABL001) est un inhibiteur puissant de BCR-ABL1, par voie orale, avec un nouveau mécanisme d'action. Contrairement aux inhibiteurs de la tyrosine kinase (ITK) qui ciblent le site de liaison de l'adénosine triphosphate (ATP), l'asciminib se lie à un site allostérique distinct, la poche de liaison myristoyle sur le domaine SH1 de l'enzyme.

L'asciminib fait l'objet d'un développement clinique dans le traitement des patients atteints de leucémie myéloïde chronique (LMC) avec ou sans mutation T315i et des patients atteints de leucémie aiguë lymphoblastique (LAL) avec chromosome Philadelphia positif, avec ou sans mutation T315i, précédemment traités par des ITK ou intolérants aux ITK.

En France, trois études cliniques sont en cours, dont les inclusions sont closes :

- L'étude CABL001X2101, n°EudraCT - 2013-004491-36 : « Etude de phase I, multicentrique, en ouvert, évaluant ABL001 par voie orale, chez les patients atteints de Leucémie Myéloïde Chronique ou de Leucémie Aiguë Lymphoblastique avec chromosome Philadelphia positif. »
- L'étude CABL001A2301, n°EudraCT - 2016-002461-66 : « Etude de phase III, multicentrique, en ouvert, randomisée, évaluant ABL001 par voie orale versus bosutinib chez les patients atteints de Leucémie Myéloïde Chronique en Phase Chronique (LMC-PC), précédemment traités par au moins 2 inhibiteurs de tyrosine kinase. »
- L'étude CABL001E2201, n°EudraCT - 2018-001594-24 : « Etude de phase II, multicentrique, en ouvert, randomisée, évaluant l'asciminib en association avec l'imatinib, comparativement à la poursuite de l'imatinib seul et au passage à un traitement par le nilotinib chez les patients atteints de Leucémie Myéloïde Chronique en Phase Chronique (LMC-PC), précédemment traités avec l'imatinib et n'ayant pas obtenu de réponse moléculaire majeure. »

Une étude roll-over pourrait être mise en place d'ici la fin de l'année en France.

## 1.2 Autorisation temporaire d'utilisation

### 1.2.1 Généralités

L'ATU dite "nominative" permet, avant l'obtention de l'AMM, une mise à disposition exceptionnelle de certains médicaments lorsqu'ils répondent aux critères définis au 2° du I de l'article L.5121-12 du Code de la Santé Publique (CSP) c'est-à-dire lorsque les conditions suivantes sont réunies :

- Ils sont destinés à traiter des patients nommément désignés qui ne peuvent participer à une recherche biomédicale ;
- Ils sont destinés à traiter des maladies graves ou rares ;
- Il n'existe pas de traitement approprié disponible sur le marché ;
- L'efficacité et la sécurité du médicament sont présumées en l'état des connaissances scientifiques ;
- Le médicament est susceptible de présenter un bénéfice réel ;
- La mise en œuvre du traitement ne peut pas être différée.

L'ATU nominative est autorisée, pour une durée limitée, par l'ANSM, à la demande du médecin prescripteur et est subordonnée à la mise en place d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations.

L'ATU, contrairement à un essai clinique, n'a pas pour objectif d'apporter une réponse sur l'efficacité du médicament mais bien de traiter des patients.

L'ATU peut être suspendue ou retirée si les conditions prévues ci-dessus ne sont plus remplies, ou pour des motifs de santé publique.

## 1.2.2 Le protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations (PUT)

Ce médicament ne bénéficiant pas d'une AMM en France, son utilisation est soumise à une procédure de surveillance étroite de la part de l'ANSM, notamment en matière de pharmacovigilance. C'est pourquoi cette ATU nominative est accompagnée d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations, établi par l'ANSM en concertation avec le laboratoire Novartis PHARMA S.A.S. Le protocole décrit :

1. Le suivi et la surveillance des patients traités : tous les patients recevant le traitement dans le cadre de cette ATU sont suivis et surveillés selon les modalités décrites par le protocole. L'ensemble des données de surveillance collectées par les prescripteurs sont recueillies et analysées par le laboratoire Novartis PHARMA S.A.S. et transmises à l'ANSM selon une périodicité qu'elle fixe.

Novartis PHARMA S.A.S. a l'obligation de transmettre au CRPV de Brest et à l'ANSM, tous les 6 mois un rapport de synthèse sur cette ATU comportant l'ensemble des données recueillies notamment :

- Les caractéristiques des patients traités ;
- Les modalités effectives d'utilisation du médicament ;
- Les données d'efficacité et de pharmacovigilance, comprenant une synthèse de tous les effets indésirables ainsi que toute information utile sur la tolérance du médicament recueillie en France et à l'étranger pendant cette période, y compris les données de la littérature.

Un résumé de ce rapport, validé par l'ANSM, est transmis par le laboratoire aux prescripteurs et aux pharmaciens d'établissement de santé ayant dispensé le médicament ainsi qu'aux Centres Régionaux de Pharmacovigilance (CRPV) et aux Centres Anti Poison (CAP) pour information et est publié sur le site Internet de l'ANSM ([www.ansm.sante.fr](http://www.ansm.sante.fr)).

2. toute l'information pertinente sur l'utilisation de ce médicament afin d'en assurer un bon usage, avec notamment la note d'information destinée aux prescripteurs et les modalités d'information des patients sur le médicament et sur l'ATU,

3. les modalités de dispensation du médicament et de surveillance des patients traités,

4. le rôle de tous les acteurs du présent dispositif.

Un exemplaire de ce protocole est remis par la firme à chacun des médecins prescripteurs et pharmaciens d'établissements de santé qui en fait la demande ainsi qu'aux CRPV et aux CAP. Il est, par ailleurs, disponible sur le site Internet de l'ANSM ([www.ansm.sante.fr](http://www.ansm.sante.fr) - rubrique ATU).

## 1.3 Information des patients

Préalablement à la mise en route du traitement, chaque patient, son représentant légal ou la personne de confiance qu'il a désignée, doit être informé par le prescripteur sur le médicament et sur les modalités de la procédure de mise à disposition exceptionnelle et de déclaration des effets indésirables.

Une note d'information destinée au patient (Annexe C) lui est remise par le médecin prescripteur avec les explications nécessaires à sa bonne compréhension.

Le patient (son représentant légal ou la personne de confiance qu'il a désignée) devra lire cette note d'information et la montrer à tout médecin consulté.

## 2 MODALITES PRATIQUES DE PRESCRIPTION, DE DELIVRANCE DU MEDICAMENT ET DE SUIVI DES PATIENTS

Dans le cadre de cette ATU, Ascimimib est soumis à prescription hospitalière et la prescription est réservée aux spécialistes en hématologie et aux médecins compétents en maladies du sang.

Seuls les prescripteurs et les pharmaciens exerçant dans un établissement de santé public ou privé peuvent respectivement le prescrire et le dispenser.

## 2.1 Rôle du médecin hospitalier prescripteur

### 2.1.1 Formalités pour l'obtention d'une ATU nominative

1/ Tout médecin hospitalier souhaitant prescrire Asciminib doit au préalable :

- prendre connaissance de ce PUT,
- vérifier les conditions d'accès au traitement,
- informer le patient,
- compléter la fiche d'accès au traitement (Annexe D.1)

2/ Pour initier la demande d'autorisation nominative :

- le prescripteur se connecte via un poste informatique équipé d'un lecteur de carte CPS à la plateforme **e-Saturne** mise en place par l'ANSM pour faire sa demande d'ATU nominative et joint la fiche de demande d'accès au traitement (Annexe D.1) préalablement complétée.



- le pharmacien est invité à se connecter via un poste informatique équipé d'un lecteur de carte CPS à la plateforme **e-Saturne** pour compléter la demande.

- ou si le médecin ne dispose pas de l'outil nécessaire pour faire sa demande via l'application e saturne, il aura la possibilité d'adresser à son pharmacien d'établissement de santé les éléments suivants, dûment remplis : le formulaire en vigueur de demande d'ATU nominative disponible sur le site internet de l'ANSM : [www.ansm.sante.fr](http://www.ansm.sante.fr), rubrique ATU et la fiche de demande d'accès au traitement (Annexe D.1).

Le formulaire et la fiche sont adressés par fax à l'ANSM par le pharmacien de l'établissement de santé à l'attention de :

Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM)

ATU

143-147 Bd Anatole France - 93285 Saint Denis Cedex

Fax: 33 (0)1 55 87 36 12

Email : [atu@ansm.sante.fr](mailto:atu@ansm.sante.fr)

3/ Après avoir pris connaissance de la demande, et après évaluation, l'ANSM envoie au prescripteur et au pharmacien un avis favorable avec notamment les initiales du patient ainsi que le numéro d'autorisation de l'ATU nominative et pour une durée de traitement précise ou, le cas échéant, un avis défavorable dûment motivé.

### 2.1.2 Suivi médical des patients

#### 2.1.2.1 Visite d'initiation de traitement

Après avoir obtenu l'avis favorable de l'ANSM, le médecin hospitalier prescripteur planifie une visite d'initiation de traitement à la date à laquelle le médicament sera disponible auprès de la pharmacie hospitalière.

Lors de cette visite d'initiation de traitement, le médecin :

- vérifie l'absence d'une contre-indication au traitement,

- remet au patient ou à son représentant légal ou à la personne de confiance qu'il a désigné la note d'information destinée au patient (Annexe C) accompagnée du formulaire de signalement-patient d'effets indésirables susceptibles d'être liés à un médicament,
- explique le traitement au patient (ou à son représentant légal ou la personne de confiance), ses effets indésirables et s'assure de la bonne compréhension de ces informations,
- établit une ordonnance d'Asciminib et informe, si possible, le médecin traitant du patient.
- remplit la fiche d'initiation de traitement (Annexe D.1) ;

#### **Avant d'initier le traitement, le médecin doit**

- Effectuer un bilan biologique comprenant une NFS, un ionogramme complet, un bilan des fonctions hépatique, pancréatique et rénale,
- Effectuer un examen clinique et un ECG
- Vérifier les traitements concomitants et les interactions médicamenteuses

Cette fiche est transmise au pharmacien de l'établissement de santé qui l'adresse par fax à :

**Cellule ATU Asciminib**  
**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

#### **2.1.2.2 Visites de suivi**

À échéance de l'ATU nominative, si le médecin prescripteur désire poursuivre le traitement, il devra :

- remplir une fiche de suivi médical (Annexe D.2) ;
- se connecter à la plateforme **e-Saturne** pour faire la demande de renouvellement

Après avoir pris connaissance de la demande, et comme pour la demande initiale, l'ANSM adressera au prescripteur et au pharmacien un avis favorable (nouvelle autorisation) avec les initiales du patient ainsi qu'un nouveau numéro d'autorisation d'ATU nominative ou, le cas échéant, un avis défavorable de renouvellement dûment motivé.

La fiche de suivi est transmise au pharmacien de l'établissement de santé qui l'adresse par fax à :

**Cellule ATU Asciminib**  
**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

#### **2.1.3 Arrêt de traitement**

En cas d'arrêt de traitement, celui-ci devra être signalé à Novartis PHARMA S.A.S. à l'aide de la fiche d'arrêt de traitement (Annexe D.3). Il y sera précisé la raison de l'arrêt. Si l'arrêt est lié à la survenue d'un effet indésirable ou à une grossesse, la fiche correspondante doit être également remplie dès connaissance de l'information (Annexe D.4 et D.5).

Les fiches d'arrêt de traitement (Annexe D.3) sont adressées sans délai à :

**Cellule ATU Asciminib**  
**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

Si l'arrêt est relié à un effet indésirable ou à une grossesse, les fiches de déclaration d'effet indésirable ou de grossesse (Annexes D.4 et D.5) sont adressées sans délai à :

**NOVARTIS PHARMA S.A.S.**  
Service de Pharmacovigilance  
8/10 Rue Henri Sainte Claire Deville  
92500 Rueil-Malmaison  
Tel. : 01.55.47.66.77  
Fax : 01.55.47.68.00  
vigilance.france@novartis.com

## 2.2 Rôle du pharmacien d'établissement de santé

Lorsqu'un médecin hospitalier réalise une demande de PUT d'Asciminib, le pharmacien de son établissement en reçoit systématiquement un exemplaire. Les fiches de déclaration d'effets indésirables doivent lui permettre de déclarer au laboratoire tout effet indésirable qui lui serait rapporté lors de la dispensation.

Pour chaque patient, le pharmacien doit s'assurer qu'il dispose d'une ATU nominative de l'ANSM valide avant toute dispensation d'Asciminib.

Les commandes et la gestion du stock sont sous la responsabilité du pharmacien d'établissement de santé.

Pour la commande initiale de traitement, le pharmacien d'établissement de santé doit adresser la commande de médicament à Novartis PHARMA S.A.S. accompagnée d'une copie de l'ATU et d'une copie de la fiche de demande initiale de traitement (Annexe D.1).

Pour tout renouvellement, le pharmacien hospitalier devra joindre à sa commande, la copie de l'ATU (renouvellement) et une copie de la fiche de suivi correspondante (Annexe D.2).

**L'expédition d'Asciminib par Novartis PHARMA S.A.S sera conditionnée à la réception de ces documents.**

Toutes les commandes devront être adressées à :

**Cellule ATU Asciminib**  
**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

## 2.3 Rôle de l'Agence Nationale de Sécurité des Médicaments et des Produits de Santé (ANSM)

L'ANSM a mis en place avec Novartis PHARMA S.A.S. ce protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations.

Le rôle de l'ANSM réside en l'évaluation, puis l'octroi ou le refus des ATU nominatives d'Asciminib. Cela s'applique pour les demandes initiales mais aussi pour les demandes de renouvellement.

L'ANSM évalue tous les 6 mois le rapport de synthèse de l'ATU réalisé par Novartis PHARMA S.A.S.

Après validation par l'ANSM, un résumé de ces rapports sera transmis tous les 6 mois par Novartis PHARMA S.A.S. aux prescripteurs et aux pharmaciens d'établissement de santé ayant dispensé le médicament ainsi qu'aux CRPV et CAP pour information et sera diffusé sur le site Internet de l'ANSM ([www.ansm.sante.fr](http://www.ansm.sante.fr)).

## 2.4 Rôle du laboratoire Novartis PHARMA S.A.S.

Novartis PHARMA S.A.S. fournit un exemplaire de ce protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations aux médecins qui en font la demande et pharmaciens concernés exerçant dans un établissement de santé public ou privé ainsi qu'aux CRPV et CAP pour information.

Novartis PHARMA S.A.S. honore les commandes d'Asciminib émanant des pharmaciens dans les conditions suivantes :

- 1- Pour une première commande pour tout nouveau patient, la commande est honorée sur la base de la réception des documents suivants :
  - a. Le bon de commande,
  - b. La copie de l'ATU octroyée,
  - c. La copie de la fiche de demande d'accès au traitement dûment complétée (Annexe D.1).
- 2- Pour les éventuelles commandes intermédiaires dans le cas où la première commande est faite pour un mois de traitement alors que l'ATU est octroyée pour une durée supérieure, la commande est honorée sur la base de la réception des documents suivants :
  - a. Le bon de commande,
  - b. La copie de l'ATU octroyée.
- 3- Pour une ATU renouvelée par l'ANSM, la commande est honorée sur la base de la réception des documents suivants :
  - a. Le bon de commande,
  - b. La copie de l'ATU nouvellement octroyée,
  - c. La copie de la dernière fiche de suivi médical dûment complétée (Annexe D.2).

Novartis PHARMA S.A.S.:

- collecte toutes les informations recueillies dans le cadre du PUT, notamment les informations de pharmacovigilance et respecte les obligations réglementaires de pharmacovigilance,
- partage les informations de pharmacovigilance avec le CRPV de Brest chargé du suivi national d'Asciminib,
- analyse toutes les informations recueillies et transmet un rapport, tous les 6 mois, à l'ANSM ainsi qu'au CRPV de Brest en charge du suivi de cette ATU,
- diffuse, tous les 6 mois, le résumé de ces rapports validé par l'ANSM aux prescripteurs et aux pharmaciens d'établissement de santé ainsi qu'aux CRPV et CAP pour information.

## 3 PHARMACOVIGILANCE

### 3.1 Rôle des professionnels de santé

#### 3.1.1 Qui déclare ?



Tout médecin, chirurgien-dentiste, sage-femme ou pharmacien ayant eu connaissance d'un effet indésirable susceptible d'être dû au médicament en ATU, doit en faire la déclaration.

Tout autre professionnel de santé peut également déclarer.

### **3.1.2 Que déclarer ?**

Tous les effets indésirables, y compris en cas de surdosage, de mésusage, d'abus, d'erreur médicamenteuse, et d'exposition professionnelle.

Une exposition au cours de la grossesse ou de l'allaitement est aussi à signaler.

### **3.1.3 Quand déclarer ?**

Tous les effets indésirables doivent être déclarés dès que le professionnel de santé en a connaissance.

### **3.1.4 Comment déclarer ?**

La déclaration se fait à l'aide de la fiche de déclaration d'effets indésirables (Annexe D.4).

En cas de grossesse, remplir également la fiche de signalement de grossesse (Annexes D.5).

En cas d'arrêt de traitement, remplir également la fiche d'arrêt de traitement (Annexe D.3).

### **3.1.5 A qui déclarer ?**

Les fiches d'arrêt de traitement (Annexe D.3) sont adressées sans délai à :

**Cellule ATU Asciminib**  
**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

Les fiches de déclaration d'effet indésirable ou de grossesse (Annexes D.4 et D.5) sont adressées sans délai à :

**NOVARTIS PHARMA S.A.S.**  
Service de Pharmacovigilance  
8/10 Rue Henri Sainte Claire Deville  
92500 Rueil-Malmaison  
Tel. : 01.55.47.66.77  
Fax : 01.55.47.68.00  
vigilance.france@novartis.com

## **3.2 Rôle des patients et/ou des associations de patients**

Le patient ou son représentant légal ou la personne de confiance qu'il a désignée ou les associations agréées que pourrait solliciter le patient peuvent déclarer :

- les effets indésirables que le patient ou son entourage suspecte d'être liés à l'utilisation d'un ou plusieurs médicaments, y compris lors de la grossesse ou de l'allaitement,
- les cas d'abus, de mésusage, de pharmacodépendance, d'erreurs médicamenteuses et de surdosages.

### **Comment déclarer ?**

Le plus tôt possible, après la survenue du ou des effets indésirables via le système national de déclaration : Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) et réseau des Centres Régionaux de Pharmacovigilance – Site internet : [www.signalement-sante.gouv.fr](http://www.signalement-sante.gouv.fr)

### **3.3 Rôle du laboratoire Novartis PHARMA S.A.S.**

Novartis PHARMA S.A.S. collecte les informations de pharmacovigilance recueillies par les professionnels de santé et respecte les obligations réglementaires de pharmacovigilance.

#### **3.3.1 Transmission immédiate à l'ANSM des effets indésirables dont Novartis PHARMA S.A.S. a connaissance**

Novartis PHARMA S.A.S. a l'obligation de transmettre à l'ANSM (via EudraVigilance) tous les effets indésirables ayant été porté à sa connaissance et survenus :

- en France (effets indésirables graves et non graves),
- dans un pays hors Union Européenne (effets indésirables grave),
- et pour les cas survenus dans les autres pays de l'Union Européenne (effets indésirables grave et non graves) de s'assurer de leur transmission à EudraVigilance selon les procédures en vigueur dans le pays de survenue.

Les modalités pratiques de transmission de ces cas au CRPV chargé du suivi sont définies par le CRPV et transmises à Novartis PHARMA S.A.S.

Ces modalités ne concernent pas la transmission d'observations d'effets indésirables suspects, inattendus et graves (SUSARs), survenus dans le cadre d'essais cliniques interventionnels.

En cas d'effet indésirable grave (quel que soit le pays de survenue et son cadre d'utilisation) ou de fait nouveau susceptible d'avoir un impact sur le rapport bénéfice/risque du médicament et nécessitant d'adresser rapidement une information aux utilisateurs du médicament en ATU (médecins, pharmaciens, patients), Novartis PHARMA S.A.S. contacte l'ANSM sans délai et lui transmet tout document utile.

#### **3.3.2 Transmission des rapports périodiques de synthèse**

NOVARTIS établit tous les 6 mois un rapport de synthèse comprenant la description des modalités d'utilisation d'Asciminib et une partie relative à la pharmacovigilance qui comprend l'ensemble des effets indésirables et toute information utile à l'évaluation du rapport bénéfice/risque lié à l'emploi d'Asciminib.

Ce rapport de synthèse accompagné d'un projet de résumé est transmis par Novartis PHARMA S.A.S. tous les 6 mois à l'ANSM par mail ([atu@ansm.sante.fr](mailto:atu@ansm.sante.fr)) et au CRPV de Brest en charge du suivi de cette ATU.

Après validation par l'ANSM, Novartis PHARMA S.A.S. transmet tous les 6 mois le résumé de ce rapport aux médecins, aux pharmaciens concernés ainsi qu'à l'ensemble des CRPV et CAP.

Ce résumé sera également diffusé sur le site Internet de l'ANSM.

### **3.4 Rôle de l'ANSM**

L'ANSM :

- prend connaissance des informations qui lui sont transmises par Novartis PHARMA S.A.S. ainsi que par le CRPV de Brest en charge du suivi de l'ATU et prendra toute mesure utile de manière à assurer la sécurité des patients et le bon usage du médicament,
- informe Novartis PHARMA S.A.S. de tout effet indésirable grave qui lui aurait été notifié ou déclaré directement,
- valide le résumé des rapports périodiques de synthèse établi par Novartis PHARMA S.A.S. avant sa diffusion par ce dernier,
- diffuse sur son site Internet ([www.ansm.sante.fr](http://www.ansm.sante.fr)) le PUT ainsi que les résumés des rapports de synthèse.

### **3.5 Rôle du CRPV désigné responsable du suivi national**

Le CRPV de Brest a été désigné responsable du suivi des effets indésirables rapportés avec Asciminib.

Il est destinataire (via Novartis PHARMA S.A.S.) des effets indésirables graves transmis à l'ANSM, des rapports périodiques de synthèse et de leurs résumés et exerce un rôle d'expert pour l'analyse de ces documents.

Il peut demander à Novartis PHARMA S.A.S. de lui fournir toute information complémentaire nécessaire à l'évaluation.

## 4 ANNEXES