

**AUTORISATION D'ACCÈS COMPASSIONNEL AVEC PUT  
RÉSUMÉ DU RAPPORT DE SYNTHÈSE PÉRIODIQUE N°1  
RADICUT 30mg/100mL, solution injectable pour perfusion**

Période du 01/09/2020 au 31/08/2021

**I. Introduction**

RADICUT (édaravone), 30mg/100mL, solution injectable pour perfusion bénéficie d'une Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU) nominative puis d'une Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC) depuis juillet 2018, encadrée par un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations (PUT) dans l'indication suivante : "Inhibition de la progression du trouble fonctionnel chez les patients atteints de sclérose latérale amyotrophique (SLA)".

RADICUT (édaravone) élimine les radicaux libres et inhibe la peroxydation lipidique. Il permettrait de supprimer la progression de la SLA en exerçant ses effets inhibiteurs sur le développement des effets oxydants néfastes sur les cellules nerveuses.

Le présent et premier rapport rédigé dans le cadre de l'AAC pour RADICUT couvre la période du 01 septembre 2020 au 31 août 2021.

Le 24 mai 2019, Mitsubishi Tanabe Pharma GmbH a retiré sa demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) pour édaravone dans l'indication SLA auprès du comité des médicaments à usage humain (CHMP).

Au moment du retrait, le CHMP avait des réserves et estimait à ce stade qu'édaravone n'aurait pas pu être approuvé.

**II. Données recueillies dans le cadre de l'AAC avec PUT**

***II.1. Données cliniques et démographiques***

Au total, 13 patients ont été inclus et traités dans le cadre de l'AAC de juillet 2018 au 31 août 2021.

Sur la période couverte par ce rapport, du 01/09/2020 au 31/08/2021, 6 patients ont été inclus sur la période.

A noter que les données de suivi de 7 patients ont été obtenues sans que leurs données cliniques à l'inclusion ne soient disponibles, ces patients ayant été inclus dans le PUT avant qu'INRESA ne soit désigné exploitant/distributeur de RADICUT 30mg/100mL en France (c'est-à-dire durant la période de juillet 2018 au 31/08/2020). Ainsi, certaines données ne sont disponibles que pour les 6 patients dont les fiches d'initiation ont été réceptionnées pendant la période.

1 patient a arrêté le traitement sur la période.

Sur la période concernée, les patients traités correspondaient à 8 hommes et 5 femmes. L'âge moyen des patients traités sur la période était de 59 ans (extrêmes 30 ans à 71 ans). Le tableau ci-dessous représente les données cliniques à l'inclusion des 6 patients inclus sur la période du rapport.

<b>Caractéristiques patients</b>	
Diagnostic El Escorial	Défini : 5 patients (83%) Probable : 1 patient (17%)
Score ALSFRS-R	Au diagnostic : ≥ 46 : 2 patients Entre 41 et 45 : 1 patient Entre 36 et 40 : 1 patient Non déterminé : 2 patients  A l'inclusion : ≥ 46 : 2 patients Entre 36 et 40 : 1 patient Entre 31 et 35 : 1 patient Entre 21 et 25 : 2 patients
Capacité Vitale Forcée	Au diagnostic : Normal ≥ 80% : 3 patients Anormal ≤ 80% : 1 patient Non déterminé : 2 patients  A l'inclusion : Normal ≥ 80% : 5 patients Anormal ≤ 80% : 1 patient
Siège du premier symptôme	Membres supérieurs : 3 patients Membres inférieurs : 1 patient Bulbaire : 2 patients
Signes de dénervation mis en évidence par ENMG dans le ou les territoires atteints	Oui pour les 6 patients

Sur les 13 patients inclus, 12 patients sont traités concomitamment pour l'indication de la SLA par riluzole + tocophérol et un patient par riluzole.

Les tableaux ci-dessous représentent les données de suivi des 6 patients inclus sur la période du rapport.

- Evolution du score ALSFRS-R

	<b>Evolution du score ALSFRS-R</b>			
	<b>Diminution</b>	<b>Augmentation</b>	<b>Inchangé</b>	<b>Non déterminable</b>
<b>1<sup>er</sup> suivi</b>				
Nombre de patients	2	1	2	7
Moyenne de l'évolution	-3,5	+5	/	/
<b>2<sup>ème</sup> suivi</b>				
Nombre de patients	3	1	0	0
Moyenne de l'évolution	-6	+4	/	/

<b>3<sup>ème</sup> suivi</b>				
Nombre de patients	1	1	0	0
Moyenne de l'évolution	-8	+4	/	/
<b>Total</b>				
Nombre de suivis	6	3	2	7
Moyenne de l'évolution	-5,8	+4,3	/	/

- Capacité vitale forcée

Augmentation de la CVF	Diminution de la CVF	CVF inchangée
2	3	1

- Evolution globale de la pathologie

Evaluation globale de l'état clinique	Nombre de fiches de suivi	Pourcentage des suivis (%)
Stable	9	50
Peu évolutif	6	33
Aggravé	3*	17
<b>Total</b>	<b>18</b>	<b>100</b>

\*Pour un patient, le traitement est jugé efficace.

## **II.2. Données de pharmacovigilance depuis le début de la période**

Un cas non-grave de pharmacovigilance a été notifié, associé à un effet indésirable inattendu : bouffées de chaleur. Le traitement a été suspendu pour une durée de trois mois, puis a été repris (après la période de ce rapport) car les effets indésirables ne sont pas jugés comme liés à la prise de RADICUT par le déclarant.

Aucun cas d'issue fatale ne nous a été rapporté.

Aucun nouveau signal de sécurité n'a été identifié dans le cadre de l'AAC avec PUT.

### **Conclusion**

Sur la période, un cas de pharmacovigilance non-grave a été déclaré et aucun nouveau signal de sécurité n'a été identifié dans le cadre de l'AAC avec PUT.

Les données de sécurité et d'efficacité issues du suivi des patients inclus dans l'AAC avec PUT RADICUT ne remettent pas en cause le rapport bénéfice/risque de l'édaravone dans l'indication et les conditions d'utilisation de l'AAC avec PUT.