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

Accès précoce RH+/HER2- – sacituzumab govitecan

| La demande | |
|---|---|
| Spécialité | TRODELVY 200 mg poudre pour solution à diluer pour perfusion |
| DCI | Sacituzumab govitecan |
| Indication | Trodelvy est indiqué en monothérapie pour le traitement des patients adultes atteints d'un cancer du sein RH positifs / HER2 négatifs (IHC 0, IHC 1+ ou IHC 2+/ISH-) non résécable ou métastatique, ayant reçu au moins deux lignes de chimiothérapie au stade métastatique. |
| Date d'octroi | 23/02/2023 <i>La mise à disposition de ce médicament sera effective dans un délai maximal de 2 mois à compter de cette date.</i> |
| Périodicité des rapports de synthèse | 9 mois – un gel de la base jusqu'à un mois avant cette échéance est toléré. Le prochain rapport de synthèse devra également être déposé dans le dossier de renouvellement d'accès précoce. |
| Renseignements administratifs | |
| Contact laboratoire titulaire ou CRO | Euraxi Pharma E-mail : ap-trodelvy-RH@euraxipharma.fr N° vert : 0 800 870 952 Fax : 02 46 99 03 89 Lien vers la plateforme: www.ap-trodelvy.fr |
| Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire | DPO@gilead.com |

Dernière date de mise à jour : 02/03/2023

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

Sommaire

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur Erreur !
Signet non défini.

| | |
|---|-----------|
| Le médicament | 6 |
| Calendrier des visites | 8 |
| Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients | 10 |
| Annexes | 11 |
| Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données | 11 |
| Annexe 2. Rôle des différents acteurs | 35 |
| Annexe 3. Documents d'information à destination des patients avant toute prescription d'un médicament en accès précoce : Nom du médicament | 39 |
| Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières | 52 |

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 22/02/2023, 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 sacituzumab govitecan dans l'indication : **Trodelvy est indiqué en monothérapie pour le traitement des patients adultes atteints d'un cancer du sein RH positifs / HER2 négatifs (IHC 0, IHC 1+ ou IHC 2+/ISH-) non résecable ou métastatique, ayant reçu au moins deux lignes de chimiothérapie au stade métastatique.** 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 ;
 - 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 CRPV géographique via le système national de déclaration : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>
- 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 données¹.**

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 de la HAS et de l'ANSM pour l'utilisation du médicament

Spécialité concernée

TRODELVY (sacituzumab govitecan) 200 mg poudre pour solution à diluer pour perfusion

Caractéristiques du médicament

Le sacituzumab govitecan se lie aux cellules cancéreuses exprimant Trop-2 puis est internalisé avec la libération subséquente de SN-38 par un agent de liaison hydrolysable. Le SN-38 interagit avec la topoisomérase I et empêche la religation des coupures simple brin induite par la topoisomérase I. Les lésions de l'ADN qui en résultent entraînent l'apoptose et la mort cellulaire.

Indication

Trodelvy est indiqué en monothérapie pour le traitement des patients adultes atteints d'un cancer du sein RH positifs / HER2 négatifs (IHC 0, IHC 1+ ou IHC 2+/ISH-) non résécable ou métastatique, ayant reçu au moins deux lignes de chimiothérapie au stade métastatique.

Posologie

La dose recommandée de sacituzumab govitecan est de 10 mg/kg de poids corporel, administrée en perfusion intraveineuse une fois par semaine, à J1 et J8 de chaque cycle de traitement de 21 jours. Le traitement doit être poursuivi jusqu'à progression de la maladie ou survenue d'une toxicité inacceptable.

Prémédication

Avant chaque dose de sacituzumab govitecan, il est recommandé d'administrer un traitement préventif des réactions à la perfusion et des nausées et vomissements chimio-induits (voir rubrique 4.4 du RCP).

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.

- Liste I
- Médicament réservé à l'usage hospitalier.

- Prescription réservée aux spécialistes en oncologie ou aux médecins compétents en cancérologie.
- Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement

Calendrier des visites

| | Demande d'accès au traitement | Première administration | Suivi du traitement 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 | |
| Bilan biologique (NFS, bilan hépatique, bilan rénal) | X | X | X |
| Antécédents de traitement et histoire de la maladie | X | | |
| Test de grossesse (si applicable) | X | X | X |
| Collecte de données sur les conditions d'utilisation | | | |
| Posologie et traitements associés | X | X | X |
| Interruption de traitement | | | X |
| Collecte de données d'efficacité | | | |
| Données de survie | | | X |
| Temps jusqu'à arrêt de traitement ou décès | | | X |
| Auto-questionnaire de qualité de vie (<i>EORTC QLQ C30</i>) | X Avant initiation du traitement | | Tous les cycles jusqu'au C4 puis tous les 2 cycles |

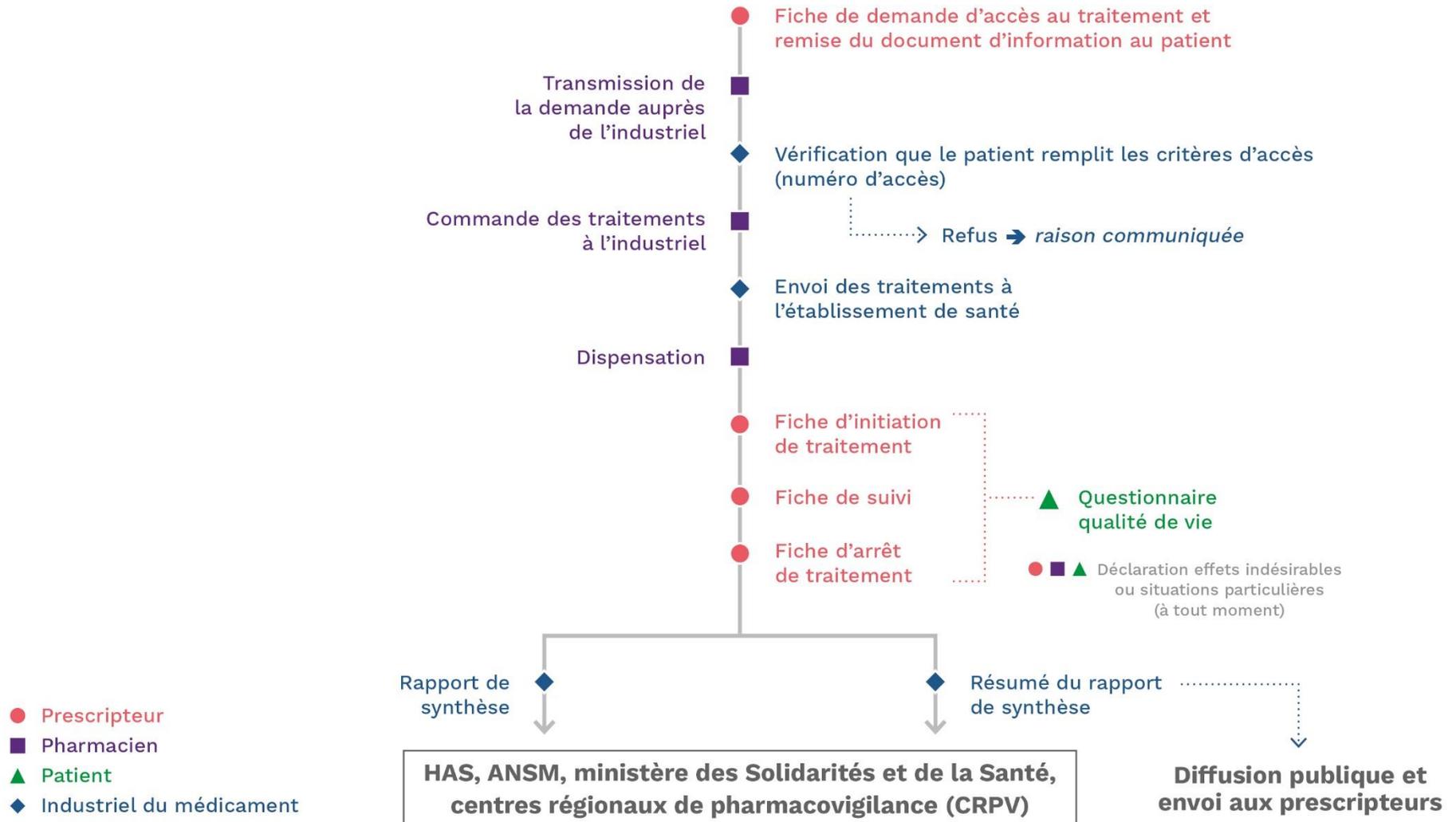
Collecte de données de tolérance/situations particulières (via le portail de signalement www.signalement.social-sante.gouv.fr)

Suivi des effets indésirables/situation particulières et déclaration au CRPV des effets indésirables par le centre

X

X

Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients



Annexes

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

- [Fiche de demande d'accès au traitement](#)
- Fiches de suivi de traitement : [première administration](#) et [visites suivantes](#)
- [Fiche d'arrêt de traitement](#)
- [Questionnaire de qualité de vie](#)

La collecte des données sera réalisée sur un mode hybride (papier et/ou web) par la CRO <https://www.ap-trodelvy.fr>

Un plan de data management définira ultérieurement les modalités de collection et de gestion des données de manière précise.

Un monitoring centralisé des données sera mis en place, avec l'objectif d'assurer un niveau de qualité de recueil de données adéquat, notamment sur les critères d'efficacité et de tolérance du traitement, ainsi que la qualité de vie des patients sous traitement.

Les modalités précises seront définies ultérieurement dans un plan de monitoring.

Les utilisateurs devront se connecter sur le site internet dédié à la gestion de l'Accès Précoce (www.ap-trodelvy.fr) pour créer un compte.

Le médecin prescripteur complète la fiche de demande d'accès au traitement en se connectant à la plateforme électronique en utilisant :

- soit les codes d'accès réceptionnés antérieurement
- soit ses identifiants Pasrel (Plage) fournis par l'ATIH (nécessite la création préalable d'un compte sur <https://plage.atih.sante.fr/#/anonyme/creation-compte>).

Une alerte par courriel sera alors transmise au pharmacien de l'établissement pour validation électronique de la fiche de demande d'accès au traitement en se connectant à la plateforme électronique.

Après finalisation et approbation du protocole, un eCRF sera mis en place pour collecter les données des différentes fiches (cf Annexe 1). Les données directement identifiantes telles que nom complet, n° de sécurité sociale ne seront pas collectées. Les données seront stockées et sauvegardées sur un serveur sécurisé.

Lorsque le prescripteur souhaite instaurer un traitement par Trodelvy pour un patient éligible, il doit :

- Vérifier l'indication de l'Accès Précoce,
- Vérifier l'absence de contre-indication en se référant au RCP de l'Accès Précoce,
- Prendre connaissance du PUT-RD et du RCP de l'Accès Précoce, téléchargeables sous format PDF directement sur le site internet de l'Accès Précoce ou sur les sites internet de l'ANSM et de la HAS,
- Compléter la fiche de demande d'accès au traitement sur le site internet de l'accès précoce.

Un guide simplifié décrivant le fonctionnement de la plateforme ainsi que les consignes de navigation/saisie sera mis à disposition des utilisateurs sur la page d'accueil.

La CRO pourra être amenée à vous recontacter afin de s'assurer de la complétude des fiches de demande d'accès, d'initiation, de suivi, d'arrêt de traitement.

Un questionnaire de qualité de vie, l'EORTC QLQ-C30 disponible à l'annexe 1, sera à remplir par le patient avant la première administration du médicament, puis tous les cycles jusqu'au C4 puis tous les 2 cycles.

La collecte de ces données sera réalisée via un ePRO (=ePatient Reported Outcomes), solution à privilégier, mais le « format papier » peut également être envoyé par e-mail à la CRO (pour plus de détails se référer à l'Annexe 1 - Questionnaire de qualité de vie).

Fiche de demande d'accès au traitement (indication RH+/HER2-)

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)

Sexe : M F

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 initial | |
|--|--|
| Date de diagnostic initial du cancer du sein | __/__/____ |
| Classification TNM au diagnostic | T _ _ _ / N _ _ _ / M _ _ |
| Type de cancer du sein au diagnostic initial | <input type="checkbox"/> RH+ <input type="checkbox"/> HER2+ <input type="checkbox"/> TNBC |
| Sous type | <input type="checkbox"/> Luminal A <input type="checkbox"/> Luminal B (HER 2 -) <input type="checkbox"/> Luminal B (HER 2 +) <input type="checkbox"/> TN |
| Stade avancé | |
| Expression des récepteurs hormonaux | <input type="checkbox"/> positive <input type="checkbox"/> négative |
| Statut HER2 : | |
| o Score IHC | <input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1+ <input type="checkbox"/> 2+ <input type="checkbox"/> 3+ |
| o Statut ISH | <input type="checkbox"/> positif <input type="checkbox"/> négatif <input type="checkbox"/> NR |
| Mutation BRCA1/2 | <input type="checkbox"/> oui <input type="checkbox"/> non <input type="checkbox"/> NR |
| Maladie | Tumeur non résécable : <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Stade Métastatique : <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, préciser : Date d'apparition des métastases __/__/____ Localisation(s) actuelle(s) des métastases : <input type="checkbox"/> os <input type="checkbox"/> foie <input type="checkbox"/> poumon <input type="checkbox"/> ganglions lymphatiques <input type="checkbox"/> SNC <input type="checkbox"/> autre : _____ |
| Statut ECOG | <input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1 <input type="checkbox"/> 2 <input type="checkbox"/> 3 <input type="checkbox"/> 4 |

| | |
|---------------------------------------|---|
| Mutation UGT1A1 | <input type="checkbox"/> NR/Inconnue <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, préciser le phénotype : _____ |
| Autre cancer datant de moins de 5 ans | <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, préciser : _____ |
| Statut ménopausique | Préménopause <input type="checkbox"/> Postménopause <input type="checkbox"/> N/A <input type="checkbox"/> |
| Grossesse | <input type="checkbox"/> N/A (femme non en âge de procréer) Date du test de grossesse : __ / __ / ____ Résultat : <input type="checkbox"/> Négatif <input type="checkbox"/> Positif <i>Pour les femmes en âge de procréer, et les hommes ayant une partenaire en âge de procréer, vérifier l'utilisation d'une méthode de contraception efficace.</i> |

N/A : non applicable

NR : non réalisé

Traitements antérieurs

| | |
|--|---|
| Chirurgie du cancer du sein primitif | <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, préciser la date __ / __ / ____ |
| Radiothérapie au stade précoce | <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non |
| Traitement néo-adjuvant | <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, précisez le protocole utilisé : <input type="checkbox"/> Hormonothérapie <input type="checkbox"/> Paclitaxel <input type="checkbox"/> Docetaxel <input type="checkbox"/> Doxorubicine <input type="checkbox"/> Epirubicine <input type="checkbox"/> Carboplatine <input type="checkbox"/> Cyclophosphamide <input type="checkbox"/> Autre, précisez _____ |
| Traitement adjuvant | <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, précisez le protocole utilisé : <input type="checkbox"/> Hormonothérapie <input type="checkbox"/> Paclitaxel <input type="checkbox"/> Docetaxel <input type="checkbox"/> Doxorubicine <input type="checkbox"/> Epirubicine <input type="checkbox"/> Carboplatine <input type="checkbox"/> Cyclophosphamide <input type="checkbox"/> Capecitabine <input type="checkbox"/> Autre, précisez _____ |
| Traitement de 1ère Ligne métastatique | <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, précisez le protocole utilisé : <input type="checkbox"/> Hormonothérapie <input type="checkbox"/> Inhibiteurs CDK4/6 <input type="checkbox"/> Everolimus <input type="checkbox"/> Bevacizumab <input type="checkbox"/> Paclitaxel <input type="checkbox"/> Docetaxel <input type="checkbox"/> Doxorubicine |

| | |
|--|--|
| | <input type="checkbox"/> Epirubicine <input type="checkbox"/> Carboplatine <input type="checkbox"/> Gemcitabine <input type="checkbox"/> Cyclophosphamide <input type="checkbox"/> Capecitabine <input type="checkbox"/> Eribuline <input type="checkbox"/> Vinorelbine <input type="checkbox"/> Inhibiteurs de PARP <input type="checkbox"/> Trastuzumab deruxtecan <input type="checkbox"/> Autre, précisez _____ |
| Traitement de 2ème ligne métastatique | <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, précisez le protocole utilisé : <input type="checkbox"/> Hormonothérapie <input type="checkbox"/> Inhibiteurs CDK4/6 <input type="checkbox"/> Everolimus <input type="checkbox"/> Bevacizumab <input type="checkbox"/> Paclitaxel <input type="checkbox"/> Docetaxel <input type="checkbox"/> Doxorubicine <input type="checkbox"/> Epirubicine <input type="checkbox"/> Carboplatine <input type="checkbox"/> Gemcitabine <input type="checkbox"/> Cyclophosphamide <input type="checkbox"/> Capecitabine <input type="checkbox"/> Eribuline <input type="checkbox"/> Vinorelbine <input type="checkbox"/> Inhibiteurs de PARP <input type="checkbox"/> Trastuzumab deruxtecan <input type="checkbox"/> Autre, précisez _____ |
| Traitement de 3ème ligne métastatique | <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, précisez le protocole utilisé : <input type="checkbox"/> Hormonothérapie <input type="checkbox"/> Inhibiteurs CDK4/6 <input type="checkbox"/> Everolimus <input type="checkbox"/> Bevacizumab <input type="checkbox"/> Paclitaxel <input type="checkbox"/> Docetaxel <input type="checkbox"/> Doxorubicine <input type="checkbox"/> Epirubicine <input type="checkbox"/> Carboplatine <input type="checkbox"/> Gemcitabine <input type="checkbox"/> Cyclophosphamide <input type="checkbox"/> Capecitabine <input type="checkbox"/> Eribuline <input type="checkbox"/> Vinorelbine <input type="checkbox"/> Inhibiteurs de PARP <input type="checkbox"/> Trastuzumab deruxtecan <input type="checkbox"/> Autre, précisez _____ |
| Traitement de 4ème ligne métastatique | <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, précisez le protocole utilisé : <input type="checkbox"/> Hormonothérapie <input type="checkbox"/> Inhibiteurs CDK4/6 <input type="checkbox"/> Everolimus <input type="checkbox"/> Bevacizumab <input type="checkbox"/> Paclitaxel <input type="checkbox"/> Docetaxel |

| | |
|--|--|
| | <input type="checkbox"/> Doxorubicine <input type="checkbox"/> Epirubicine <input type="checkbox"/> Carboplatine <input type="checkbox"/> Gemcitabine <input type="checkbox"/> Cyclophosphamide <input type="checkbox"/> Capecitabine <input type="checkbox"/> Eribuline <input type="checkbox"/> Vinorelbine <input type="checkbox"/> Inhibiteurs de PARP <input type="checkbox"/> Trastuzumab deruxtecan <input type="checkbox"/> Autre, précisez _____ |
| Traitement de 5ème ligne métastatique | <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, précisez le protocole utilisé : <input type="checkbox"/> Hormonothérapie <input type="checkbox"/> Inhibiteurs CDK4/6 <input type="checkbox"/> Everolimus <input type="checkbox"/> Bevacizumab <input type="checkbox"/> Paclitaxel <input type="checkbox"/> Docetaxel <input type="checkbox"/> Doxorubicine <input type="checkbox"/> Epirubicine <input type="checkbox"/> Carboplatine <input type="checkbox"/> Gemcitabine <input type="checkbox"/> Cyclophosphamide <input type="checkbox"/> Capecitabine <input type="checkbox"/> Eribuline <input type="checkbox"/> Vinorelbine <input type="checkbox"/> Inhibiteurs de PARP <input type="checkbox"/> Trastuzumab deruxtecan <input type="checkbox"/> Autre, précisez _____ |
| Si > 5 ligne métastatique | Précisez la dernière ligne de traitement avant sacituzumab govitecan _____ |

Traitement par sacituzumab govitecan

Posologie et durée envisagée

La dose recommandée de sacituzumab govitecan est de 10 mg/kg de poids corporel, administrée en perfusion intraveineuse une fois par semaine, à J1 et J8 de chaque cycle de traitement de 21 jours. Le traitement doit être poursuivi jusqu'à progression de la maladie ou survenue d'une toxicité inacceptable.

| Dose envisagée de sacituzumab govitecan | Date prévue de début de traitement |
|---|------------------------------------|
| _ _ _ mg/kg | J1 : _/ _/ _ J8 : _/ _/ _ |

En cas de situation particulière (dose et/ou dates de traitement non conformes au RCP), indiquer la raison :...

Traitements concomitants et/ou soins de support

L'administration concomitante de sacituzumab govitecan avec des inhibiteurs de UGT1A1 peut augmenter l'incidence des effets indésirables, en raison de l'augmentation potentielle de l'exposition systémique au SN-38. Le sacituzumab govitecan doit être utilisé avec prudence chez les patients recevant des inhibiteurs de l'UGT1A1 (p. ex. propofol, kétoconazole, inhibiteurs de tyrosine kinase EGFR) et des inducteurs de l'UGT1A1 (p. ex. carbamazépine, phénytoïne, rifampicine, ritonavir, tipranavir).

Les patients connus pour avoir une activité réduite de l'UGT1A1 doivent être surveillés attentivement pour d'éventuels effets indésirables. Lorsqu'il n'est pas connu, il n'est pas nécessaire d'analyser le statut UGT1A1 car la prise en charge des effets indésirables, y compris les modifications de dose recommandées, sera la même pour tous les patients.

| Inhibiteurs/Inducteurs de l'UGT1A1 en cours si applicable | | |
|---|------------|-------------------|
| Traitement | Indication | Date |
| _____ | _____ | Depuis __/__/____ |
| _____ | _____ | Depuis __/__/____ |
| _____ | _____ | Depuis __/__/____ |

Prémédication :

Avant chaque dose de sacituzumab govitecan, il est recommandé d'administrer un traitement préventif des réactions à la perfusion et des nausées et vomissements chimio-induits

Concernant l'utilisation du médicament notamment les mises en garde spéciales, précautions d'emploi et contre-indications, veuillez-vous référer au RCP du médicament.

Engagement du prescripteur

Critères d'éligibilité

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

- Patients ayant un âge ≥ 18 ans
- Cancer du sein à récepteurs hormonaux positifs (RH+) /récepteurs du facteur de croissance épidermique humain 2 (HER2) négatifs ou faibles (IHC 0, IHC 1+ ou IHC 2+/ISH-)
- Tumeur non résécable ou stade métastatique documenté par les évaluations de routine
- Patients ayant reçu au préalable une hormonothérapie et au moins deux traitements systémiques additionnels au stade métastatique.
- Méthode efficace de contraception pour les femmes en âge de procréer pendant le traitement et jusqu'à 6 mois après la dernière perfusion

- Méthode efficace de contraception pour les hommes ayant une partenaire en âge de procréer pendant le traitement et jusqu'à 3 mois après la dernière perfusion

Critères de non-éligibilité

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

Hypersensibilité à la substance active ou à l'un des excipients mentionnés à la rubrique 6.1 du RCP.

Se référer à la rubrique 4.4 du RCP pour une information complète sur les mises en garde spéciales et précautions d'emploi.

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

Oui Non

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

J'ai compris que cette autorisation m'engage à déclarer, dès que j'en ai connaissance, tout effet indésirable et situations particulières auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/> :

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 |
| Numéro FINESS : _____ | Numéro FINESS : _____ |
| Tél : Numéro de téléphone. | Tél : Numéro de téléphone. |
| E-mail : xxx@domaine.com | E-mail : xxx@domaine.com |
| Date : __/__/____ | Date : __/__/____ |
| Cachet et signature du médecin : | Cachet et signature du pharmacien : |

Encadré réservé au laboratoire (si absence de plateforme électronique) :

Demande acceptée Numéro patient d'accès précoce : _____

Demande refusée

Motif du refus : _____

Date : _ / _ / _ _ _ _

Protection des Données Personnelles

Gilead Sciences SAS vous informe de la collecte de certaines données personnelles vous concernant pour les besoins de l'exécution et du suivi du programme d'accès précoce et pour les besoins du respect de la réglementation applicable. Les informations recueillies vous concernant font l'objet d'un traitement réalisé par Gilead Sciences SAS, responsable du traitement, dont le Délégué à la Protection des Données (DPD) est joignable à l'adresse DPO@gilead.com. Gilead et tout prestataire mandaté à cet effet s'engagent à respecter les dispositions du Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 et de la loi n° 78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés telle que modifiée (la Réglementation sur la Protection des Données Personnelles).

Les données personnelles recueillies sont réservées à l'usage du (ou des) service(s) concerné(s) par la gestion et le suivi du programme d'accès précoce et habilité(s) de Gilead Sciences SAS et toute société du groupe Gilead et leurs éventuels sous-traitants (société de recherche sous contrat notamment).

Gilead pourra être amené à transférer vos données personnelles hors de l'Union Européenne, lorsque cela s'avère indispensable à ses activités et notamment à des fins de sauvegarde générale des fichiers, y compris vers les pays suivants : Etats-Unis. Afin d'assurer un niveau de protection suffisant, les garanties suivantes ont été prises : un contrat conforme aux clauses contractuelles types établies par la Commission européenne a été signé entre Gilead Sciences et la/les société(s) bénéficiaire(s) du transfert des données personnelles. Gilead mettra également en place toutes mesures supplémentaires qui seraient nécessaires pour garantir un niveau de protection essentiellement équivalent à celui prévu dans l'Espace économique européen, et s'assurera que la législation de tout pays tiers n'empiétera pas sur ces mesures supplémentaires de manière à les priver d'effectivité.

Vos données personnelles seront conservées pendant toute la durée du programme d'accès précoce et de son suivi et aussi longtemps qu'autorisé au regard de la finalité pour laquelle elles ont été recueillies, conformément à la réglementation applicable.

Conformément à la Réglementation sur la Protection des Données Personnelles, vous bénéficiez d'un droit d'accès, de rectification, ou de portabilité des informations qui vous concernent, ainsi que d'un droit de limitation du traitement. Pour exercer l'un de ces droits, veuillez adresser votre demande à l'adresse suivante : privacy@gilead.com.

Vous pouvez également déposer une plainte auprès de la Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés (CNIL), directement sur son site www.cnil.fr.

Gilead Sciences SAS, en sa qualité de responsable du traitement au sens de la Réglementation sur la Protection des Données Personnelles, vous informe également que dans le cadre du programme d'accès précoce, vous serez amené à collecter et traiter des données personnelles, telles que listée dans le PUT- RD, pour le compte de Gilead Sciences SAS et agir ainsi en qualité de sous-traitant au sens de la Réglementation sur la Protection des Données Personnelles ; ce conformément aux modalités et conditions décrites strictement dans le PUT-RD. A ce titre, vous vous engagez à :

- **Collecter et traiter les données personnelles uniquement dans le strict respect des termes et conditions du PUT-RD, et à suivre les instructions écrites reçues de la part de Gilead le cas échéant ;**
- **Ne pas traiter lesdites données personnelles pour tout autre objet, sauf si cela est requis par les lois et réglementations en vigueur et après information préalable de Gilead (sauf si les lois et réglementations applicables vous interdisent d'en informer ainsi Gilead) ;**
- **A ne pas révéler ou transférer les données à caractère personnel à un quelconque tiers sans avoir préalablement obtenu l'autorisation écrite de Gilead, sauf si cette révélation ou transfert est requis par les lois et réglementations applicables ou par une autorité publique, et dans la mesure du possible, après information préalable et sans délai de Gilead par écrit, et vous devrez vous conformer à toutes les instructions de Gilead à cet égard ;**
- **Respecter les mesures techniques et organisationnelles appropriées mises en place et approuvées par Gilead, pour empêcher tout traitement de données à caractère personnel non autorisé ou illicite, et pour empêcher toute perte fortuite, destruction ou dommage auxdites données à caractère personnel,**
- **Informers Gilead par écrit dès que possible (et, en tout état de cause, dans un délai maximum de vingt-quatre (24) heures) de toute destruction fortuite ou illicite ou de toute perte ou dommage fortuit, altération, divulgation ou accès non autorisé aux données personnelles ;**
- **Aider Gilead à s'acquitter de son obligation de donner suite aux demandes d'exercice des droits des personnes concernées conformément aux termes des documents d'information figurant en annexe III ;**
- **Assister Gilead pour s'assurer de la conformité avec les obligations légales de Gilead aux termes de la Réglementation sur la Protection des Données Personnelles, y compris, notamment, en ce qui concerne le respect des obligations de sécurité, notifications de violation, analyse d'impact et consultations des autorités de contrôle ;**
- **Vérifier et garantir que toutes les personnes qui ont accès aux, et/ou traitent les données personnelles sont soumises à une obligation de confidentialité, et que ces personnes ont été suffisamment formées ;**
- **Conserver des dossiers et informations complets et exactes permettant de démontrer sa conformité avec le présent engagement et permettant à Gilead et/ou à ses auditeurs de réaliser des audits appropriés ;**
- **Sur instruction écrite de Gilead, supprimer ou rapporter toutes données à caractère personnel ainsi que toutes copies de celles-ci à Gilead à l'expiration de la durée de conservation prévue, sauf si les lois et réglementations en vigueur exigent de conserver de telles données.**

Fiche d'initiation de traitement (indication RH+/HER2-)

(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 (si attribution numéro, code alphanumérique ou code alphabétique par le laboratoire) : |_|_|_|

Maladie et biologie

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

Oui Non

Si oui, précisez lesquelles :

- Progression de la maladie
- Apparition d'une neutropénie
- Détérioration de la fonction hépatique
- Apparition d'un critère de non-éligibilité
- Survenue d'une grossesse
- Autre : précisez _____

Pour les femmes en âge de procréer, et les hommes ayant une partenaire en âge de procréer, vérifier l'utilisation d'une méthode de contraception efficace.

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

À ne compléter que si différent de la fiche de demande de traitement.

Si des écarts par rapport à la posologie recommandées sont effectuées, merci de les justifier.

La posologie recommandée de sacituzumab govitecan est de 10 mg/kg de poids corporel, administrée en perfusion intraveineuse une fois par semaine, à J1 et J8 de chaque cycle de traitement de 21 jours. Le traitement doit être poursuivi jusqu'à progression de la maladie ou survenue d'une toxicité inacceptable

Poids du patient (kg) : | _ | _ | _ |

| Dose envisagée de sacituzumab govitecan | Date prévue de début de traitement |
|---|--|
| _ _ _ mg/kg | J1 : _ / _ / _ _ _ _ J8 : _ / _ / _ _ _ _ |

En cas de situation particulière (dose et/ou dates de traitement non conformes au RCP), déclarer auprès du CRPV dont le centre dépend sur le plan géographique via le système national de déclaration : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>.

Traitements concomitants

| À compléter si différent de la fiche de demande de traitement.

L'administration concomitante de sacituzumab govitecan avec des inhibiteurs de UGT1A1 peut augmenter l'incidence des effets indésirables, en raison de l'augmentation potentielle de l'exposition systémique au SN-38. Le sacituzumab govitecan doit être utilisé avec prudence chez les patients recevant des inhibiteurs de l'UGT1A1 (p. ex. propofol, kétoconazole, inhibiteurs de tyrosine kinase EGFR) et des inducteurs de l'UGT1A1 (p. ex. carbamazépine, phénytoïne, rifampicine, ritonavir, tipranavir).

Les patients connus pour avoir une activité réduite de l'UGT1A1 doivent être surveillés attentivement pour d'éventuels effets indésirables. Lorsqu'il n'est pas connu, il n'est pas nécessaire d'analyser le statut UGT1A1 car la prise en charge des effets indésirables, y compris les modifications de dose recommandées, sera la même pour tous les patients. Des médicaments connus pour être un inhibiteur ou un inducteur de l'UGT1A1 ont-ils été introduits ?

Oui Non / Si oui préciser _____

Évaluation de l'effet du traitement par sacituzumab govitecan

Temps jusqu'à arrêt de traitement ou décès

Temps entre la date d'initiation du traitement par sacituzumab govitecan et la date d'arrêt de traitement ou décès, quelle que soit la cause. **Pour collecter cette variable, merci de remplir la fiche d'arrêt définitif de traitement.**

Survie globale

Temps entre la date d'initiation du traitement par sacituzumab govitecan 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, ou via un recueil de cette donnée spécifique réalisé par la CRO 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.

Qualité de vie (EORTC – QLQ C30)

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

La qualité de vie sera mesurée par l'auto-questionnaire EORTC QLQ-C30 en annexe 1.

Les formulaires de qualité de vie sont à remplir AVANT la première administration du médicament puis tous les cycles jusqu'au C4 puis tous les 2 cycles jusqu'à la fin du traitement.

En pratique, sur l'eCRF sera disponible un ePRO qui est une solution sécurisée permettant aux patients de remplir les questionnaires de qualité de vie en ligne directement via un site Web dans le cadre de l'accès précoce du sacituzumab govitecan.

Une activation de cet ePRO est nécessaire par le médecin prescripteur.

Cependant, vous pouvez saisir tout au long de l'accès précoce les questionnaires de vos patients si les patients ne le font pas systématiquement. L'activation de l'ePRO du patient ne bloque pas les accès pour saisie des médecins.

Un Guide ePRO à destination des patients est disponible sur la plateforme de l'accès précoce du sacituzumab govitecan afin de les guider pour la première connexion ainsi que pour la saisie des questionnaires.

Les données collectées via ce site sont exclusivement destinées à l'accès précoce du sacituzumab govitecan et sont entièrement anonymisées. L'email du patient n'étant utilisé que pour communiquer les identifiants et faire des relances en cas de questionnaires non saisis.

Vous pouvez également, mais cette option n'est pas recommandée, envoyer les questionnaires patients au format « papier » par email à la CRO en charge de l'accès précoce. Ces questionnaires ne devront pas mentionner de données à caractère personnel des patients (c'est-à-dire date de naissance complète, nom, prénom, NIP...)

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

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

Oui Non

| **Si oui**, procéder à leur déclaration auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>.

| | |
|--|---|
| Médecin prescripteur Nom/Prénom : _____ Spécialité : _____ N° RPPS : _____ Hôpital : <input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé Numéro FINESS : _____ Tél : Numéro de téléphone. E-mail : xxx@domaine.com Date : __/__/____ Cachet et signature du médecin : | Pharmacien Nom/Prénom : _____ N° RPPS : _____ Hôpital : <input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé Numéro FINESS : _____ Tél : Numéro de téléphone. E-mail : xxx@domaine.com Date : __/__/____ Cachet et signature du pharmacien : |
|--|---|

Fiche de suivi de traitement (indication RH+/HER2-)

(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 : ___/___/_____

Visite de suivi du cycle n° | _ | _ |

Fiche à remplir à chaque cycle de 21 jours

Identification du patient

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

N° patient d'accès précoce (si attribution numéro, code alphanumérique ou code alphabétique par le laboratoire) : | _ | _ | _ |

Conditions d'utilisation

Posologie et durée prescrite

À ne compléter que si différent de la fiche d'initiation de traitement.

La dose recommandée de sacituzumab govitecan est de 10 mg/kg de poids corporel, administrée en perfusion intraveineuse une fois par semaine, à J1 et J8 de chaque cycle de traitement de 21 jours. Le traitement doit être poursuivi jusqu'à progression de la maladie ou survenue d'une toxicité inacceptable.

Poids du patient (kg) : | _ | _ | _ |

| | |
|--|--|
| Numéro du cycle correspondant : | _ _ |
| Date d'administration du sacituzumab govitecan | J1 : ___/___/_____ J8 : ___/___/_____ |
| Dose administrée de sacituzumab govitecan | J1 : _ _ mg/kg J8 : _ _ mg/kg |

En cas de situation particulière (dose et/ou dates de traitement non conformes au RCP), déclarer la auprès du CRPV dont le centre dépend sur le plan géographique via le système national de déclaration : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>.

Traitements concomitants et/ou soins de support

À ne compléter que si différent de la fiche d'initiation de traitement.

Des médicaments connus pour être un inhibiteur ou un inducteur de l'UGT1A1 ont-ils été introduits ?

Oui Non / Si oui préciser : _____

Avez-vous eu recours à des G-CSF : Oui Non

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

| Si oui, préciser les raisons :

Si applicable remplir le tableau suivant :

| | |
|---|---|
| Interruption** du traitement depuis l'initiation du traitement | <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, préciser La raison _____ La date d'interruption : _ / _ / _ _ _ _ La date de réintroduction : _ / _ / _ _ _ _ |
| Modification de dose** depuis l'initiation du traitement | <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, préciser : La raison _____ La date de modification de dose : _ / _ / _ _ _ _ La nouvelle dose : _ _ mg/kg |
| Arrêt du traitement | <input type="checkbox"/> Oui* <input type="checkbox"/> Non |

* En cas d'arrêt définitif, veuillez compléter la fiche d'arrêt définitif de traitement

** En cas d'interruption de traitement ou de modification de dose non conforme au RCP, merci de le déclarer auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>.

Évaluation de l'effet du traitement par sacituzumab govitecan

Temps jusqu'à arrêt de traitement ou décès_

Temps entre la date d'initiation du traitement par sacituzumab govitecan et la date d'arrêt de traitement ou décès, quelle que soit la cause. **Pour collecter cette variable, merci de remplir la fiche d'arrêt définitif de traitement.**

Survie globale

Temps entre la date d'initiation du traitement par sacituzumab govitecan 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, ou via un recueil de cette donnée spécifique réalisé par la CRO 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.

Qualité de vie (EORTC QLQ C-30)

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

Proposer des phrases types permettant de standardiser la collecte du questionnaire de qualité de vie..

La qualité de vie sera mesurée par l'auto-questionnaire EORTC QLQ-C30 en annexe 1.

Pour rappel, les formulaires de qualité de vie sont à remplir AVANT la première administration du médicament puis tous les cycles jusqu'au C4 puis tous les 2 cycles.

En pratique, sur l'eCRF sera disponible un ePRO qui est une solution sécurisée permettant aux patients de remplir les questionnaires de qualité de vie en ligne directement via un site Web dans le cadre de l'accès précoce du sacituzumab govitecan.

Une activation de cet ePRO est nécessaire par le médecin prescripteur.

Cependant, vous pouvez saisir tout au long de l'accès précoce les questionnaires de vos patients si les patients ne le font pas systématiquement. L'activation de l'ePRO du patient ne bloque pas les accès pour saisie des médecins.

Un Guide ePRO à destination des patients est disponible sur la plateforme de l'accès précoce du sacituzumab govitecan afin de les guider pour la première connexion ainsi que pour la saisie des questionnaires.

Les données collectées via ce site sont exclusivement destinées à l'accès précoce du sacituzumab govitecan et sont entièrement anonymisées. L'email du patient n'étant utilisé que pour communiquer les identifiants et faire des relances en cas de questionnaires non saisis.

Vous pouvez également, mais non recommandé, envoyer les questionnaires patients au format « papier » par email à la CRO en charge de l'accès précoce. Ces questionnaires ne devront pas mentionner de données à caractère personnel des patients (c'est-à-dire date de naissance complète, nom, prénom, NIP...)

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

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

Si oui, procéder à leur déclaration auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>.

| 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 | Numéro FINESS : _____ |
| Numéro FINESS : _____ | Tél : Numéro de téléphone. |
| Tél : Numéro de téléphone. | E-mail : xxx@domaine.com |
| E-mail : xxx@domaine.com | Date : __/__/____ |
| Date : __/__/____ | Cachet et signature du pharmacien : |
| Cachet et signature du médecin : | |

Fiche d'arrêt définitif de traitement (Indication RH+/HER2-)

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 (si attribution numéro, code alphanumérique ou code alphabétique par le laboratoire) : | _ | _ | _ |

Posologie à l'arrêt du traitement : _____

Traitement ultérieur mis en place le cas échéant : _____

Raisons de l'arrêt du traitement

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

Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>.

Progression de la maladie

Effet thérapeutique non satisfaisant

Décès

1. Date du décès : __/__/____

2. Raison du décès : Décès lié à un effet indésirable

Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>.

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 (critères d'éligibilité disponibles aux p.17-18), préciser : _____

Autre, préciser : _____

| | |
|--|---|
| <p>Médecin prescripteur</p> <p>Nom/Prénom : _____</p> <p>Spécialité : _____</p> <p>N° RPPS : _____</p> <p>Hôpital :</p> <p><input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé</p> <p>Numéro FINESS : _____</p> <p>Tél : Numéro de téléphone.</p> <p>E-mail : xxx@domaine.com</p> <p>Date : __/__/____</p> <p>Cachet et signature du médecin :</p> | <p>Pharmacien</p> <p>Nom/Prénom : _____</p> <p>N° RPPS : _____</p> <p>Hôpital :</p> <p><input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé</p> <p>Numéro FINESS : _____</p> <p>Tél : Numéro de téléphone.</p> <p>E-mail : xxx@domaine.com</p> <p>Date : __/__/____</p> <p>Cachet et signature du pharmacien :</p> |
|--|---|

Questionnaire qualité de vie

À compléter par le patient AVANT la première administration du médicament puis tous les cycles jusqu'au C4 puis tous les 2 cycles.

La qualité de vie sera mesurée par l'auto-questionnaire EORTC QLQ-C30 en annexe 1.

Pour rappel, les formulaires de qualité de vie sont à remplir AVANT la première administration du médicament puis tous les cycles jusqu'au C4 puis tous les 2 cycles.

En pratique, sur l'eCRF sera disponible un ePRO qui est une solution sécurisée permettant aux patients de remplir les questionnaires de qualité de vie en ligne directement via un site Web dans le cadre de l'accès précoce du sacituzumab govitecan.

Une activation de cet ePRO est nécessaire par le médecin prescripteur.

Cependant, vous pouvez saisir tout au long de l'accès précoce les questionnaires de vos patients si les patients ne le font pas systématiquement. L'activation de l'ePRO du patient ne bloque pas les accès pour saisie des médecins.

Un Guide ePRO à destination des patients est disponible sur la plateforme de l'accès précoce du sacituzumab govitecan afin de les guider pour la première connexion ainsi que pour la saisie des questionnaires.

Les données collectées via ce site sont exclusivement destinées à l'accès précoce du sacituzumab govitecan et sont entièrement anonymisées. L'email du patient n'étant utilisé que pour communiquer les identifiants et faire des relances en cas de questionnaires non saisis.

Vous pouvez également, mais non recommandé, envoyer les questionnaires patients au format « papier » par email à la CRO en charge de l'accès précoce. Ces questionnaires ne devront pas mentionner de données à caractère personnel des patients (c'est-à-dire date de naissance complète, nom, prénom, NIP...)

| Au cours de la semaine passée : | FRENCH (EUROPE) | | | |
|--|------------------------|-------------------|--------------|-----------------|
| | Pas du tout | Un peu | Assez | Beaucoup |
| 17. Avez-vous eu de la diarrhée ? | 1 | 2 | 3 | 4 |
| 18. Avez-vous été fatigué(e) ? | 1 | 2 | 3 | 4 |
| 19. Des douleurs ont-elles perturbé vos activités quotidiennes ? | 1 | 2 | 3 | 4 |
| 20. Avez-vous eu des difficultés à vous concentrer sur certaines choses, par exemple, pour lire le journal ou regarder la télévision ? | 1 | 2 | 3 | 4 |
| 21. Vous êtes-vous senti(e) tendu(e) ? | 1 | 2 | 3 | 4 |
| 22. Vous êtes-vous fait du souci ? | 1 | 2 | 3 | 4 |
| 23. Vous êtes-vous senti(e) irritable ? | 1 | 2 | 3 | 4 |
| 24. Vous êtes-vous senti(e) déprimé(e) ? | 1 | 2 | 3 | 4 |
| 25. Avez-vous eu des difficultés à vous souvenir de certaines choses ? | 1 | 2 | 3 | 4 |
| 26. Votre état physique ou votre traitement médical vous ont-ils gêné(e) dans votre vie <u>familiale</u> ? | 1 | 2 | 3 | 4 |
| 27. Votre état physique ou votre traitement médical vous ont-ils gêné(e) dans vos activités <u>sociales</u> (par exemple, sortir avec des amis, aller au cinéma...) ? | 1 | 2 | 3 | 4 |
| 28. Votre état physique ou votre traitement médical vous ont-ils causé des problèmes financiers ? | 1 | 2 | 3 | 4 |

Pour les questions suivantes, veuillez répondre en entourant le chiffre entre 1 et 7 qui s'applique le mieux à votre situation :

29. Comment évalueriez-vous votre état de santé au cours de la semaine passée ?

1 2 3 4 5 6 7

Très mauvais

Excellent

30. Comment évalueriez-vous l'ensemble de votre qualité de vie au cours de la semaine passée ?

1 2 3 4 5 6 7

Très mauvais

Excellent

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 dérogatoire 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,
- 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 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 : <https://signalement.social-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 touteffet 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*) ;
- 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 : sacituzumab govitecan

Cette annexe comprend :

- un document d'information sur le dispositif d'accès précoce [avant autorisation de mise sur le marché](#);
- une [note d'information sur le traitement des données personnelles](#).

Accès précoce à un médicament avant autorisation de mise sur le marché

Votre médecin vous a proposé un traitement par sacituzumab govitecan du laboratoire pharmaceutique Gilead Sciences SAS 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 ?

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.

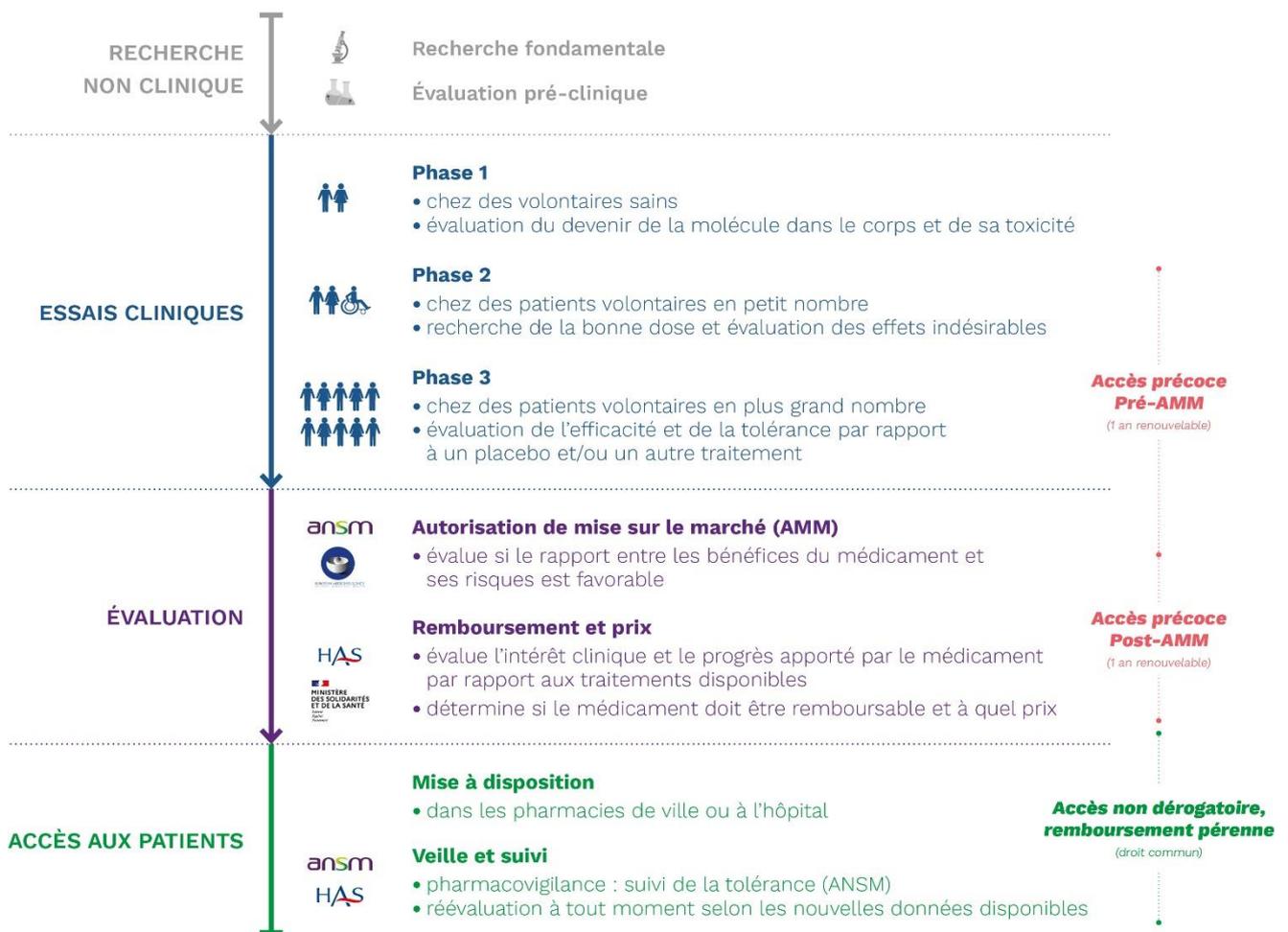
Ce parcours, depuis le début de la recherche fondamentale jusqu'à l'autorisation de mise sur le marché et la décision de remboursement et de prix, prend plusieurs années (voir schéma ci-dessous).

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 :

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

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

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.

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. 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 :

1. 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.) ;
2. 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.

Ce médicament vous sera administré uniquement par votre médecin ou par un(e) infirmier/ère habitué(e) à utiliser des traitements anticancéreux. Il est important que le médecin ou l'infirmier/ère spécialisé(e) dans vos soins ait confirmé que vous pouvez prendre ce médicament, en effectuant une analyse de sang avant le traitement, afin de vérifier votre numération formule sanguine et vos fonctions rénales et hépatique ; ainsi qu'un test de grossesse si vous êtes une femme.

Ces examens seront régulièrement contrôlés par votre médecin et il pourra être amené si nécessaire à modifier la posologie de votre traitement par TRODELVY.

Comment prendre Trodelvy ?

Trodelvy vous sera administré uniquement par votre médecin ou par un(e) infirmier/ère habitué(e) à utiliser des traitements anticancéreux.

Il est important que votre médecin ou l'infirmier/ère spécialisé(e) dans vos soins ait confirmé que vous pouvez prendre ce médicament, en effectuant une analyse de sang avant le traitement.

Médicaments administrés avant le traitement par Trodelvy

Certains médicaments vous seront administrés avant de recevoir Trodelvy, pour atténuer les réactions à la perfusion et de possibles nausées et vomissements. Votre médecin décidera des médicaments dont vous pouvez avoir besoin, et de leur dose.

Quelle dose de Trodelvy allez-vous recevoir

Le traitement pour votre cancer est renouvelé en cycles de 21 jours (3 semaines). La dose recommandée de Trodelvy est de 10 mg par kg de poids corporel au début de chaque cycle (à J1 de chaque cycle), puis de nouveau une semaine plus tard (à J8 de chaque cycle).

Comment prendre votre médicament

Un médecin ou un(e) infirmier/ère vous administrera le médicament via une perfusion intraveineuse (goutte à goutte dans une veine).

Première perfusion : la première perfusion durera 3 heures.

Deuxième perfusion et suivantes : les autres perfusions dureront 1 à 2 heures, si la première s'est déroulée sans incident.

Votre médecin ou votre infirmier/ère vous surveillera pour détecter d'éventuels signes et symptômes de réactions à la perfusion, pendant chaque perfusion et pendant les 30 minutes qui suivent.

Réactions à la perfusion

Votre médecin réduira la vitesse de perfusion de votre médicament si vous faites une réaction liée à la perfusion. Si cette réaction devait engager le pronostic vital, la perfusion sera arrêtée.

Dose de médicament en cas d'apparition de certains effets indésirables

Votre médecin peut modifier la dose ou arrêter la perfusion si vous présentez certains effets indésirables.

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, 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

1. 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

2. 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 sera à remplir avant l'initiation du traitement, puis tous les cycles jusqu'au C4 puis tous les 2 cycles.

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 : <https://signalement.social-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.

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.

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

3. Notice du médicament que vous allez prendre ([à consulter sur le site de l'ANSM](#))
4. Décision de la HAS sur cette autorisation d'accès précoce ([disponible sur le site de la HAS](#))
5. Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données de votre médicament (en annexe de la décision de la HAS)
6. [Informations générales sur les autorisations en accès précoce des médicaments](#)
7. [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.

L'industriel peut ici préciser des noms d'associations s'il en a connaissance.

Mon Réseau Cancer du Sein : <https://www.monreseau-cancerdusein.com/>

Contact : contact@patientsenreseau.fr

Europa Donna : <http://www.europadonna.fr/>

Contact : <http://www.europadonna.fr/contact/> 01 44 30 07 66

Rose-Up : <https://www.rose-up.fr/>

Contact : <https://www.rose-up.fr/nous-contacter/> 01 76 31 04 54

La Ligue Contre le Cancer : <https://www.ligue-cancer.net/>

Contact : 0 800 940 939

Vivre Comme Avant : <https://www.vivrecommeavant.fr/>

Contact : contact@vivrecommeavant.fr

Life is Rose : <https://www.lifeisrose.fr/fr/>

Contact : contact@lifeisrose.fr

Etincelle : <http://www.etincelle.asso.fr/>

Contact : assocetincelle@gmail.com

Juris Santé : <http://www.jurissante.fr/>

Contact : contact@jurissante.fr

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 de Gilead Sciences SAS, 65 quai Georges Gorse, 92100 Boulogne Billancourt, immatriculé au RCS de Nanterre sous le n°391 360 971 en tant que laboratoire titulaire de l'autorisation d'accès précoce.

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 nécessaires 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 seront 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 : privacy@gilead.com

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, les trois premières lettres de votre nom et les deux premières lettres de votre prénom, sexe, poids, taille, 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 : 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 [Gilead Sciences SAS](#) et ses éventuels sous-traitants (société de recherche sous contrat) sous une forme pseudonymisées. Vous ne serez identifié que par les trois premières lettres de votre nom et les deux premières lettres de votre prénom, ainsi que par votre âge.

Vos données pourront également être transmises au personnel habilité des autres sociétés du groupe [Gilead](#) auquel appartient [Gilead Sciences SAS](#).

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 Gilead Sciences SAS 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.

Les garanties suivantes ont notamment été mises en place par Gilead Sciences SAS et le groupe Gilead : un contrat conforme aux clauses contractuelles types établies par la Commission européenne a été signé entre Gilead Sciences SAS et la/les société(s) bénéficiaire(s) du transfert des données personnelles. Gilead Sciences SAS et plus généralement le groupe Gilead mettront également en place toutes mesures supplémentaires qui seraient nécessaires pour garantir un niveau de protection essentiellement équivalent à celui prévu dans l'Espace économique européen, et s'assurera que la législation de tout pays tiers n'empiétera pas sur ces mesures supplémentaires de manière à les priver d'effectivité.

Vous avez le droit de demander une copie de ces garanties au laboratoire pharmaceutique, en contactant le département dédié à la protection des données personnelles de Gilead à l'adresse suivante : privacy@gilead.com.

Combien de temps sont conservées vos données ?

Vos données personnelles sont conservées pendant une durée de 2 ans à compter de la publication par la HAS du résumé du dernier rapport de synthèse pour une utilisation active. Les données seront ensuite archivées pendant la durée de l'autorisation de mise sur le marché (AMM) relative à l'indication thérapeutique ayant fait l'objet d'une autorisation d'accès précoce. 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 DPO@gilead.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.

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 ou directement aux CRPV dont le centre dé-

pend sur le plan géographique pour les médicaments disposant déjà d'une AMM, via le système national de déclaration et le réseau des CRPV : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>, en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.

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 : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/> en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.