

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

Accès précoce – Zilucoplan UCB Pharma

La demande	
Spécialité	Zilucoplan UCB Pharma 16,6 mg, solution injectable en seringue préremplie Zilucoplan UCB Pharma 23 mg, solution injectable en seringue préremplie Zilucoplan UCB Pharma 32,4 mg, solution injectable en seringue préremplie
DCI	Zilucoplan
Indication	Zilucoplan est indiqué en association au traitement standard chez les patients adultes symptomatiques atteints de myasthénie auto-immune généralisée de MGFA stade III et IV réfractaires, c'est-à-dire non répondeurs, non éligibles ou intolérants aux traitements actuellement disponibles et présentant des auto-anticorps anti-RACH.
Date d'octroi	09/03/2023 <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	Clinsearch - 110 Avenue Pierre Brossolette, 92240 Malakoff – https://www.aap-myasthenie-ucb.fr
CRPV en charge du suivi de l'accès précoce, le cas échéant	CRPV de Reims

Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire	dataprivacyfrance@ucb.com
--	---------------------------

Dernière date de mise à jour : 05/05/2023

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

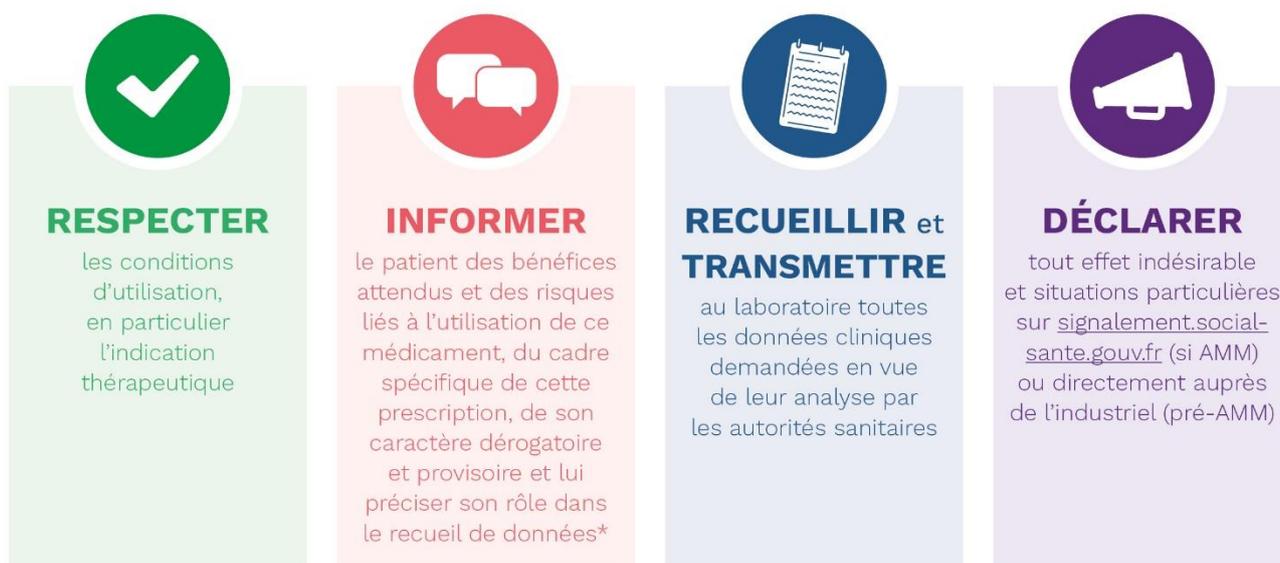
Sommaire

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur	4
Le médicament	6
Calendrier des visites	8
Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients	10
Annexes	11
Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données	11
Annexe 2. Rôle des différents acteurs	41
Annexe 3. Documents d'information à destination des patients avant toute prescription d'un médicament en accès précoce : Nom du médicament	45
Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières	59

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 :



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 09/03/2023, 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 Zilucoplan UCB Pharma dans l'indication : traitement en association au traitement standard chez les patients adultes symptomatiques atteints de myasthénie auto-immune généralisée de MGFA stade III et IV réfractaires, c'est-à-dire non répondeurs, non éligibles ou intolérants aux traitements actuellement disponibles et présentant des auto-anticorps anti-RACH.

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

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

Le médicament

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

Spécialités concernées

Zilucoplan UCB Pharma 16,6 mg, solution injectable en seringue préremplie

Zilucoplan UCB Pharma 23 mg, solution injectable en seringue préremplie

Zilucoplan UCB Pharma 32,4 mg, solution injectable en seringue préremplie

Caractéristiques du médicament

Le zilucoplan est un peptide macrocyclique qui se lie à la fraction C5 de la cascade du complément avec une haute affinité et spécificité. Il empêche le clivage de la fraction C5 en fraction C5a et C5b. Le zilucoplan se lie aux fractions C5 et C5b du système du complément et bloque ainsi la liaison de C5b au composant C6 du système du complément. Ce double mécanisme d'action empêche d'une part, l'activation de la voie terminale du complément et d'autre part, l'assemblage du complexe terminal d'attaque membranaire [C5b-9]).

Indication

Traitement de la myasthénie auto-immune dans sa forme généralisée chez les patients adultes symptomatiques présentant des anticorps anti-récepteurs de l'acétylcholine réfractaire c'est-à-dire non-répondeurs, non éligibles ou intolérants aux traitements actuellement disponibles.

La prise en charge doit être validée par une RCP d'un centre de référence ou de compétence appartenant au réseau FILNEMUS.

En cas d'indication non évidente l'avis pourra être conditionné à un avis de la commission thérapie innovante de la filière FILNEMUS

Posologie

La dose recommandée de zilucoplan est de 0,3 mg/kg de poids corporel, en auto-administration sous-cutanée journalière. La première injection se fera à l'hôpital. Le médicament pourra être auto-administré à domicile pour les injections suivantes après que le patient/son aidant auront été formés à l'auto-injection du traitement.

Il existe une expérience limitée pour les patients au-dessous de 43 kg et au-dessus de 150kg. Ces patients devront recevoir respectivement la plus basse ou la plus haute dose.

Conditions de prescription et de délivrance

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

- Médicament soumis à prescription hospitalière réservée aux spécialistes en neurologie.;
- Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement ;
- Toute demande d'accès précoce au traitement par Zilucoplan doit être validée par une réunion de concertation pluridisciplinaire d'un centre de référence ou de compétence appartenant à la filière FILNEMUS.

Calendrier des visites

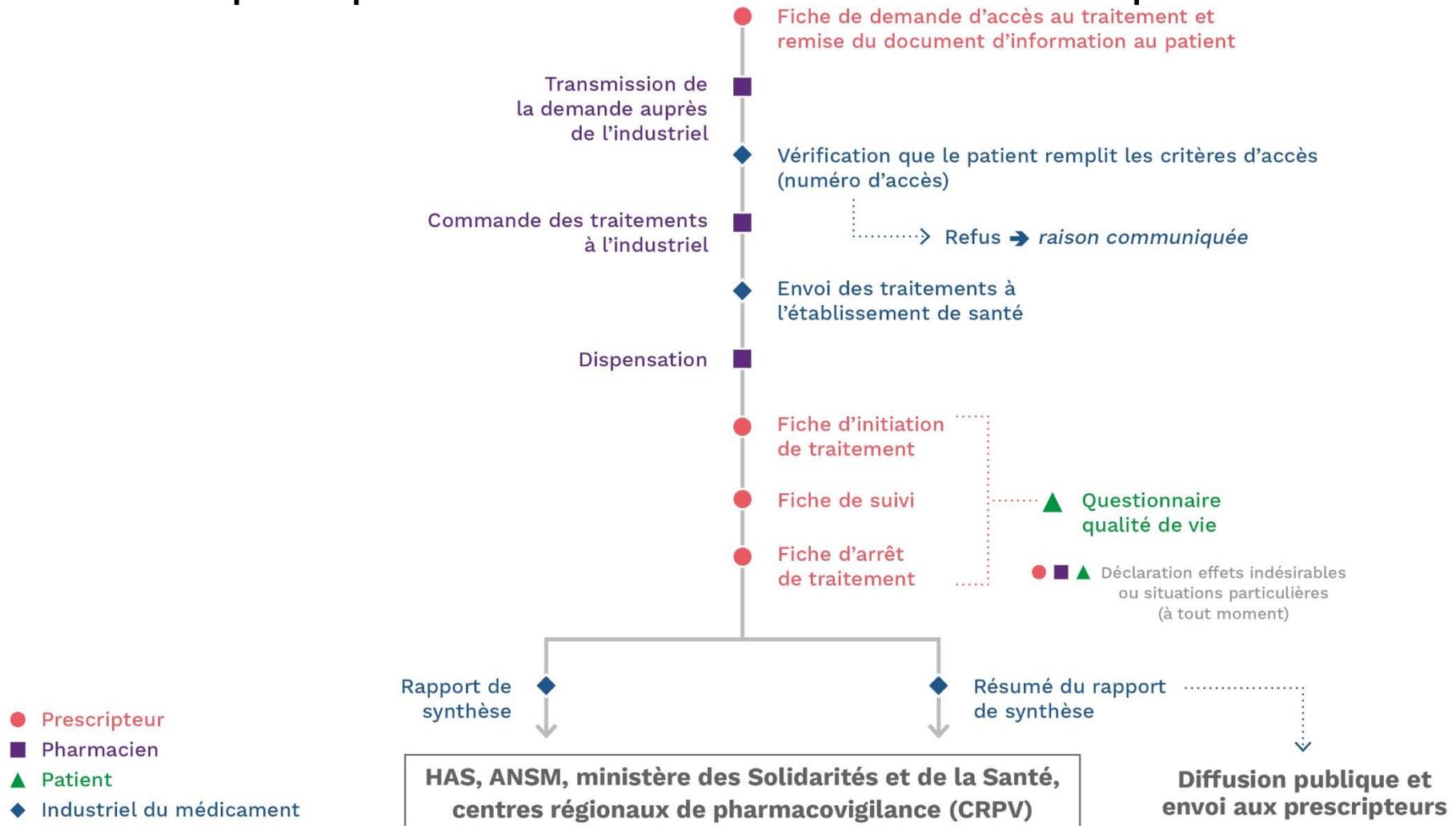
	Demande d'accès	Initiation du traitement ^c	Suivi du traitement (M1, M2, M3, M6, M9, 12...) et/ou arrêt
Remise de la note d'information au patient et de la carte d'information relative aux risques d'infections par méningocoque	X		
Collecte de données sur les caractéristiques des patients			
Vaccination contre le méningocoque et antibiotiques prophylactiques, si nécessaire ^a	X		
Déclaration de conformité médicale aux critères d'éligibilité	X	X	
Antécédents de traitement et histoire de la maladie	X		
Examen clinique	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			

Score MG-ADL		X	X
Score de Garches		X	X
Score MG QoL 15r		X	X
Collecte de données de tolérance/situations particulières			
Déclaration des effets indésirables / situation particulière (voir annexes)		X	X
Interruption définitive de traitement par zilucoplan			X

^a Les patients qui commencent le traitement par le médicament à l'étude moins de 2 semaines après avoir reçu un vaccin contre le méningocoque doivent recevoir un traitement par antibiotiques prophylactiques appropriés (par exemple, Pénicilline V 500mg deux fois par jour, céphalosporine de troisième génération, etc.) jusqu'à au moins 2 semaines après la dose initiale de vaccin(s).

^c Dans les 4 semaines qui suivent la demande d'accès au maximum.

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 : fiche de première administration et fiche de visites de suivi](#)
- [Fiche d'arrêt de traitement](#)
- [Questionnaire de qualité de vie](#)

Lorsqu'un professionnel de santé souhaite effectuer une demande d'accès de traitement à l'AP, il s'enregistre sur la **plateforme de l'accès précoce** : <https://www.aap-myasthenie-ucb.fr> et **réalise sa demande**.

La collecte de données s'effectue par l'application EDClin développée par ClinSearch. Le professionnel de santé qui suit le patient lui remettra le questionnaire de qualité de vie MG QoL 15r sous format papier pour que le patient le complète et lui retourne ensuite.

Fiche de demande d'accès au traitement

À remplir par le prescripteur / pharmacien via la plateforme électronique :

<https://www.aap-myasthenie-ucb.fr>

Date de la demande : __/__/____

Identification du patient

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

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

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	
Date de diagnostic initial	__/__/____
Date de la myasthénie généralisée	__/__/____
Nombre de crises myasthéniques au cours des 2 dernières années	_ _ _
Date de la dernière crise myasthénique	<input type="checkbox"/> NA ou __/__/____
Nombre d'hospitalisations liées à la myasthénie au cours des 2 dernières années	_ _ _
Intubation	<input type="checkbox"/> oui <input type="checkbox"/> non Si oui, nombre _ _
Date de la dernière hospitalisation liée à la myasthénie	<input type="checkbox"/> NA ou __/__/____
Thymectomie	<input type="checkbox"/> oui <input type="checkbox"/> non Si oui, date __/__/____
Thymome actif	<input type="checkbox"/> oui <input type="checkbox"/> non Si oui, date de début __/__/____
Antécédent de thymome	<input type="checkbox"/> oui <input type="checkbox"/> non Si oui, date __/__/____

Traitements antérieurs

Traitements de la myasthénie	<input type="checkbox"/> oui <input type="checkbox"/> non Si oui, précisez : _____
Inhibiteur de la cholinestérase	<input type="checkbox"/> Pyridostigmine <input type="checkbox"/> Ambenomium chlorure
Immunothérapie au long cours	<input type="checkbox"/> Corticoïdes <input type="checkbox"/> Azathioprine <input type="checkbox"/> Méthotrexate <input type="checkbox"/> Mycophenolate mofetyl <input type="checkbox"/> Rituximab. Si oui, date de dernière injection : _ / _ / _ _ _ _ <input type="checkbox"/> Ciclosporine <input type="checkbox"/> Tacrolimus <input type="checkbox"/> Cyclophosphamide
Immunothérapie à court terme	<input type="checkbox"/> Echange plasmatique <input type="checkbox"/> Immunoglobulines
Autres traitements de la myasthénie	<input type="checkbox"/> Eculizumab <input type="checkbox"/> Efgartigimod <input type="checkbox"/> Rozanolixizumab <input type="checkbox"/> Ravulizumab

Traitement par Zilucoplan UCB Pharma

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

Posologie et durée envisagée

Posologie envisagée

La dose recommandée de zilucoplan est de 0,3 mg/kg de poids corporel auto-administrée en sous-cutanée via une seringue préremplie une fois par jour.

Posologie: | _____ | mg/jour

Traitements concomitants et/ou soins de support

Traitements de la myasthénie	<input type="checkbox"/> oui <input type="checkbox"/> non Si oui, précisez : _____
Inhibiteur de la cholinestérase	<input type="checkbox"/> Pyridostigmine <input type="checkbox"/> Ambenomium chlorure
Immunothérapie au long cours	<input type="checkbox"/> Corticoïdes <input type="checkbox"/> Azathioprine <input type="checkbox"/> Méthotrexate <input type="checkbox"/> Mycophenolate mofetyl <input type="checkbox"/> Ciclosporine <input type="checkbox"/> Tacrolimus <input type="checkbox"/> Cyclophosphamide
Immunothérapie à court terme	<input type="checkbox"/> Echange plasmatique <input type="checkbox"/> Immunoglobulines
Autres traitements de la myasthénie	<input type="checkbox"/> Eculizumab <input type="checkbox"/> Efgartigimod <input type="checkbox"/> Rozanolixizumab <input type="checkbox"/> Ravulizumab

Engagement du prescripteur

Critères d'éligibilité

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

- Patients adultes ≥ 18 ans
- Patients symptomatiques atteints de myasthénie auto-immune généralisée réfractaire c'est-à-dire non-répondeurs, non éligibles ou intolérants aux traitements actuellement disponibles
- Myasthénie de classe III-IV selon l'échelle MGFA
- Patients présentant des anticorps anti-récepteurs de l'acétylcholine (aRach)
- Accepte de se conformer à la prévention des infections à méningocoques par la vaccination et/ou l'antibioprophylaxie conformément à l'attestation de vaccination/antibioprophylaxie

- Prise en charge validée lors d'une RCP d'un centre de référence ou de compétences appartenant à la filière FILNEMUS

Se référer au paragraphe 4.6 du RCP pour les précautions relatives à la fertilité, les grossesses et l'allaitement.

Critères de non-éligibilité

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

- Patients présentant une infection par *Neisseria meningitidis* non résolue lors de l'instauration du traitement
- Patients non vaccinés contre *Neisseria meningitidis*
- Hypersensibilité connue à la substance active ou à un des excipients
- Traitement par rituximab dans les 6 mois précédant la première administration
- de zilucoplan.

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

Oui Non

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

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

Une carte de sécurité détaillant ces signes et symptômes, y compris les instructions de consulter immédiatement un médecin, doit également être remise à chaque patient. La carte décrit également les risques d'infection associés à l'inhibition du système du complément terminal. Il est demandé aux patients traités par le zilucoplan de porter la carte de sécurité sur eux à tout moment pendant le traitement.

Je confirme que la prise en charge a été validée lors d'une Réunion de concertation pluridisciplinaire d'un centre de référence ou de compétences appartenant à la filière FILNEMUS : Oui Non

<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>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>
---	---

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

Vos données personnelles sont traitées par UCB Pharma SA (420 rue Estienne d'Orves – 92705 Colombes cedex) aux fins de gestion de l'autorisation d'accès précoce (AAP) pour Zilucoplan. Vous pouvez accéder à vos données, demander leur rectification ou limitation du traitement, en vous adressant au DPO d'UCB Pharma SA : dataprivacyfrance@ucb.com ou 420 rue Estienne d'Orves – 92705 Colombes cedex. Vous ne pouvez pas vous opposer au traitement de vos données ou demander leur effacement ou leur portabilité. Pour une information complète relative au traitement de vos données, veuillez consulter le site internet d'UCB Pharma SA.

Fiche d'initiation de traitement

(Première administration, cette fiche d'initiation ne concerne pas les patients ayant initié le traitement par ZILUCOPLAN dans le cadre de l'Accès compassionnel préalable.)

À remplir par le prescripteur / pharmacien via la plateforme électronique :

<https://www.aap-myasthenie-ucb.fr>

Date de la visite : __/__/__

Identification du patient

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

Poids (kg) : |_|_|_|

N° patient d'accès précoce : |_|_|_|

Maladie et biologie

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

Oui Non

Si oui, précisez lesquelles :

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.

Posologie prescrite : | _____ | mg/jour

Traitements concomitants

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

Traitements de la myasthénie : Oui Non ;

Si oui, précisez : _____

Inhibiteur de la cholinestérase : Pyridostigmine Ambenonium chlorure
Immunothérapie au long cours : Corticoïdes ; Azathioprine ; Méthotrexate ;
 Mycophenolate mofetyl ; Ciclosporine ; Tacrolimus ; Cyclophosphamide
Immunothérapie à court terme : Echange plasmatique Immunoglobulines
Autres traitements de la myasthénie : Eculizumab ; Efgartigimod ; Rozanolixizumab
 Ravulizumab

Évaluation de l'effet du traitement par Zilucoplan UCB Pharma

Score myasthénique de Garches

Barré : max 2.30 : 15 | _ | _ |

Mingazzini : max 75 s : 15 | _ | _ |

Flexion de la tête : sans appui 5 / contre appui 10 | _ | _ |

Relever de la position couchée sans appui : 10 / avec aide 5 / impossible 0 | _ | _ |

Oculomotricité normale 10 / ptosis isolé / diplopie : 0 | _ | _ |

Occlusion palpébrale : complète : 10 / incomplète : 5 / nulle : 0 | _ | _ |

Mastication : normale 10 / faible :5 / nulle : 0 | _ | _ |

Déglutition : normale 10 / dysphagie 5/ fausses routes 0 | _ | _ |

Phonation : voix normale 10 / voix nasonnée 5 / Aphonie 0 | _ | _ |

Score myasthénique de Garches | _ | _ | _ |

(le score ne peut pas être supérieur à 100)

Score de l'activité quotidienne MG-ADL

Élocution : normale 0 / nasonnée intermittente 1 / permanente 2 dysarthrie majeure empêchant d'être compris 3 _

Mastication : normale 0 / fatigue avec aliments solides 1/ fatigue avec aliments semi-liquides 2 / sonde nasogastrique 3 _

Déglutition : normale 0 / troubles épisodiques 1 / troubles fréquents imposant de changer de régime 2 / sonde nasogastrique 3 _

Respiration : normale 0 / dyspnée d'effort 1/ dyspnée de repos 2 ventilation 3 _

Difficultés à se brosser les dents ou à se peigner : aucune 0 / effort mais sans requérir de repos 1 / repos nécessaire 2 / ne peut accomplir aucun de ces gestes 3 _

Difficultés à se lever d'une chaise : aucune 0 / nécessite parfois l'aide des bras 1 / nécessite toujours l'aide des bras 2 / nécessite assistance 3 _

Diplopie : aucune 0 / épisodique mais pas quotidienne 1 / épisodique mais quotidienne 2 / permanent 3 _

Ptosis : aucun 0 / épisodique mais pas quotidienne 1 / épisodique mais quotidienne 2 / permanent 3 _

MG-ADL | _ | _ | _ |

Qualité de vie (MG-QOL 15r)

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

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 laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I. Si le patient a présenté un effet indésirable immédiat / situation particulière, veuillez svp à compléter les fiches correspondantes présentées en annexe et à l'adresser à UCB Pharma SA par e-mail (pharma-covigilance-fr@ucb.com).

Médecin prescripteur

Nom/Prénom : _____

Spécialité : _____

N° RPPS : _____

Hôpital :

CHU CHG CLCC 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 :

CHU CHG CLCC centre privé

Numéro FINESS : _____

Tél : Numéro de téléphone.

E-mail : xxx@domaine.com

Date : __/__/____

Cachet et signature du pharmacien :

Fiche de suivi de traitement

(Visites après la première administration)

À remplir par le prescripteur / pharmacien via la plateforme électronique :

<https://www.aap-myasthenie-ucb.fr>

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 n° à compléter

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

Date de l'administration : __/__/____

Posologie et durée prescrite

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

Posologie prescrite : | _____ | mg/jour

Traitements concomitants et/ou soins de support

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

Traitements de la myasthénie	<input type="checkbox"/> oui <input type="checkbox"/> non Si oui, précisez : _____
Inhibiteur de la cholinestérase	<input type="checkbox"/> Pyridostigmine <input type="checkbox"/> Ambenomium chlorure
Immunothérapie au long cours	<input type="checkbox"/> Corticoïdes <input type="checkbox"/> Azathioprine <input type="checkbox"/> Méthotrexate <input type="checkbox"/> Mycophenolate mofetyl <input type="checkbox"/> Ciclosporine <input type="checkbox"/> Tacrolimus

	<input type="checkbox"/> Cyclophosphamide
Immunothérapie à court terme	<input type="checkbox"/> Echange plasmatique <input type="checkbox"/> Immunoglobulines
Autres traitements de la myasthénie	<input type="checkbox"/> Eculizumab <input type="checkbox"/> Efgartigimod <input type="checkbox"/> Rozanolixizumab <input type="checkbox"/> Ravulizumab

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

| Si oui, préciser les raisons : _____

En cas d'arrêt définitif du traitement, veuillez compléter la fiche d'arrêt définitif du traitement (Annexe 1) et veuillez svp à compléter les fiches correspondantes présentées en annexe et à l'adresser à UCB Pharma SA par e-mail (pharmacovigilance-fr@ucb.com)

En cas d'arrêt temporaire du traitement par Zilucoplan depuis l'initiation, précisez l'intervalle d'interruption :
du __/__/____ au __/__/____

Évaluation de l'effet du traitement par Zilucoplan UCB Pharma

Score myasthénique de Garches

Barré : max 2.30 : 15 | _ | _ |

Mingazzini : max 75 s : 15 | _ | _ |

Flexion de la tête : sans appui 5 / contre appui 10 | _ | _ |

Relever de la position couchée sans appui : 10 / avec aide 5 / impossible 0 | _ | _ |

Oculomotricité normale 10 / ptosis isolé / diplopie : 0 | _ | _ |

Occlusion palpébrale : complète : 10 / incomplète : 5 / nulle : 0 | _ | _ |

Mastication : normale 10 / faible :5 / nulle : 0 | _ | _ |

Déglutition : normale 10 / dysphagie 5/ fausses routes 0 | _ | _ |

Phonation : voix normale 10 / voix nasonnée 5 / Aphonie 0 | _ | _ |

Score myasthénique de Garches | _ | _ | _ |

(le score de peut pas être supérieur à 100)

Score de l'activité quotidienne MG-ADL

Élocution : normale 0 / nasonnée intermittente 1 / permanente 2 dysarthrie majeure empêchant d'être compris 3 _

Mastication : normale 0 / fatigue avec aliments solides 1/ fatigue avec aliments semi-liquides 2 / sonde nasogastrique 3 _

Déglutition : normale 0 / troubles épisodiques 1 / troubles fréquents imposant de changer de régime 2 / sonde nasogastrique 3 _

Respiration : normale 0 / dyspnée d'effort 1/ dyspnée de repos 2 ventilation 3 _

Difficultés à se brosser les dents ou à se peigner : aucune 0 / effort mais sans requérir de repos 1 / repos nécessaire 2 / ne peut accomplir aucun de ces gestes 3 _

Difficultés à se lever d'une chaise : aucune 0 / nécessite parfois l'aide des bras 1 / nécessite toujours l'aide des bras 2 / nécessite assistance 3 _

Diplopie : aucune 0 / épisodique mais pas quotidienne 1 / épisodique mais quotidienne 2 / permanent 3 _

Ptosis : aucun 0 / épisodique mais pas quotidienne 1 / épisodique mais quotidienne 2 / permanent 3 _

MG-ADL | _ | _ | _ |

Qualité de vie (MG-QOL 15r)

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

Survenue d'une crise myasthénique : oui non

Si oui, précisez : Date - __/__/____; Durée : _____ jours

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 laboratoire via la fiche de déclaration en annexe : si le patient a présenté un effet indésirable immédiat / situation particulière, veuillez svp à compléter les fiches correspondantes présentées en annexe et à l'adresser à UCB Pharma SA par e-mail (pharmacovigilance-fr@ucb.com) .

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

Fiche d'arrêt définitif de traitement

À remplir par le prescripteur / pharmacien via la plateforme électronique :

<https://www.aap-myasthenie-ucb.fr>

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: | _ | _ | _ |

Posologie à l'arrêt du traitement : _____ | mg/jour

Traitement ultérieur initié le cas échéant : _____

Raisons de l'arrêt du traitement

Fin de traitement (définie dans le RCP)

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

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

* Progression de la maladie

* Effet thérapeutique non satisfaisant

* Décès

| *Si vous avez coché l'une des cases comportant un astérisque, veuillez svp à compléter les fiches correspondantes présentées en annexe et à l'adresser à UCB Pharma SA par e-mail (pharmacovigilance-fr@ucb.com).

1. Date du décès : __/__/____

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

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

Décès lié à la progression de la maladie

Autre raison : _____

Souhait du patient d'interrompre le traitement

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

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

Autre, préciser : _____

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

Questionnaire qualité de vie

À compléter par le patient

Veillez indiquer dans quelle mesure chaque énoncé a été vrai (au cours des quelques dernières semaines).

1. Je suis découragé(e) et en colère à cause de ma MG
2. J'ai du mal à utiliser mes yeux à cause de ma MG (p. ex., vision double)
3. J'ai du mal à manger à cause de la MG
4. J'ai limité mes activités sociales à cause de ma MG
5. Ma MG limite ma capacité à profiter de mes hobbies et loisirs
6. J'ai du mal à subvenir aux besoins de ma famille à cause de ma MG
7. Mes projets doivent tenir compte de ma MG
8. Je suis gêné(e) par les limitations que ma MG impose dans mon travail (y compris le travail à la maison)
9. J'ai des difficultés à parler à cause de ma MG
10. J'ai perdu de mon indépendance à cause de ma MG (p. ex., pour conduire, aller faire les magasins, faire des courses)
11. Je suis déprimé(e) à cause de ma MG
12. J'ai du mal à marcher à cause de ma MG
13. J'ai du mal à me déplacer dans des lieux publics à cause de ma MG
14. Je suis accablé(e) par ma MG
15. J'ai du mal à prendre soin de moi à cause de ma MG

Pas du tout	Un peu	Beaucoup
0	1	2

MG-QOL15r

Muscle and Nerve 2016 Dec;54(6):1015-1022.

Score MG-QOL15r total

MG-QOL15r - France/French - Version of 10 Aug 18 - Mapi-ICON.
MG-QOL15r_AU1.0_fra-FR.doc

1. Zilucoplan								
2.								
3.								
Action prise vis-à-vis du produit UCB suspecté		Le(s) effet(s) ont-ils régressé après arrêt/diminution de la dose du produit UCB ?	Le(s) effet(s) ont-ils réapparu après réintroduction du produit UCB ?	Le patient a-t-il déjà été exposé au produit UCB suspecté ?	Si oui, l'a-t-il bien toléré ?			
<input type="checkbox"/> Aucune <input type="checkbox"/> Non applicable <input type="checkbox"/> Définitivement arrêté <input type="checkbox"/> Momentanément interrompu - Si oui, date d'interruption : - Date de reprise : - Dosage : <input type="checkbox"/> Dose réduite - Si oui, date de réduction de dose : - Nouveau dosage : <input type="checkbox"/> Dose augmentée - Si oui, date d'augmentation de dose : - Nouveau dosage :		<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu <input type="checkbox"/> Non applicable	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu <input type="checkbox"/> Non applicable	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu			
Est-ce que ce rapport concerne : N.B.: Si un élément est coché, le détailler dans le champ description en p. 2.								
<input type="checkbox"/> utilisation hors AMM <input type="checkbox"/> surdosage <input type="checkbox"/> mésusage <input type="checkbox"/> abus <input type="checkbox"/> erreur médicamenteuse <input type="checkbox"/> exposition professionnelle <input type="checkbox"/> interaction médicamenteuse <input type="checkbox"/> exposition lors de la grossesse et/ou lors de l'allaitement <input type="checkbox"/> exposition paternelle (altération des spermatozoïdes) <input type="checkbox"/> suspicion d'inefficacité thérapeutique (partielle ou totale) <input type="checkbox"/> effet thérapeutique inattendu <input type="checkbox"/> suspicion de transmission d'un agent infectieux via un produit UCB <input type="checkbox"/> suspicion d'effet indésirable associé à une suspicion de médicament falsifié <input type="checkbox"/> suspicion d'effet indésirable associé à une suspicion de défaut de qualité (combiné à une réclamation)								
Autre(s) traitement(s) en cours <small>(au-delà de 4, compléter le champ description ci-dessous)</small>	Dose / Prise	Unité	Nb de doses reçues <small>(pour les produits biologiques)</small>	Fréquence	Voie	Dates de traitement (jj/mm/aa)		Indication(s) thérapeutique(s)
						Début	Fin <small>(préciser si en cours)</small>	
1.								
2.								
3.								
4.								
ANTECEDENTS PERTINENTS (survenus avant l'apparition de l'effet)								
<input type="checkbox"/> Alcool : <input type="checkbox"/> Tabac : <input type="checkbox"/> Usage de stupéfiants : <input type="checkbox"/> Contraception orale : <input type="checkbox"/> Trouble métabolique : <input type="checkbox"/> Régime alimentaire : <input type="checkbox"/> Radiothérapie : <input type="checkbox"/> Implants : <input type="checkbox"/> Pacemaker : <input type="checkbox"/> Allergies : <input type="checkbox"/> Antécédent de grossesse : <input type="checkbox"/> Anomalie congénitale/génétique : <input type="checkbox"/> Procédure : <input type="checkbox"/> Traitements antérieurs (spécifier) : <input type="checkbox"/> Biothérapie(s) précédemment prescrite?								

Spécifier (nom du médicament/dosage) : Date de début : Date de fin :

Aucun facteur de risque

AUTRES ANTECEDENTS PERTINENTS

DESCRIPTION DE(S) L'EFFET(S) (y inclure les actions/traitements correcteurs instaurés) **ET COMMENTAIRES** Joindre une copie anonymisée de tout compte-rendu éventuel d'hospitalisation, de consultation, tout résultat d'examen complémentaire ou tout commentaire qui pourrait être utile à l'évaluation du cas.

RESULTATS D'EXAMENS

#	Date	Nom du test	Normale basse	Normale haute	Résultat	Unité	Commentaire
1.							
2.							
3.							

Autres résultats d'examens complémentaires

Ce cas a-t-il été déclaré à un Centre Régional de Pharmacovigilance (CRPV) ? Non Oui, lequel ?
Date :

Nom du notificateur :

Date :

Cachet :

Profession :

Adresse :

Téléphone :

Signature :

E-mail :

N° de dossier UCB :

Formulaire à remplir par le prescripteur et à envoyer au département de pharmacovigilance d'UCB Pharma SA à l'adresse e-mail suivante: pharmacovigilance-fr@ucb.com et dans les 24 heures suivant la prise de connaissance de l'effet indésirable

Fiche de signalement de situations particulières



ANNEXE : FORMULAIRE DE SIGNALEMENT DE GROSSESSE

Référence : sop-af-010762

Version : 6.0

Associé à : sop-016047

Page 30 of 60

UCB PHARMA S.A - Service Pharmacovigilance - Défense Ouest - 420 rue d'Estienne
d'Orves –

92705 Colombes Cedex (France) - pharmacovigilance-fr@ucb.com

**Produit UCB : Zilucoplan 40mg/mL solution
injectable en seringue pré-remplie**

N° de dossier UCB :

Coordonnées du notificateur :

Nom :

Profession :

Cachet :

Adresse :

Téléphone :

Fax :

E-mail :

Signature :

Ce cas a-t-il été déclaré à l'ANSM ou un Centre Régional de Pharmacovigilance (CRPV) ? Non Oui, lequel ?

Section A : A compléter pour toute grossesse

A1. N° d'AAP :

A2. Date de naissance ou Age ou Groupe d'âge :

Initiales de la patiente : Nom : |_|_|_|

Prénom : |_|_|

A3. Grossesse en cours	<input type="checkbox"/> Oui	<input type="checkbox"/> Non	<input type="checkbox"/> Inconnu
Si Oui ou Inconnu, compléter uniquement la Section A. Si Non, compléter les Sections A et B.			

A4. Grossesse sous contraception Oui Non Inconnu

Si Oui, l'échec de contraception est-il selon vous relié au produit UCB ? Relié Non relié

Si Oui, préciser le mode de contraception utilisé par la patiente :

Oral, préciser:

Préservatif Spermi- Dispositif intra-utérin Patch
cide

Anneau vaginal Autre, préciser :

A5. Date du premier jour des dernières règles : J J M M 2 0 A A OU Inconnu

A6. Date estimée ou date corrigée de l'accouchement : J J M M 2 0 A A

A7. Age de la patiente à la date estimée de l'accouchement : ans

A8. Nombre de fœtus : Fœtus (Note : 1 = 1 bébé ; 2 = jumeaux ; 3 = triplets, etc)

A9. Noter les antécédents médicaux de la patients (si besoin, noter tous les antécédents médicaux au dos de ce formulaire)

Maladies/Affections	Date de début (JJ/MM/AA)	Date de fin (JJ/MM/AA) <u>OU</u> en cours	Description (Information complémentaire)
	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <u>OU</u> <input type="checkbox"/> En cours	
	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <u>OU</u> <input type="checkbox"/> En cours	
	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <u>OU</u> <input type="checkbox"/> En cours	
	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <u>OU</u> <input type="checkbox"/> En cours	

A10. Noter les traitements pris par la patiente dans le passé (si besoin, noter tous les médicaments concomitants que votre patiente prend/prenait pendant la grossesse au dos de ce formulaire) :

Médicaments pris dans le passé	Date de début (JJ/MM/AA)	Date de fin (JJ/MM/AA) <u>OU</u> en cours	Description (Information complémentaire)
	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <u>OU</u> <input type="checkbox"/> En cours	
	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <u>OU</u> <input type="checkbox"/> En cours	
	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <u>OU</u> <input type="checkbox"/> En cours	
	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <u>OU</u> <input type="checkbox"/> En cours	

A11. Noter les traitements de la patiente (produits UCB compris) pris pendant la grossesse (si besoin, noter tous les médicaments concomitants que votre patiente prend/prenait pendant la grossesse au dos de ce formulaire) :

Nom du produit <i>(indiquer le numéro de lot pour les produits biologiques)</i>	Trimestre	Dose par prise / Unité	Fréquence	Formulation	Date de début <i>(JJ/MM/AA)</i>	Date de fin <i>(JJ/MM/AA)</i> OU <input type="checkbox"/> En cours	Indication
	<input type="checkbox"/> 1 ^{er} <input type="checkbox"/> 2 nd <input type="checkbox"/> 3 ^{me}				JJ / MM / AA	JJ / MM / AA OU <input type="checkbox"/> En cours	
	<input type="checkbox"/> 1 ^{er} <input type="checkbox"/> 2 nd <input type="checkbox"/> 3 ^{me}				JJ / MM / AA	JJ / MM / AA OU <input type="checkbox"/> En cours	
	<input type="checkbox"/> 1 ^{er} <input type="checkbox"/> 2 nd <input type="checkbox"/> 3 ^{me}				JJ / MM / AA	JJ / MM / AA OU <input type="checkbox"/> En cours	

A12. Poids et taille actuels : Poids: . kg Taille: . c m

A13. Poids et taille avant grossesse : Poids: . kg Taille: . c m

A14. Y a-t-il eu des tests prénataux effectués ? Oui Non Inconnu

.....

Si Oui, préciser les tests effectués :	Date d'examen <i>(JJ/MM/AA)</i>	Présence d'anomalie ?	Si Oui, préciser les anomalies
	JJ / MM / AA	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non	
	JJ / MM / AA	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non	

	JJ / MM / AA	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non	
	JJ / MM / AA	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non	

A15. Est-ce une première grossesse ? Oui Non Inconnu

Si Non, compléter les questions ci-dessous :

La patiente a-t-elle des antécédents :

D'avortement spontané ou une fausse couche ?	<input type="checkbox"/> Oui	<input type="checkbox"/> Non	<input type="checkbox"/> Inconnu
---	------------------------------	------------------------------	----------------------------------

D'interruption volontaire de grossesse ?	<input type="checkbox"/> Oui	<input type="checkbox"/> Non	<input type="checkbox"/> Inconnu
---	------------------------------	------------------------------	----------------------------------

De grossesse ectopique ou molaire ?	<input type="checkbox"/> Oui	<input type="checkbox"/> Non	<input type="checkbox"/> Inconnu
--	------------------------------	------------------------------	----------------------------------

D'enfant mort-né?	<input type="checkbox"/> Oui	<input type="checkbox"/> Non	<input type="checkbox"/> Inconnu
----------------------------	------------------------------	------------------------------	----------------------------------

De diabète gestationnel?	<input type="checkbox"/> Oui	<input type="checkbox"/> Non	<input type="checkbox"/> Inconnu
-----------------------------------	------------------------------	------------------------------	----------------------------------

De pré/éclampsie?	<input type="checkbox"/> Oui	<input type="checkbox"/> Non	<input type="checkbox"/> Inconnu
----------------------------	------------------------------	------------------------------	----------------------------------

De naissance avant-terme ?	<input type="checkbox"/> Oui	<input type="checkbox"/> Non	<input type="checkbox"/> Inconnu
-------------------------------------	------------------------------	------------------------------	----------------------------------

A16. Antécédents familiaux de malformations congénitales :

Antécédents de malformations congénitales reliés		Si Oui, préciser les anomalies congénitales et la relation avec le patient (Ex. tante, cousin, etc.), si applicable
Aux antécédents familiaux de la mère	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu	
Aux antécédents personnels de la mère (précédentes grossesses)	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu	
Aux antécédents familiaux du père	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu	
Aux antécédents personnels du père (vis-à-vis des précédentes grossesses)	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu	

Section B : Compléter cette section après l'accouchement

B1. Date de l'accouchement:

J	J	M	M	2	0	A	A
---	---	---	---	---	---	---	---

B2. Age gestationnel à l'accouchement:

--	--

Semaines

--	--

Jours

B3. Issue de la grossesse :

Issue	Type du travail	Type d'accouchement	Relation au produit UCB
Nouveau-né vivant (<i>compléter également la section C</i>)		<input type="checkbox"/> Vaginal <input type="checkbox"/> Césarienne programmée <input type="checkbox"/> Césarienne médicalement nécessaire	
Enfant mort-né	<input type="checkbox"/> Déclenché <input type="checkbox"/> Spontané	<input type="checkbox"/> Vaginal <input type="checkbox"/> Césarienne programmée <input type="checkbox"/> Césarienne médicalement nécessaire	<input type="checkbox"/> Relié <input type="checkbox"/> Non Relié
Avortement spontané ou fausse couche spontanée			<input type="checkbox"/> Relié <input type="checkbox"/> Non Relié
Interruption volontaire de grossesse ou avortement programmé			<input type="checkbox"/> Relié <input type="checkbox"/> Non Relié
Interruption de grossesse pour raison médicale, préciser : <input type="checkbox"/> Grossesse ectopique <input type="checkbox"/> Grossesse molaire <input type="checkbox"/> Autre, préciser : _____			<input type="checkbox"/> Relié <input type="checkbox"/> Non Relié
Dans le cadre d'avortement spontané, fausse couche, interruption volontaire de grossesse ou avortement programmé, merci de préciser les informations suivantes :			
Une anomalie fœtale a-t-elle été observée ?	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non	Si oui, préciser :	
Une pathologie génétique a-t-elle été détectée ou un dépistage génétique a-t-il été réalisé ?	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non	Si oui, préciser :	

B4. Durant la grossesse, la patiente a-t-elle été diagnostiquée avec l'une des pathologies suivantes ?

Pathologies	Diagnostiqué	Date de début	Date de fin <u>ou en</u> cours	Relation au produit UCB
Dépression	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <input type="checkbox"/> En cours	<input type="checkbox"/> Relié <input type="checkbox"/> Non Relié
Hyperémèse gravidique modérée à sévère	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <input type="checkbox"/> En cours	<input type="checkbox"/> Relié <input type="checkbox"/> Non Relié
Diabète gestationnel	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <input type="checkbox"/> En cours	<input type="checkbox"/> Relié <input type="checkbox"/> Non Relié
Hypo/hyperthyroïdisme Préciser: _____	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <input type="checkbox"/> En cours	<input type="checkbox"/> Relié <input type="checkbox"/> Non Relié
Pré-éclampsie	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <input type="checkbox"/> En cours	<input type="checkbox"/> Relié <input type="checkbox"/> Non Relié
Eclampsie	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <input type="checkbox"/> En cours	<input type="checkbox"/> Relié <input type="checkbox"/> Non Relié
Insuffisance cervicale	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <input type="checkbox"/> En cours	<input type="checkbox"/> Relié <input type="checkbox"/> Non Relié
Travail prématuré	<input type="checkbox"/> Oui ← <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Inconnu	JJ / MM / AA	JJ / MM / AA <input type="checkbox"/> En cours	<input type="checkbox"/> Relié <input type="checkbox"/> Non Relié

Exposition à un produit UCB au cours de l'allaitement : Oui Non Inconnu

Inconnu Si oui, le bébé a-t-il présenté un événement indésirable ? Oui Non

Préciser :

C6. Le bébé a-t-il été diagnostiqué avec l'une des conditions suivantes ?

Retard de croissance: Oui Non Inconnu

Retard de développement: Oui Non Inconnu

Si **Oui**, préciser : Retard de développement:

Relation au produit UCB: Relié Non Relié

Anomalie congénitale Oui Non Inconnu

Si **Oui**, préciser : Anomalie spécifique:

Relation au produit UCB: Relié Non Relié

C7. Le nourrisson a-t-il été admis dans une unité de soins intensifs ou une unité de soins spécialisés depuis sa naissance ? Oui Non Inconnu

Si **Oui**, préciser : Raison de l'admission:

Relation au produit UCB:

Relié

Non Relié

« Les informations recueillies sont nécessaires à l'exercice de la pharmacovigilance, dont l'objet est l'amélioration continue des connaissances et la sécurité d'emploi des produits de santé. Ces informations peuvent être partagées avec d'autres entités UCB, des sociétés partenaires impliquées dans la pharmacovigilance et des autorités réglementaires de par le monde. Ces données font l'objet d'un traitement informatique et à ce titre, conformément au règlement général sur la protection des données et à la loi n° 78-17 « informatique et libertés » du 6 janvier 1978 modifiée, vous, ainsi que vos patients, bénéficiez d'un droit d'accès, de rectification et à la limitation des données qui vous concernent, en écrivant au : Pharmacien responsable d'UCB Pharma SA - Défense Ouest - 420 rue d'Estienne d'Orves - 92705 Colombes Cedex ou à dataprivacyfrance@ucb.com. Dans la mesure où le traitement est fondé sur une obligation légale, les personnes concernées par la collecte des données ne bénéficient ni du droit à l'opposition, ni du droit à l'effacement des données, ni du droit à la portabilité des données. Veuillez informer votre patient à ce sujet. »

Formulaire à remplir par le prescripteur et à envoyer au département de pharmacovigilance d'UCB Pharma SA à l'adresse e-mail suivante: pharmacovigilance-fr@ucb.com et dans les 24 heures suivant la prise de connaissance de l'effet indésirable.

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 : <http://signalement-sante.gouv.fr/>.

3. Rôle du laboratoire

L'entreprise qui assure l'exploitation du médicament :

- réceptionne les fiches de demandes d'accès au traitement, d'initiation et de suivi, et intègre les données dans sa base de suivi de l'accès précoce ;
- vérifie que les patients répondent aux critères d'éligibilité de l'accès précoce (notamment en ce qui concerne les indications thérapeutiques et contre-indications) ;
- adresse, au prescripteur et à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné, l'avis favorable d'accès au traitement ou l'avis défavorable ;
- est responsable de traitement au sens du règlement général sur la protection des données (RGPD) ;
- collecte et analyse toutes les informations recueillies dans le cadre du PUT-RD, notamment les données d'efficacité et de pharmacovigilance. Il établit selon la périodicité définie en 1^{er} page, le rapport de synthèse accompagné d'un projet de résumé qu'il transmet à la HAS et à l'ANSM et au CRPV en charge du suivi de l'accès précoce, puis transmet le résumé de ce rapport, publié par la HAS et l'ANSM, aux médecins, aux pharmacies à usage intérieur concernées ainsi qu'à l'ensemble des CRPV et Centres antipoison ;
- respecte et applique les obligations réglementaires en matière de pharmacovigilance : il enregistre, documente, et déclare via Eudravigilance tout effet indésirable suspecté d'être dû au médicament selon les conditions prévues à l'article R. 5121-166 du Code de la santé publique et aux GVP Module VI (*Collection, management and submission of reports of suspected adverse reactions to medicinal products*) ;
- 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 : Zilucoplan UCB Pharma

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 Zilucoplan UCB Pharma du laboratoire pharmaceutique UCB 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.

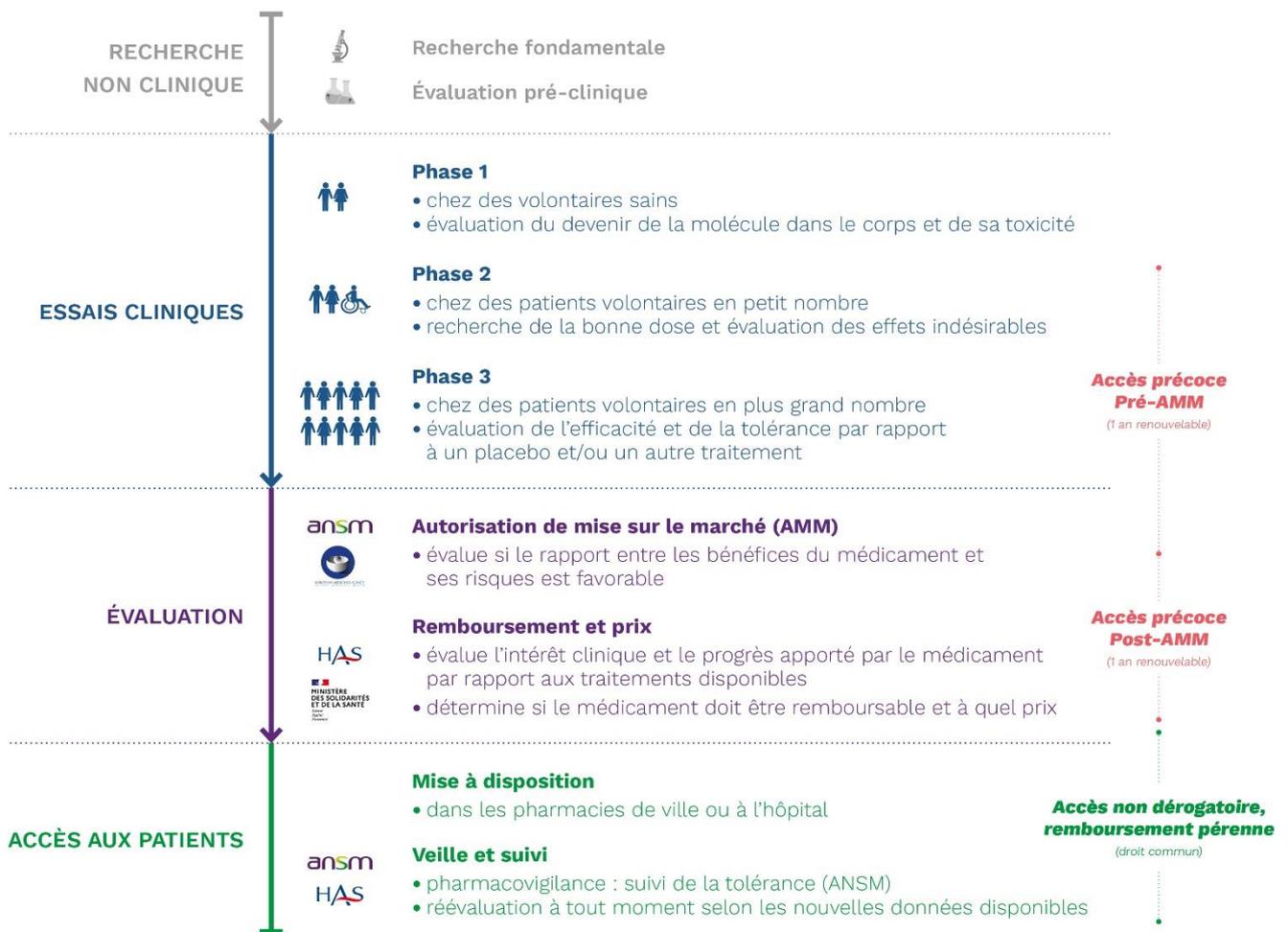
Ce parcours, depuis le début de la recherche fondamentale jusqu'à l'autorisation de mise sur le marché et la décision de remboursement et de prix, prend plusieurs années (voir schéma ci-dessous).

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.

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

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

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

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

En pratique, comment allez-vous recevoir ce médicament ?

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

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

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.

La période de traitement sera accordée pour une utilisation quotidienne chronique. Le zilucoplan peut être administré en complément de votre traitement habituel. Vous pouvez continuer à recevoir votre traitement habituel contre la myasthénie pendant la durée de l'accès précoce. Le traitement dans le cadre de l'accès précoce sera arrêté si vous ne répondez pas au traitement par ce médicament.

Le traitement par zilucoplan sera initié et supervisé par un médecin spécialiste expérimenté dans la prise en charge des troubles neuromusculaires ou neuro-inflammatoires. Après une formation adaptée, votre médecin vous autorisera à vous injecter vous-même ce médicament.

L'administration peut également être effectuée par une autre personne ayant été correctement formée à l'administration d'injections sous-cutanées (sous la peau).

Veillez à toujours prendre ce médicament en suivant exactement les indications de votre médecin ou pharmacien. Vérifiez auprès de votre médecin ou pharmacien en cas de doute.

Au moins 2 semaines avant le début de votre traitement par zilucoplan, votre médecin vous administrera un vaccin contre l'infection à méningocoque s'il n'a pas été administré auparavant ou si votre vaccination est périmée. Si vous n'êtes pas vacciné au moins 2 semaines avant le début du traitement par zilucoplan, votre médecin vous prescrira des antibiotiques pour réduire le risque d'infection jusqu'à 2 semaines après que vous ayez reçu votre première dose de vaccin.

La dose recommandée de zilucoplan est de 0,3 mg/kg, administrée en injection sous-cutanée une fois par jour. Il faut toujours administrer la dose quotidienne à peu près à la même heure de la journée.

Votre médecin vous remettra :

- La brochure d'information pour les patients. Elle vous servira de guide pour votre traitement, et contient des informations importantes concernant la sécurité d'emploi de zilucoplan dont vous devez avoir connaissance avant, pendant et après votre traitement.

- Une carte de sécurité détaillant signes et symptômes de la MG, y compris les instructions de consulter immédiatement un médecin, vous sera remise par votre médecin. La carte décrit également les risques d'infection associés à l'inhibition du système du complément terminal. Vous devrez porter la carte de sécurité sur vous à tout moment pendant le traitement.

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

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

Chez vous, entre les consultations

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

Le questionnaire de qualité de vie MG QoI 15r, vous sera remis par votre médecin sous format papier pour que vous le complétiez à votre aise et le lui retourniez ensuite.

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 : <http://signalement-sante.gouv.fr/>.

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

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'examen 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

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

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

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

- L'AFM Téléthon, Groupe d'intérêt Myasthénie – <https://afm-telethon.fr/groupe-interet-myasthenies-1093> / myasthenie@afm-telethon.fr

- L'Association des Myasthéniques Isolés et Solidaires (A.M.I.S.) – association.amis@myasthenie.com / pierre.boulanger@myasthenie.com (Président)

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 UCB en tant que laboratoire titulaire de l'autorisation d'accès précoce.

Informations sur le traitement de vos données personnelles :

Si vous acceptez d'être traité(e) par zilucoplan dans le cadre de cette autorisation d'accès précoce, votre médecin devra collecter des informations à votre sujet. Ces informations confidentielles seront transmises au laboratoire UCB Pharma SA sous une forme codée. Ce code d'identification est composé des trois premières lettres de votre nom et les deux premières lettres de votre prénom. Seul votre médecin prescripteur a la possibilité d'associer ce code à votre identité.

En tant que responsable de traitement, le laboratoire UCB Pharma SA est tenu au respect des dispositions du Règlement 2016/679/UE du 27 avril 2016 (dit RGPD) et de la loi n°78-17 du 6 janvier 1978 « Informatique et Libertés » modifiée.

À quoi vont servir vos données ?

Ce traitement de données personnelles vise à permettre la collecte, l'enregistrement, l'analyse, le suivi, la documentation, la transmission et la conservation des données relatives à l'accès, à l'initiation, au suivi et à l'arrêt des prescriptions de zilucoplan dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce et à des fins de gestion de la pharmacovigilance.

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 »

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

et après accomplissement des formalités nécessaire auprès de la CNIL. Dans ce cadre, elles pourront être utilisées de manière complémentaire avec d'autres données vous concernant. Cela signifie que vos données personnelles collectées au titre de l'accès précoce pourront être croisées avec des données du système national des données de santé (SNDS), qui réunit plusieurs bases de données de santé (telles que les données de l'Assurance maladie et des hôpitaux).

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

Les informations relatives à une nouvelle recherche à partir de vos données 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 : dataprivacyfrance@ucb.com

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).

L'utilisation ultérieure de vos données personnelles à des fins de recherche, d'étude ou d'évaluation dans le domaine de la santé est fondée sur l'intérêt légitime du laboratoire UCB Pharma SA et la nécessité à des fins de recherche scientifique.

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 UCB et ses éventuels sous-traitants (société de recherche sous contrat) sous une forme pseudomysées. 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 auquel appartient Clinsearch.

Au sein du laboratoire UCB Pharma SA, seuls les services suivants auront accès à vos données codées :

- le pharmacien responsable ou son représentant, ainsi que toute personne dûment habilitée et placée sous sa responsabilité, dans la limite de leurs attributions et pour ce qui les concerne,
- le responsable de la pharmacovigilance, ainsi que les collaborateurs placés sous sa responsabilité, dans la limite de leurs attributions et pour ce qui les concerne,
- les membres des services en charge des affaires médicales, de la recherche et du développement, des affaires réglementaires, dans la limite de leurs attributions et pour ce qui les concerne,
- les membres du service en charge de la gestion des commandes, de l'approvisionnement et de la distribution des médicaments, dans la limite de leurs attributions et pour ce qui les concerne,
- les membres du service des audits peuvent, de façon ponctuelle et motivée, avoir accès à ces données pour vérifier le respect des exigences réglementaires et des procédures internes, dans la limite de leurs attributions et pour ce qui les concerne.

Peuvent également être destinataires de vos données codées :

- les prestataires de services intervenant dans la mise en œuvre de l'AAP, dans le cadre et la limite de leurs fonctions et dans les conditions définies par le contrat les liant au laboratoire UCB Pharma SA,
- les autres sociétés du groupe UCB, ainsi que ses partenaires qui participent à la mise en œuvre de l'AAP,
- les organismes publics communautaires, nationaux ou locaux en charge de la surveillance des médicaments sous AAP, dans le cadre de l'exercice de leurs missions telles que définies par les textes, notamment l'ANSM, les Centres Régionaux de Pharmacovigilance (CRPV) et les Centres anti-poison (CAP).
- la limite de leurs fonctions et dans les conditions définies par le contrat les liant au laboratoire UCB Pharma SA,
- les autres sociétés du groupe UCB, ainsi que ses partenaires qui participent à la mise en œuvre de l'AAP,
- les organismes publics communautaires, nationaux ou locaux en charge de la surveillance des médicaments sous AAP, dans le cadre de l'exercice de leurs missions telles que définies par les textes, notamment l'ANSM, les Centres Régionaux de Pharmacovigilance (CRPV) et les Centres anti-poison (CAP).

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 UCB Pharma 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.

Description et finalité du traitement : Gestion des données dans le cadre de la gestion de l'AP (accès précoce) du Zilucoplan pour les patients adultes atteints de myasthénie auto-immune généralisée non contrôlée avec une contre-indication et/ou une absence de réponse aux traitements immunomodulateurs et/ou immunosuppresseurs disponibles ou problème de tolérance aux thérapies existantes et présentant une sérologie Anti-RACH positive.

Types de Données personnelles collectées :

- **Patient ou personnes concernées par la recherche :** données de santé
- **Médecins prescripteurs et/ou pharmaciens dispensateurs ou professionnels intervenant dans la recherche :** nom, prénom, coordonnées professionnelles
- **Collaborateurs de Clinsearch:** Nom, prénom, fonction, coordonnées professionnelles

Catégories des Personnes concernées :

- Patients
- Médecins prescripteurs et pharmaciens dispensateurs
- Collaborateurs de Clinsearch impliqués dans l'étude

Emplacement du traitement des données : France

Workflow

Données professionnels de santé :

Lorsqu'un professionnel de santé souhaite effectuer une demande d'accès de traitement à l'AP, il s'enregistre sur la plateforme de l'accès précoce : <https://www.aap-myasthenie-ucb.fr> et réalise sa demande.

Données patients :

Collecte : Les données collectées sont recueillies sur la base des informations reportées dans le dossier médical du patient par les médecins prescripteurs et les pharmaciens dispensateurs. Les professionnels de santé utilisent l'application EDClin développée par ClinSearch.

EDClin est hébergé sur des serveurs physiques certifiés HDS dans les centres de données d'OVHcloud.

La sauvegarde des sites de production est localisée :

- à Malakoff sur le système d'information de production de ClinSearch
- Equinix PA3 site de reprise d'activité de ClinSearch.

Les données sont chiffrées en transit à l'aide de certificats TLS et au repos en AES 256.

Les données de pharmacovigilance sont recueillies dans le suivi courant par UCB Pharma SA.

Stockage/ Sauvegarde :

Base clinique : Hébergement HDS OVH Roubaix & Gravelines ; sauvegardes quotidiennes vers le système d'information de ClinSearch + Copie vers le site de replis : Equinix PA3.

Documents de l'étude en format électronique : Intranet ClinSearch.

Documents de l'étude en format papier : locaux de ClinSearch Malakoff pendant la durée du contrat.

Exploitation : dans les locaux de ClinSearch

Transfert pendant l'étude : aucun transfert des données en dehors de l'UE pendant la durée de l'étude de la part de ClinSearch. Restitution de toutes les données à UCB à l'issue du contrat.

Destruction : A la fin du contrat, après transmission de l'ensemble des données à UCB

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.

UCB transférera vos données personnelles à ses sociétés affiliées, y compris à celles situées en dehors de l'espace économique européen (« EEE »). Dans ce cas, UCB se fonde sur ses règles d'entreprise contraignantes (binding corporate rules), qui sont disponibles via le lien suivant: https://www.ucb.com/UCB_BCRs.pdf.

Le transfert de vos données personnelles à des prestataires de services tiers (comme indiqué ci-dessus) dans des pays situés en dehors de l'EEE qui ne garantissent pas un niveau adéquat de protection (des données) s'effectue sur la base de clauses contractuelles types qui ont été signées entre UCB et le prestataire de services tiers concerné. Vous pouvez obtenir une copie de la mesure de protection pertinente mise en place par UCB ou demander à UCB de vous rediriger vers l'endroit où elle a été mise à disposition.

En l'absence des garanties appropriées susmentionnées, UCB peut - dans la mesure permise par et conformément aux lois applicables en matière de protection des données (y compris le RGPD) - s'appuyer sur une dérogation applicable à la situation spécifique en question (par exemple, le consentement explicite des personnes concernées, la nécessité de l'exécution d'un accord, la nécessité de l'établissement, de l'exercice ou de la défense de revendications légales).

Vous avez le droit de demander une copie de ces garanties au laboratoire pharmaceutique UCB Pharma SA.

Combien de temps sont conservées vos données ?

Vos données personnelles sont conservées pendant une durée de deux ans suivant l'approbation par l'ANSM du résumé du dernier rapport de synthèse prévu dans le cadre de l'AAP pour une utilisation active. Les données seront ensuite archivées durant toute la durée de l'autorisation de mise sur le marché du médicament et jusque dix ans après l'expiration de cette autorisation, archivées en base intermédiaire. 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 UCB Pharma SA à l'adresse suivante dataprivacyfrance@ucb.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 patient dépend sur le plan géographique pour les médicaments disposant déjà d'une AMM, via le

système national de déclaration et le réseau des CRPV : <http://signalement-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 : <http://signalement-sante.gouv.fr/>. en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.