

**AUTORISATION TEMPORAIRE D'UTILISATION DE COHORTE**  
**RÉSUMÉ DU RAPPORT DE SYNTHÈSE**  
**ONUREG® (azacitidine) 300 mg et 200 mg, comprimés**

Période du 09/06/2021 au 14/09/2021

**I. Introduction**

ONUREG® 300 mg et 200 mg, comprimés (azacitidine) a bénéficié d'une Autorisation Temporaire d'Utilisation de cohorte (ATUc) depuis le 19 Mars 2021 encadrée par un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations (PUT) dans l'indication suivante: « traitement de maintenance chez les patients adultes atteints de leucémie aiguë myéloïde (LAM) ayant obtenu une rémission complète (RC) ou une rémission complète avec une récupération incomplète de la formule sanguine (CRI) après un traitement d'induction avec ou sans traitement de consolidation et qui ne sont pas éligibles à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH).»

Cette ATUc a débuté le 09 Juin 2021 et s'est terminée le 14 Septembre 2021.

L'autorisation de mise sur le marché a été octroyée le 17 Juin 2021 et le produit a été commercialisé dans le cadre de son Autorisation de Mise sur le Marché le 14 Septembre 2021.

**II. Données recueillies dans le cadre de l'ATU de cohorte**

*II.1. Données cliniques et démographiques recueillies*

*II.1.a/ sur la période considérée*

*On entend par :*

- *Patients inclus : patients pour lesquels une ATU a été accordée.*
  - *Patients traités : patients pour lesquels Onureg® a été fourni par Celgene*
  - *Patients exposés : patients pour lesquels Onureg® a été administré*
- Nombre de patients inclus : 53 (dont 11 issus de l'ATU nominative)
  - Nombre total de patients traités : 52
  - Nombre de patients ayant arrêté le traitement : Durant la période du rapport, 1 seul patient a arrêté temporairement son traitement. Aucun arrêt définitif du traitement n'a été signalé.

A l'inclusion, la population d'ATU analysée était constituée de 5 patients traités et comptait une majorité d'hommes [29/52 (55,8 %)]. L'âge des patients variait de 35 à 85 ans avec un âge médian de 67,5 ans (âge moyen 64,7 ans). Le type de leucémie aiguë myéloïde chez les patients inclus était majoritairement des LAM de novo (82,7 %). Pour les patients avec un diagnostic de LAM secondaire, la LAM était secondaire à des « syndromes myélodysplasiques » ou « liée à un traitement de chimiothérapie antérieur ». La majorité

des patients (82,7%) étaient en rémission complète avec une récupération complète hématologique (RC) et 17,3 % étaient en rémission complète avec une récupération hématologique incomplète (RCi). Tous les patients traités dans le cadre de l'ATU avaient reçu un traitement d'induction par une chimiothérapie intensive dont la majorité a reçu un cycle (86,5%). En plus des traitements d'induction, 44/52 patients ont reçu un protocole de traitement de consolidation ; sur les 52 patients, 15,4% n'ont donc reçu aucun cycle de traitement de consolidation, 17,3% ont reçu 1 cycle, 30,8% 2 cycles, 25,0% 3 cycles, 1,9% 4 cycles, 3,8% 5 cycles et 5,8% 6 cycles. Les patients avaient été traités majoritairement (61,4%) par IDAC (dose intermédiaire de cytarabine).

Durant la période du rapport du 09 juin 2021 au 14 septembre 2021, selon les données disponibles dans les fiches de suivi, 1 seul patient a arrêté temporairement son traitement, ceci pour cause de neutropénie ; ce patient avait commencé à la dose de 300 mg lors de l'ATU nominative (ATUn) puis le dosage a été diminué à 200 mg lors de l'ATU de cohorte (ATUc) en raison d'une neutropénie. Aucun arrêt définitif du traitement n'a été signalé selon les données disponibles dans les fiches de suivi. La durée médiane de traitement, pour les 19 patients avec des données de suivi, a été de 28 jours.

Selon la meilleure réponse parmi les données collectées lors des visites de suivi, 16/19 (84,2%) des patients avaient présenté une rémission complète et 3/19 (15,8%) des patients étaient en rémission complète avec récupération hématologique incomplète.

#### *II.1.b/ en cumulé*

Cette section n'est pas applicable car il s'agit du premier rapport ATU ONUREG®.

## II.2. Données de pharmacovigilance sur la période et en cumulé

### *II.2.a/ sur la période considérée*

Six (6) cas de pharmacovigilance (correspondant à 10 effets indésirables) ont été rapportés sur la période, et tous étaient des notifications initiales, dont deux cas graves.

Les SOC les plus représentés étaient : les affections hématologiques et du système lymphatique ; troubles gastro-intestinaux ; troubles généraux et anomalies au site d'administration ; lésions, intoxications et complications d'interventions.

Les effets indésirables les plus représentés (PT) étaient : Neutropénie, cytopénie, nausée et toxicité pour divers agents.

Les données rapportées à Celgene France pendant la période de ce rapport n'ont pas mis en évidence de modification du profil de tolérance connu d'Onureg®.

Aucune grossesse ou suspicion de grossesse sous Onureg® n'a été notifiée.

### *II.2.b/ en cumulé*

Cette section n'est pas applicable car il s'agit du premier rapport ATU ONUREG®

### **Conclusion**

L'analyse de tous les cas de de pharmacovigilance rapportés à Celgene France et des données internationales de pharmacovigilance pendant la période couverte par ce rapport n'a pas mis en évidence de nouveau signal de sécurité et ne modifie pas le profil de tolérance connu d'Onureg®. Aucun cas de grossesse (confirmé ou suspecté) n'a été rapporté.

Celgene poursuit la surveillance active de ces produits.