

Protocole d'Utilisation Thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP)

Accès compassionnel – [KIMOZO 40 mg/ml,
suspension buvable (témozolomide)]

La demande	
Spécialité	[KIMOZO 40 mg/ml, suspension buvable (témozolomide)]
DCI	[témozolomide]
Critères d'octroi	<ul style="list-style-type: none">• Patients âgés de 1 à 6 ans ou patients âgés de plus de 6 ans dans l'incapacité d'avaler le témozolomide sous forme de gélule :<ul style="list-style-type: none">○ déjà sous traitement à base de témozolomide gélules et répondeurs,○ ou en initiation de traitement chez des patients atteints :<ul style="list-style-type: none">- d'un glioblastome multiforme nouvellement diagnostiqué- d'un gliome malin, tel qu'un glioblastome multiforme ou un astrocytome anaplasique, en rechute ou réfractaire après un traitement standard,- d'un médulloblastome en rechute ou réfractaire,- d'un sarcome d'Ewing en rechute ou réfractaire,- d'un rhabdomyosarcome en rechute ou réfractaire.• Polynucléaires neutrophiles (PNN) $\geq 0,75 \times 10^9/l$. Si atteinte de la moelle osseuse : PNN $\geq 0,50 \times 10^9/l$

	<ul style="list-style-type: none"> • Taux de plaquettes $\geq 75 \times 10^9/l$. Si atteinte de la moelle osseuse : taux de plaquettes $\geq 50 \times 10^9/l$. • Méthode efficace de contraception : <ul style="list-style-type: none"> ○ pour les patientes sexuellement actives pendant le traitement et jusqu'à 6 mois après la dernière administration. ○ pour les patients sexuellement actifs ayant une partenaire en âge de procréer pendant le traitement et jusqu'à 6 mois après la dernière administration • Patient non éligible à un essai clinique
Périodicité des rapports de synthèse	8 mois, aligné avec les rapports de synthèse de l'accès précoce
Renseignements administratifs	
Contact laboratoire titulaire ou CRO	ORPHELIA Pharma – 85 boulevard Saint Michel – 75005 PARIS – Tél : 01 42 77 08 18 Mél : aac-kimozo@orphelia-pharma.eu
Contact à l'ANSM	aac@ansm.sante.fr
CRPV en charge du suivi du médicament en AAC, le cas échéant	CRPV de Brest
Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire	Mél : dpo@orphelia-pharma.eu ; tél : + 33 1 42 77 08 18

Dernière date de mise à jour : 13/12/2023.

Retrouvez toutes les informations sur ce médicament en AAC :

<https://ansm.sante.fr/documents/referance/referentiel-des-autorisations-dacces-compassionnel>

Glossaire

AAC : Autorisation d'Accès Compassionnel

AMM : Autorisation de Mise sur le Marché

ANSM : Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé

ATU : Autorisation Temporaire d'Utilisation

E-saturne : application de téléservice de demandes d'AAC

RCP : résumé des caractéristiques du produit

NIP : note d'information prescripteur

PUT-SP : protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients

Sommaire

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur	5
Le médicament	7
Calendrier des visites	10
Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients	11
Annexes	12
Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données	12
Annexe 2. Rôle des différents acteurs	30
Annexe 3. Documents d'information à destination des patients avant toute prescription d'un médicament en autorisation d'accès compassionnel : KIMOZO 40 mg/ml, suspension buvable (témozolomide)	34
Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières	42

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur

Vous souhaitez prescrire ou dispenser un médicament disponible au titre d'une autorisation d'accès compassionnel.

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 compassionnel est toujours temporaire, délivrée pour une durée d'un an maximum et renouvelable. Elle peut être retirée ou suspendue si les conditions qui ont conduit à son octroi ne sont plus remplies ou pour des motifs de santé publique.

Le dispositif des autorisations d'accès compassionnel (AAC) remplace celui des autorisations temporaires d'utilisation (ATU) nominatives. Pour plus d'informations sur le dispositif d'accès compassionnel, veuillez consulter le site internet de l'ANSM (<https://ansm.sante.fr/vos-demarches/professionel-de-sante/demande-dautorisation-dacces-compassionnel>).

L'autorisation d'accès compassionnel est une procédure permettant l'utilisation, à titre exceptionnel, d'un médicament dans une indication précise en l'absence de demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) ou avant la délivrance d'une telle AMM pour ce médicament, 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 présumées favorables au regard des données cliniques disponibles (résultats des essais thérapeutiques) ;

- la mise en œuvre du traitement ne peut être différée.
- le patient ne peut participer à une recherche impliquant la personne humaine
- et, lorsque le médicament fait l'objet d'une recherche impliquant la personne humaine dans l'indication, le laboratoire s'est engagé à demander une autorisation d'accès précoce (= équivalent des anciennes ATU cohorte) auprès de la HAS et de l'ANSM.

L'AAC est subordonnée au respect d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données (PUT-SP), 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 les conditions d'utilisation et de prescription du médicament,
 - des notes d'information que le prescripteur doit remettre au patient avant toute prescription du médicament (voir [annexe 3](#)) ;
- Organiser la surveillance des patients notamment via le recueil des effets indésirables/situations particulières auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe 1
- Recueillir également des données relatives à l'utilisation du médicament en vie réelle afin d'évaluer en continu les critères permettant le maintien du médicament dans le cadre des autorisations d'accès compassionnel. Les prescripteurs et les pharmaciens sont tenus de participer au recueil de ces informations et de les transmettre aux laboratoires via les fiches de suivi médical (cf [annexe 1](#)). Ces informations sont analysées par le laboratoire et transmises à l'ANSM sous la forme d'un rapport périodique de synthèse ; un résumé de ce rapport, validé par l'ANSM en concertation avec le Centre Régional de Pharmacovigilance (CRPV) désigné en charge du suivi national le cas échéant, qui est ensuite publié sur son site Internet et transmis par le laboratoire aux professionnels de santé concernés. Une convention entre le laboratoire et l'établissement peut définir les modalités de dédommagement de l'établissement pour le temps consacré à la collecte de données¹.

¹ Conformément au II de l'article R. 5121-74-5 du Code de la Santé Publique

Le médicament

Spécialité(s) concernée(s)

KIMOZO 40 mg/ml, suspension buvable (témozolomide)

Caractéristiques du médicament

Le témozolomide est un agent cytotoxique, dérivé triazène qui subit une conversion chimique rapide à pH physiologique en monométhyl triazénoimidazole carboxamide (MTIC) actif. La cytotoxicité du MTIC est vraisemblablement due principalement à une alkylation de la guanine en position O6 et à une alkylation supplémentaire en position N7. Les lésions cytotoxiques qui sont développées par la suite sont supposées entraîner une réparation aberrante de l'ADN méthylé.

Critères d'octroi

- Patients âgés de 1 à 6 ans ou patients âgés de plus de 6 ans dans l'incapacité d'avaler le témozolomide sous forme de gélule :
 - déjà sous traitement à base de témozolomide gélules et répondeurs,
 - ou en initiation de traitement chez des patients atteints :
 - d'un glioblastome multiforme nouvellement diagnostiqué
 - d'un gliome malin, tel qu'un glioblastome multiforme ou un astrocytome anaplasique, en rechute ou réfractaire après un traitement standard,
 - d'un médulloblastome en rechute ou réfractaire,
 - d'un sarcome d'Ewing en rechute ou réfractaire,
 - d'un rhabdomyosarcome en rechute ou réfractaire.
- Polynucléaires neutrophiles (PNN) $\geq 0,75 \times 10^9/l$. Si atteinte de la moelle osseuse : PNN $\geq 0,50 \times 10^9/l$
- Taux de plaquettes $\geq 75 \times 10^9/l$. Si atteinte de la moelle osseuse : taux de plaquettes $\geq 50 \times 10^9/l$.
- Méthode efficace de contraception :
 - pour les patientes sexuellement actives pendant le traitement et jusqu'à 6 mois après la dernière administration.
 - pour les patients sexuellement actifs ayant une partenaire en âge de procréer pendant le traitement et jusqu'à 6 mois après la dernière administration
- Patient non éligible à un essai clinique

Posologie et mode d'administration

Les schémas thérapeutiques recommandés et issus de l'essai clinique TEMOkids sont listés ci-dessous à titre indicatif :

Indications	Protocoles thérapeutiques	Posologie TMZ (mg/m ² /jour)	Fréquence d'administration	Remarques
Glioblastomes multiformes nouvellement diagnostiqués	1) Association avec la radiothérapie (RT) focale, puis 2) monothérapie	1) 75 (en association avec RT) 2) 150-200	1) Pendant 42 jours, tous les jours 2) Pendant 5 jours, tous les 28 jours	Jusqu'à 6 cycles de traitement Voir RCP TEMODAL
Gliomes malins en rechute ou réfractaire	Monothérapie	150-200	Pendant 5 jours, tous les 28 jours	Voir RCP TEMODAL
Médulloblastomes en rechute ou réfractaire	1) Monothérapie, ou 2) Témzolomide – Topotecan (TOTEM), ou 3) Témzolomide - Irinotecan (TEMIRI)	1) 150-200* 2) 150 3) 100	1) et 2) Pendant 5 jours, tous les 28 jours 3) Pendant 5 jours, tous les 21 jours	Peut être associé au bévacizumab
Rhabdomyosarcomes en rechute ou réfractaire	1) Témzolomide – Irinotecan (TEMIRI), ou 2) Témzolomide – Irinotecan – Vincristine (VIT)	1) 100 2) 125 -150**	1) Pendant 5 jours, tous les 21 jours 2) Pendant 5 jours, tous les 21 jours	
Sarcomes d'Ewing en rechute ou réfractaire	1) Témzolomide – Irinotecan (TEMIRI), ou 2) Témzolomide – Irinotecan – Vincristine (VIT)	1) 100 2) 125	1) Pendant 5 jours, tous les 21 jours 2) Pendant 5 jours, tous les 21 jours	

*150 mg/m²/jour puis augmentation à 200 mg/m²/jour à partir du cycle 2 en l'absence de myélosuppression significative, pendant 5 jours, tous les 28 jours

**125 mg/m²/jour puis augmentation à 150 mg/m²/jour à partir du cycle 2 si pas de toxicité > grade 2, pendant 5 jours, tous les 21 jours

Les patients qui reçoivent déjà un traitement à base de témzolomide gélules, s'ils reçoivent ensuite KIMOZO, continueront à être traités selon leur schéma posologique précédent.

La posologie doit être ajustée en cas de toxicité hématologique et/ou non hématologique. En fonction des bilans biologiques à réaliser régulièrement lors du traitement, et en particulier de la numération formule sanguine complète, des réductions de posologie, des interruptions temporaires ou définitifs de traitement peuvent être nécessaires. Il est nécessaire de se conformer aux recommandations du RCP TEMODAL (section 4.2) pour les indications glioblastome multiforme nouvellement diagnostiqué et gliome malin en rechute ou réfractaire. Pour les autres indications du médicament listées ci-dessus, se conformer aux recommandations du RCP **KIMOZO** (section 4.2) dans le neuroblastome réfractaire ou en rechute en Accès Précoce (AP).

Durée de traitement

Le traitement par KIMOZO peut être poursuivi jusqu'à 6 cycles en monothérapie pour les patients atteints d'un glioblastome multiforme nouvellement diagnostiqué. Pour toutes les autres indications dans un contexte de maladie en rechute ou réfractaire, le traitement par **KIMOZO** peut être poursuivi jusqu'à progression objective de la maladie ou apparition d'une toxicité inacceptable.

Mode d'administration

KIMOZO est administré par voie orale et doit être agité vigoureusement afin d'être parfaitement réhomogénéisé avant administration. **KIMOZO** doit être pris à jeun, en utilisant la seringue de dosage graduée de 5 mL fournie. La seringue mise à disposition est marquée de 0,5 ml à 5 mL et a une précision de 0,1 mL. Pour les doses journalières totales supérieures à 200 mg (volume de suspension supérieur à 5 mL), la seringue doit être remplie deux fois, le volume de remplissage a minima de la seringue étant de 0,5 mL. Pour une dose à administrer de 5,4 mL (correspondant à

une dose journalière totale de 218 mg de témozolomide nécessaire pour traiter un patient ayant une surface corporelle (SC) de 1,45 m² à la dose de 150 mg/m² selon le tableau ci-dessous), il est recommandé d'administrer 2 volumes équivalents de 2,7 mL. Il est demandé au professionnel de santé de conseiller le patient ou la personne soignante à utiliser la seringue de dosage pour administrer le volume correct, correspondant à la dose prescrite. Le pharmacien dispensant le médicament veillera à préciser la dose journalière totale en volume (mL) à administrer au patient et le nombre de prises (une prise si ≤ 5 mL ou deux si > 5 mL) et le volume en mL de chaque prise, sur la boîte de **KIMOZO** à l'endroit prévu à cet effet.

75mg/m ²			100mg/m ²			125mg/m ²			150mg/m ²			200mg/m ²		
SC (m ²)	Dose (mg)	Volume (mL)	SC (m ²)	Dose (mg)	Volume (mL)	SC (m ²)	Dose (mg)	Volume (mL)	SC (m ²)	Dose (mg)	Volume (mL)	SC (m ²)	Dose (mg)	Volume (mL)
0,30	23	0,6	0,30	30	0,8	0,30	38	0,9	0,30	45	1,1	0,30	60	1,5
0,35	26	0,7	0,35	35	0,9	0,35	44	1,1	0,35	53	1,3	0,35	70	1,8
0,40	30	0,8	0,40	40	1,0	0,40	50	1,3	0,40	60	1,5	0,40	80	2,0
0,45	34	0,8	0,45	45	1,1	0,45	56	1,4	0,45	68	1,7	0,45	90	2,3
0,50	38	0,9	0,50	50	1,3	0,50	63	1,6	0,50	75	1,9	0,50	100	2,5
0,55	41	1,0	0,55	55	1,4	0,55	69	1,7	0,55	83	2,1	0,55	110	2,8
0,60	45	1,1	0,60	60	1,5	0,60	75	1,9	0,60	90	2,3	0,60	120	3,0
0,65	49	1,2	0,65	65	1,6	0,65	81	2,0	0,65	98	2,4	0,65	130	3,3
0,70	53	1,3	0,70	70	1,8	0,70	88	2,2	0,70	105	2,6	0,70	140	3,5
0,75	56	1,4	0,75	75	1,9	0,75	94	2,3	0,75	113	2,8	0,75	150	3,8
0,80	60	1,5	0,80	80	2,0	0,80	100	2,5	0,80	120	3,0	0,80	160	4,0
0,85	64	1,6	0,85	85	2,1	0,85	106	2,7	0,85	128	3,2	0,85	170	4,3
0,90	68	1,7	0,90	90	2,3	0,90	113	2,8	0,90	135	3,4	0,90	180	4,5
0,95	71	1,8	0,95	95	2,4	0,95	119	3,0	0,95	143	3,6	0,95	190	4,8
1,00	75	1,9	1,00	100	2,5	1,00	125	3,1	1,00	150	3,8	1,00	200	5,0
1,05	79	2,0	1,05	105	2,6	1,05	131	3,3	1,05	158	3,9	1,05	210	5,3
1,10	83	2,1	1,10	110	2,8	1,10	138	3,4	1,10	165	4,1	1,10	220	5,5
1,15	86	2,2	1,15	115	2,9	1,15	144	3,6	1,15	173	4,3	1,15	230	5,8
1,20	90	2,3	1,20	120	3,0	1,20	150	3,8	1,20	180	4,5	1,20	240	6,0
1,25	94	2,3	1,25	125	3,1	1,25	156	3,9	1,25	188	4,7	1,25	250	6,3
1,30	98	2,4	1,30	130	3,3	1,30	163	4,1	1,30	195	4,9	1,30	260	6,5
1,35	101	2,5	1,35	135	3,4	1,35	169	4,2	1,35	203	5,1	1,35	270	6,8
1,40	105	2,6	1,40	140	3,5	1,40	175	4,4	1,40	210	5,3	1,40	280	7,0
1,45	109	2,7	1,45	145	3,6	1,45	181	4,5	1,45	218	5,4	1,45	290	7,3
1,50	113	2,8	1,50	150	3,8	1,50	188	4,7	1,50	225	5,6	1,50	300	7,5
1,55	116	2,9	1,55	155	3,9	1,55	194	4,8	1,55	233	5,8	1,55	310	7,8
1,60	120	3,0	1,60	160	4,0	1,60	200	5,0	1,60	240	6,0	1,60	320	8,0
1,65	124	3,1	1,65	165	4,1	1,65	206	5,2	1,65	248	6,2	1,65	330	8,3
1,70	128	3,2	1,70	170	4,3	1,70	213	5,3	1,70	255	6,4	1,70	340	8,5
1,75	131	3,3	1,75	175	4,4	1,75	219	5,5	1,75	263	6,6	1,75	350	8,8
1,80	135	3,4	1,80	180	4,5	1,80	225	5,6	1,80	270	6,8	1,80	360	9,0
1,85	139	3,5	1,85	185	4,6	1,85	231	5,8	1,85	278	6,9	1,85	370	9,3
1,90	143	3,6	1,90	190	4,8	1,90	238	5,9	1,90	285	7,1	1,90	380	9,5
1,95	146	3,7	1,95	195	4,9	1,95	244	6,1	1,95	293	7,3	1,95	390	9,8
2,00	150	3,8	2,00	200	5,0	2,00	250	6,3	2,00	300	7,5	2,00	400	10,0

Après l'administration de **KIMOZO**, il convient de boire un verre ou quelques gorgées d'eau ou de jus de fruit afin de se rincer la bouche.

Si des vomissements surviennent après l'administration de la dose, ne pas administrer une deuxième dose le même jour et attendre la prochaine dose prévue |

Conditions de prescription et de délivrance

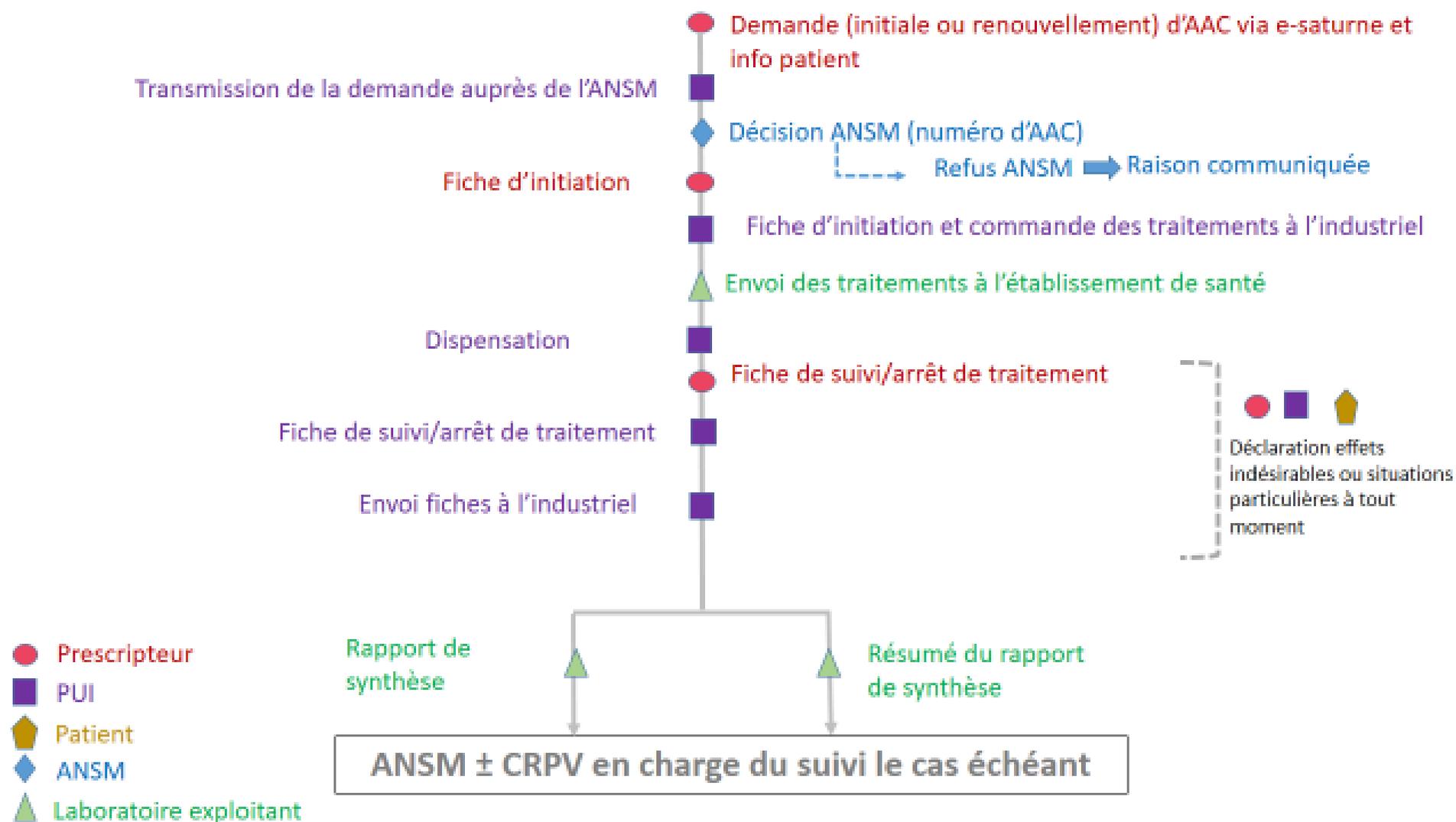
En complément des conditions de prescription et de délivrance, se rapporter à [l'annexe 2](#) pour plus d'informations sur les mentions obligatoires à porter sur l'ordonnance.

[Médicament soumis à prescription hospitalière. Prescription réservée aux spécialistes en oncologie ou aux médecins compétents en cancérologie. Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement]

Calendrier des visites

	Demande d'autorisation auprès de l'ANSM	Première administration (Fiche d'initiation)	Suivi du traitement et/ou arrêt (Fiches de suivi)
Remise de la note d'information destinée au patient par le médecin prescripteur	X		
Collecte de données sur les caractéristiques des patients			
Déclaration de conformité aux critères d'octroi du référentiel AAC	X		
Bilan biologique		X	X
Antécédents de traitement et histoire de la maladie		X	
Test de grossesse (le cas échéant)		X	X
Collecte de données sur les conditions d'utilisation			
Posologie et traitements associés	X	X	X
Interruption de traitement			X
Collecte de données d'efficacité			
Données de survie globale		X	X
Collecte de données de tolérance/situations particulières			
Suivi des effets indésirables/situation particulières		X	X

Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients



Annexes

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

- [Fiche d'initiation de traitement](#)
- [Fiches de suivi de traitement](#)
- [Fiche d'arrêt définitif de traitement](#)
- [Fiche de déclaration d'effet indésirable](#)
- [Fiche de signalement de situations particulières](#)

La collecte des données sera réalisée sur un mode hybride, avec un recueil privilégié par l'intermédiaire d'une plateforme web mais le recueil papier sera également autorisé. Un monitoring centralisé des données sera mis en place, avec l'objectif d'assurer un niveau de qualité de recueil de données adéquat. Un cahier d'observation électronique sera mis en place pour collecter les données des différentes fiches de l'Annexe 1. Les utilisateurs recevront un login et mot de passe personnel leur permettant d'accéder au système. Les données seront stockées et sauvegardées sur un serveur sécurisé.

La plateforme est accessible via le lien suivant : www.aac-kimozo.eu |

Fiche d'initiation de traitement

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Fiche à transmettre avec l'AAC au laboratoire

Date de la demande : [Cliquez ici pour entrer une date.]

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : [Cliquez ici pour entrer du texte.] Prénom (2 premières lettres) : [Cliquez ici pour entrer du texte.]

Date de naissance* : [_ / _ / _ _ _] (MM/AAAA) Poids (kg) : [| _ | _ | _ |] Taille (cm) : [| _ | _ | _ |]

⋮ *Dans un contexte pédiatrique, mentionner la date de naissance complète (JJ/MM/AAAA), le poids (décimale) et la taille exacts. Sinon renseigner uniquement le MM/AAAA ⋮

Sexe : M F

L'autorisation d'accès compassionnel 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/> |

Dans le cas d'impossibilité d'inclure le patient dans un essai clinique en cours dans la situation qui fait l'objet de la demande d'autorisation d'accès compassionnel, précisez les motifs de non-éligibilité à l'essai clinique : []

Maladie

Diagnostic et état du patient

Cancer

diagnostiqué : []

Date du diagnostic initial : [_ / _ / _ _ _]

Stratification de risque ou grade de la maladie (le cas échéant) : []

Statut actuel de la maladie :

Maladie métastatique : oui / non

Si [] oui, [] localisation [] actuelle [] des [] métastases : []

Maladie réfractaire : oui / non

Maladie en rechute : oui / non

Traitements antérieurs

Chimiothérapie préalable à base de témozolomide oui / non

Si oui, Date de début de témozolomide : [_ / _ / _ _ _]

En cours : oui / non

Si oui, préciser le contexte de l'utilisation préalable de témozolomide : _____

Si oui, TMZ seul, TMZ + autre (préciser) : _____

[]

Biologie

Avant d'initier le traitement par Kimozo, il est nécessaire d'effectuer un bilan biologique comprenant une NFS datant de moins d'une semaine

Examen	Paramètres	Normal	Anormal	Si anormal	
				Valeur	Unité
NFS et taux de plaquettes Date : __/__/____	Hémoglobine	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	_____	_____
	Leucocytes	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	_____	_____
	Neutrophiles	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	_____	_____
	Plaquettes	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	_____	_____
Fonction hépatique Date : __/__/____	ASAT	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	_____	_____
	ALAT	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	_____	_____
	Bilirubine totale sérique	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	_____	_____

Recherche Infection VHB* Date : __/__/____	Ag HBS	<input type="checkbox"/> positif	<input type="checkbox"/> négatif
	Ac anti HBs	<input type="checkbox"/> positif	<input type="checkbox"/> négatif
	Ac anti HBc	<input type="checkbox"/> positif	<input type="checkbox"/> négatif

*Les patients présentant une sérologie positive pour l'hépatite B (incluant les patients présentant une hépatite B active) doivent être adressés à un médecin spécialisé en hépatologie avant l'instauration du traitement. |

Traitement par KIMOZO 40 mg/ml, suspension buvable (témozolomide)

Posologie et durée envisagée

Modalité d'administration de KIMOZO : Monothérapie Association

Traitement en monothérapie

Dose envisagée de Kimozo	Date prévue de début de traitement	Durée du cycle envisagée
1er cycle : _ _ _ mg/m ² /jour x _ _ jours	J1 : ___/___/___	_ _ jours
2ème cycle : _ _ _ mg/m ² /jour x _ _ jours	J1 : ___/___/___	

Traitement en association

Dose envisagée de Kimozo	Date prévue de début de traitement	Durée du cycle envisagée
_ _ _ mg/m ² /jour x _ _ jours	J1 : ___/___/___	_ _ jours
Si association, dose envisagée de _____ (DCI ou nom de marque)		
_ _ _ <input type="checkbox"/> mg/m ² /jour <input type="checkbox"/> mg/kg/ jour <input type="checkbox"/> unité à préciser _____ x _ _ jours		

Traitements concomitants et/ou soins de support (optionnel)

Concernant l'utilisation du médicament notamment les mises en garde spéciales, précautions d'emploi et contre-indications, veuillez-vous référer à la note d'information du prescripteur, le cas échéant au RCP (étranger) du médicament [insérer lien vers RCP] ou à la NIP.

Engagement du prescripteur

Critères d'octroi

- Patients âgés de 1 à 6 ans ou patients âgés de plus de 6 ans dans l'incapacité d'avaler le témozolomide sous forme de gélule :
 - déjà sous traitement à base de témozolomide gélules et répondeurs,

- ou en initiation de traitement chez des patients atteints :
 - d'un glioblastome multiforme nouvellement diagnostiqué
 - d'un gliome malin, tel qu'un glioblastome multiforme ou un astrocytome anaplasique, en rechute ou réfractaire après un traitement standard,
 - d'un médulloblastome en rechute ou réfractaire,
 - d'un sarcome d'Ewing en rechute ou réfractaire,
 - d'un rhabdomyosarcome en rechute ou réfractaire.
- Polynucléaires neutrophiles (PNN) $\geq 0,75 \times 10^9/l$. Si atteinte de la moelle osseuse : PNN $> 0,50 \times 10^9/l$
- Taux de plaquettes $\geq 75 \times 10^9/l$. Si atteinte de la moelle osseuse : taux de plaquettes $> 50 \times 10^9/l$.
- Méthode efficace de contraception :
 - pour les patientes sexuellement actives pendant le traitement et jusqu'à 6 mois après la dernière administration.
 - pour les patients sexuellement actifs ayant une partenaire en âge de procréer pendant le traitement et jusqu'à 6 mois après la dernière administration
- Patient non éligible à un essai clinique

Rappel : le prescripteur doit attester via e-saturne que la demande d'AAC est conforme aux critères d'octroi d'une AAC pour ce médicament, tels que mentionnés dans le référentiel en vigueur à la date de la présente demande (insérer le lien).

Si non conforme, justification de la demande :

J'ai remis les documents d'information au patient (disponible en [annexe 3](#)) et certifie que le patient a été informé de la collecte de ses données personnelles : Oui Non

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

ORPHELIA Pharma vous informe de la collecte de certaines données personnelles vous concernant pour les besoins de l'exécution et du suivi du programme d'accès compassionnel et pour les besoins du respect de la réglementation applicable. Les informations recueillies vous concernant font l'objet d'un traitement réalisé par ORPHELIA Pharma, responsable du traitement, dont le Délégué à la Protection des Données (DPD) est joignable à l'adresse dpo@orphelia-pharma.eu. ORPHELIA Pharma et tout prestataire mandaté à cet effet s'engagent à respecter les dispositions du Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 (RGPD) et de la loi n° 78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés telle que modifiée (la Réglementation sur la Protection des Données Personnelles). Les données personnelles recueillies sont réservées à l'usage du (ou des) service(s) concerné(s) par la gestion et le suivi du programme d'accès compassionnel et habilité(s) d'ORPHELIA Pharma et tout sous-traitant éventuel lié par un contrat avec ORPHELIA Pharma stipulant le respect de la réglementation RGPD applicable.

ORPHELIA Pharma pourra être amené à transférer vos données personnelles hors de l'Union Européenne, lorsque cela s'avère indispensable à ses activités de développement ou réglementaires, y compris vers les pays suivants : Etats-Unis. Afin d'assurer un niveau de protection suffisant, ORPHELIA Pharma mettra en place toutes mesures qui seraient nécessaires pour garantir un niveau de protection essentiellement équivalent à celui prévu dans l'Union Européenne, et s'assurera que la législation de tout pays tiers n'empiétera pas sur ces mesures supplémentaires de manière à les priver d'effectivité.

Conformément à la Réglementation sur la Protection des Données Personnelles, vous bénéficiez d'un droit d'accès, de rectification, ou de portabilité des informations qui vous concernent, ainsi que d'un droit de limitation du traitement. Pour exercer l'un de ces droits, veuillez adresser votre demande à l'adresse suivante : dpo@orphelia-pharma.eu. Vous pouvez également déposer une plainte auprès de la Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés (CNIL), directement sur son site www.cnil.fr.

ORPHELIA Pharma, responsable du traitement, vous informe également que dans le cadre du programme d'accès compassionnel, vous serez amené à collecter et traiter des données personnelles de vos patients, telles que listée dans le **PUT-SP**, pour le compte d'ORPHELIA Pharma. Ainsi, vous vous engagez à :

- Collecter et traiter les données personnelles des patients uniquement dans le strict respect des termes et conditions du **PUT-SP** ;
- Ne pas traiter lesdites données personnelles pour tout autre objet, sauf si cela est requis par les lois et réglementations en vigueur et après information préalable d'ORPHELIA Pharma, responsable du traitement (sauf si les lois et réglementations applicables vous interdisent d'en informer ORPHELIA Pharma) ;
- A ne pas révéler ou transférer les données à caractère personnel à un quelconque tiers sans avoir préalablement obtenu l'autorisation écrite d'ORPHELIA Pharma, sauf si cette révélation ou transfert est requis par les lois et réglementations applicables ou par une autorité publique, et dans la mesure du possible, après information préalable et sans délai d'ORPHELIA Pharma ;
- Informer ORPHELIA Pharma par écrit dès que possible (et en tout état de cause, dans un délai maximum de vingt-quatre (24) heures) de toute destruction fortuite ou illicite ou de toute perte ou dommage fortuit, altération, divulgation ou accès non autorisé aux données personnelles ;

- Aider ORPHELIA Pharma à s’acquitter de son obligation de donner suite aux demandes d’exercice des droits des personnes concernées conformément aux termes des documents d’information figurant en annexe 3 ;
- Assister ORPHELIA Pharma pour s’assurer de la conformité avec les obligations légales d’ORPHELIA Pharma aux termes de la Réglementation sur la Protection des Données Personnelles, y compris, notamment, en ce qui concerne le respect des obligations de sécurité, notifications de violation, analyse d’impact et consultations des autorités de contrôle ;
- Vérifier et garantir que toutes les personnes qui ont accès aux, et/ou traitent les données personnelles sont soumises à une obligation de confidentialité, et que ces personnes ont été suffisamment formées;
- Conserver des dossiers et informations complets et exactes permettant de démontrer sa conformité avec le présent engagement et permettant à ORPHELIA Pharma et/ou à ses auditeurs de réaliser des audits appropriés.

Fiche de suivi de traitement

(Visites après la première administration)

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Fiche à transmettre au laboratoire

Date de la visite :

Visite de suivi n°

La fiche est à remplir après chaque cycle de traitement :

Pour rappel, avant d'initier tout nouveau cycle de traitement par KIMOZO il est nécessaire d'effectuer un bilan NFS et hépatique datant de moins de 3 jours et un test de grossesse le cas échéant. Se référer au RCP KIMOZO de l'Autorisation d'Accès Précoce pour plus d'informations.

Examen	Paramètres	Normal	Anormal	Si anormal	
				Valeur	Unité
NFS et taux de plaquettes Date : <input type="text"/>	Hémoglobine	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="text"/>	<input type="text"/>
	Leucocytes	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="text"/>	<input type="text"/>
	Neutrophiles	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="text"/>	<input type="text"/>
	Plaquettes	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="text"/>	<input type="text"/>
Fonction hépatique Date : <input type="text"/>	ASAT	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="text"/>	<input type="text"/>
	ALAT	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="text"/>	<input type="text"/>
	Bilirubine totale sérique	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="text"/>	<input type="text"/>

Identification du patient

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

N° d'AAC de l'ANSM:

N° patient dans notre plateforme web AAC du laboratoire :

Conditions d'utilisation

Date de la première administration :

Posologie et durée prescrite

Le traitement peut être poursuivi jusqu'à progression objective de la maladie ou apparition d'une toxicité inacceptable

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

Numéro du cycle :	_ _
Dose de Kimozo administrée	_ _ _ mg/m ² /jour x _ _ jours
Durée du cycle	_ _ jours
Si interruption/arrêt temporaire du cycle de traitement ou modification de posologie ou de durée de cycle, veuillez compléter ci-dessous le tableau approprié	

Y a-t'il eu des modifications depuis l'initiation du traitement ? Non Oui |

| Si oui, préciser.

|

Traitements concomitants et/ou soins de support

| |

Y –a-t'il eu des modifications depuis l'initiation du traitement ? Non Oui

| Si oui, préciser.

|

Interruption/arrêt temporaire de traitement

Oui

Non

Interruption temporaire de Kimozo pendant le cycle de traitement	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non, Si oui, préciser : La date d'interruption : _ / _ / _ _ _ _ La date de réintroduction : _ / _ / _ _ _ _ Raisons : _____
Arrêt définitif de Kimozo pendant ou à la fin du cycle de traitement	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, compléter la fiche d'arrêt définitif de traitement
Modification de la dose de Kimozo pendant le cycle de traitement	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non, si oui, préciser : La date de modification de dose : _ / _ / _ _ _ _ La nouvelle dose : _ _ _ mg/m ² /jour Raisons : _____
Modification de la durée de cycle de traitement	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non, si oui, préciser : La date de modification de la durée de cycle : _ / _ / _ _ _ _ La nouvelle durée : _ _ _ jours Raisons : _____

Si un arrêt définitif du traitement a eu lieu, faire un renvoi vers la fiche d'arrêt de traitement

Si l'arrêt est dû à un effet indésirable, faire un renvoi à la fiche de déclaration des effets indésirables.

Évaluation de l'effet du traitement par KIMOZO 40 mg/ml, suspension buvable (témozolomide)

Survie globale

Temps entre la date d'initiation du traitement par temozolomide et la date de décès de toutes causes.

En cas de décès du patient, merci de remplir la fiche d'arrêt définitif de traitement.

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 1

Apparition d'une contre-indication au traitement prescrit Oui Non

Si oui, préciser et compléter la fiche d'arrêt définitif.

Vérification du suivi de la contraception, le cas échéant.

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

Fiche d'arrêt définitif de traitement

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Fiche à transmettre au laboratoire

Date de l'arrêt définitif de traitement : [_ / _ / _ _ _]

Identification du patient

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

N° dernière AAC de l'ANSM: [_ | _ | _]

N° patient dans notre plateforme web AAC du laboratoire : [_ | _ | - | _ | _]

Posologie à l'arrêt du traitement : [_____]

Raisons de l'arrêt du traitement

Fin de traitement tel que prévu par le schéma thérapeutique []

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

Survenue d'une contre-indication

| Préciser :

Progression de la maladie

Effet thérapeutique non satisfaisant

| Si considéré comme un manque d'efficacité, procéder à sa déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe 1

Décès

→ Date du décès : [_ / _ / _ _ _]

→ Raison du décès : Décès lié à un effet indésirable

| Procéder à sa déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe 1

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'octroi, préciser :

[_____]

Autre, préciser : [_____]

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : [_____]	Nom/Prénom : [_____]
Spécialité : [_____]	N° RPPS : [_____]
N° RPPS : [_____]	Hôpital : [_____]
Hôpital : [_____]	<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé
<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé	N° FINESS : [_____]
N° FINESS : [_____]	

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

Fiche de déclaration des effets indésirables

Fiche à transmettre au laboratoire

Fiches à envoyer à : Vigipharm

e-mail : orphelia@vigipharm.fr

265 rue Maurice Bèjart 34080 Montpellier - France

Fax : + 33 (0)4-67-10-72-53

ACCES COMPASSIONNEL KIMOZO (suspension buvable de témozolomide)

IDENTIFICATION DU PATIENT		IDENTIFICATION DU NOTIFICATEUR		
Initiales (prénom, nom) :		Nom :		
Numéro d'accès précoce : _ _ _ _		Adresse :		
Date de naissance :		Tel :	Fax :	
Sexe :				
Poids : kg	Taille: cm			
ANTÉCÉDENTS ET MALADIES CONCOMITANTES				
GROSSESSE EN COURS				
<input type="checkbox"/> oui		<input type="checkbox"/> non		
MÉDICAMENT KIMOZO				
Médicaments	N° de lot Date d'expiration	Posologie	Dates de traitement	Indication
KIMOZO				
AUTRES TRAITEMENTS EN COURS				
EFFET(S) INDÉSIRABLE(S)				
Date d'apparition :				
Description :				

SITUATION(S) PARTICULIERE(S)

- surdosage ;
- mésusage ;
- abus ;
- erreur médicamenteuse ;
- exposition professionnelle ;
- interaction médicamenteuse ;
- défaut de qualité d'un médicament ou médicaments falsifiés ;
- exposition en cours de grossesse (maternelle ou via le sperme)
- exposition paternelle (altération potentielle des spermatozoïdes) ;
- exposition au cours de l'allaitement ;
- suspicion de transmission d'agents infectieux ;
- suspicion d'inefficacité thérapeutique (partielle ou totale).

CRITÈRE DE GRAVITÉ

L'effet indésirable répond-il à un critère de gravité : non oui

Si oui, lequel ?

- Hospitalisation ou prolongation d'hospitalisation Menace du pronostic vital immédiat
- Séquelles ou incapacité significative Décès, si oui date :
- Effet jugé « médicalement significatif »* Anomalie ou malformation congénitale

* Par exemple : un effet indésirable qui peut potentiellement mettre en danger la vie du patient ou qui peut nécessiter une prise en charge pour éviter l'évolution vers un des autres critères de gravité.

MESURES PRISES

Arrêt du médicament : non oui, si oui date :

Si oui, disparition de l'effet indésirable ? non oui, si oui date:

Autres mesures prises (traitement, modification de posologie) :

EVOLUTION

- Guérison En cours d'amélioration Inchangé
- Aggravation Guérison avec séquelles Décès

Le médicament a été réintroduit : non oui, si oui date : posologie :

Si réintroduction du médicament, y-a-t-il eu réapparition de l'effet indésirable ? non oui

EXAMENS COMPLEMENTAIRES

Résultats d'autopsie, d'examens cliniques, radiographiques, biologiques etc. (préciser dates et normales de laboratoire)

Pour plus de simplicité, vous pouvez joindre une photocopie anonymisée des résultats à ce questionnaire.

--

LIEN DE CAUSALITE ENTRE L'EFFET INDESIRABLE ET LE MEDICAMENT

<input type="checkbox"/> Sans rapport	<input type="checkbox"/> Peu vraisemblable	<input type="checkbox"/> Possible	<input type="checkbox"/> Probable
<input type="checkbox"/> Certain	<input type="checkbox"/> Ne peut être évalué par manque d'informations		
D'autres facteurs ont-ils pu contribuer à cet effet indésirable ? Lesquels ?			

COMMENTAIRES

Date :
Signature et Cachet :
Merci d'avoir pris le temps de remplir ce questionnaire de pharmacovigilance et de le transmettre à : Vigipharm, 265 rue Maurice Béjart, 34080 Montpellier - France par fax : +33 04-67-10-72-53 OU par courriel : orphelia@vigipharm.fr

Fiche de signalement de situations particulières

Fiche à transmettre au laboratoire

ACCES COMPASSIONNEL KIMOZO (suspension buvable de témozolomide)

Date de réception du rapport / Reception date	-----/-----/-----	<input type="checkbox"/> Initial	<input type="checkbox"/> Complémentaire / Follow-up
N° du cas / Local reference:	Médicament / Drug name :	Fiche à renvoyer à / To be sent to :	
	KIMOZO	Vigipharm orphelia@vigipharm.fr 265, rue Maurice Bèjart, F-34080 Montpellier Fax : + 33 (0) 4-67-10-72-53	

INFORMATION CONCERNANT LE NOTIFICATEUR/ REPORTER INFORMATION			
Nom / Name :		Adresse / Address :	
Téléphone / Phone Number :		Ville / City :	
Signature :		Code Postal / Postcode :	
		Pays / Country :	

INFORMATION CONCERNANT LES PARENTS / PARENTS INFORMATION		
	Date de naissance / Date of birth	Informations médicales pertinentes / relevant medical information
Mère / mother :		
Père / father :		

INFORMATION SUR LA GROSSESSE / PREGNANCY INFORMATION	
Date des dernières règles (jj/mm/aa) / Date of last menstrual period dd/mm/yy) :	
Date présumée de l'accouchement (jj/mm/aa) / Expected delivery date (dd/mm/yy) :	
L'issue de la grossesse actuelle est-elle connue au moment de ce rapport ? / Pregnancy outcome known at the time of the report ?	<input type="checkbox"/> oui / yes <input type="checkbox"/> non / no

ANTECEDENTS OBSTETRICAUX/ PREGNANCY HISTORY	Nombre / Number
Grossesses Antérieures / previous pregnancies?	<input type="checkbox"/> oui/yes <input type="checkbox"/> non/no
Nouveau-né vivant sans anomalies congénitales / live birth without congenital defect?	<input type="checkbox"/> oui/yes <input type="checkbox"/> non/no
Nouveau-né vivant avec anomalies congénitales/ live birth with congenital defect?	<input type="checkbox"/> oui/yes <input type="checkbox"/> non/no
Antécédents familiaux d'anomalies congénitales/ family history of congenital defect?	<input type="checkbox"/> oui/yes <input type="checkbox"/> non/no
Préciser les Anomalies congénitales / congenital defect to be specified?	

Avortements spontanés avant la 20 ^{ème} semaine de grossesse/ <i>spontaneous abortions before 20 weeks of pregnancy?</i>	<input type="checkbox"/> oui/yes <input type="checkbox"/> non/no	
Interruption volontaire (ivg) ou thérapeutique de grossesse / <i>induced abortion or termination of pregnancy for medical reasons? (Préciser la raison si possible / specify)</i>	<input type="checkbox"/> oui/yes <input type="checkbox"/> non/no	
Mort fœtale (>20 semaines de grossesse) / <i>fetal death (>20 weeks of pregnancy)?</i>	<input type="checkbox"/> oui/yes <input type="checkbox"/> non/no	

EFFET INDESIRABLE / ADVERSE EVENT		
<input type="checkbox"/> non / no		
<input type="checkbox"/> oui / yes (précisez / specify)	<input type="checkbox"/> Mère / mother	<input type="checkbox"/> Enfant / child
Décrire l'effet indésirable / AE Description : 		

MÉDICAMENT SUSPECTE /SUSPECT DRUG INFORMATION						
Produit / product	Indication	Posologie / Posology	Voie / route	Date de début* / start date* (jj/mm/aa) (dd/mm/yy)	Date d'arrêt / Stop date (jj/mm/aa) (dd/mm/yy)	Durée / treatment period

*Si les dates exactes ne sont pas disponibles, indiquer le nombre de semaines de grossesse d'exposition ou de trimestres d'exposition/if exact dates are not available, specify weeks of pregnancy or semester.

DONNEES MEDICALES PERTINENTES / RELEVANT MEDICAL INFORMATION
concernant la santé de la mère ou la grossesse / mother or pregnancy information :

ISSUE DE LA GROSSESSE / PREGNANCY OUTCOME												
Date de l'accouchement d'un enfant vivant ou mort-né / <i>delivery date live or death birth</i> : -----/-----/-----				Nb d'enfant/fœtus / <i>Nb child/fetus</i> :		<input type="checkbox"/> Unique / <i>single</i>		<input type="checkbox"/> plusieurs / <i>multiple (#_____)</i>				
Enfant / <i>Fœtus</i> <i>Child / fetus</i>	Sexe / <i>sex</i>	APGAR		Mode d'accouchement / <i>types of delivery</i>		Terme de la grossesse en semaines / <i>Pregnancy weeks</i>	Poids de naissance / <i>weight at birth</i>	Issue / <i>outcome*</i>	Anomalie congénitale / <i>congenital defect</i>		Mort néonatale / <i>Fœtal death</i>	
		1min	5min	Voie basse / <i>Vaginal birth</i>	Césarienne / <i>C-section</i>				Oui / <i>yes**</i>	Non / <i>no</i>	Age du nouveau-né / <i>neonate age</i>	Cause du décès / <i>cause of death</i>

*Issue : Sélectionner le numéro approprié au résultat de la grossesse et le noter dans cette colonne.

Outcome : select the appropriate number

1. ENFANT NE VIVANT / *LIVE BIRTH*
2. AVORTEMENT SPONTANE / *SPONTANEOUS ABORTION (<20 SEMAINES DE GROSSESSE/ WEEKS OF PREGNANCY)*
3. MORT FOETALE PREMATUREE / *EARLY FETAL DEATH (20-27 SEMAINES DE GROSSESSE/ / WEEKS OF PREGNANCY)*
4. MORT FOETALE TARDIVE / *LATE FETAL DEATH (> 28 SEMAINES DE GROSSESSE/ WEEKS OF PREGNANCY)*
5. AVORTEMENT PROVOQUE / *INDUCED ABORTION*
6. MORT MATERNELLE PROVOQUANT LE MORT FOETALE / *MATERNAL DEATH LEADING TO FETAL DEATH*
7. GROSSESSE ECTOPIQUE / *ECTOPIC PREGNANCY*

Y-a-t-il eu des complications lors du travail et/ou de l'accouchement ? <i>Were there any complications during labour and/or delivery?</i>		<input type="checkbox"/> oui / <i>yes</i>	<input type="checkbox"/> non / <i>no</i>
Si oui, préciser / <i>if yes specify</i>			
** Si l'issue de la grossesse a entraîné une anomalie congénitale, préciser / <i>If the outcome of the pregnancy resulted in a congenital defect, specify :</i>			

Annexe 2. Rôle des différents acteurs

1. Rôle des professionnels de santé

1.1. Le prescripteur

L'autorisation d'accès compassionnel implique le strict respect des mentions définies figurant dans le protocole, notamment les critères d'octroi, les conditions de prescription et de délivrance, ainsi que l'information et le cas échéant le suivi prospectif des patients traités tels que prévus par le PUT-SP.

Avant tout traitement, le prescripteur :

- prend connaissance du présent PUT-SP et du RCP ou de la NIP, le cas échéant
- vérifie l'éligibilité de son patient aux critères d'octroi du médicament disposant d'une autorisation d'accès compassionnel ;
- informe, de manière orale et écrite via le document d'information disponible en [annexe 3](#), 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 des bénéfices susceptibles d'être apportés par le médicament ;
 - du caractère dérogatoire de la prise en charge par l'Assurance maladie du médicament prescrit dans le cadre de l'autorisation d'accès compassionnel;
 - 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.

Le prescripteur veille à la bonne compréhension de ces informations.

- soumet la demande d'AAC via e-saturne à l'ANSM ; En cas de demande non conforme aux critères ou en l'absence de critères, justifie sa demande.

Après réception de l'autorisation de l'ANSM, le prescripteur :

- informe le médecin traitant du patient
- remplit la fiche d'initiation de traitement, qu'il transmet à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné

Le prescripteur indique sur l'ordonnance la mention suivante : « Prescription au titre d'un accès compassionnel en dehors du cadre d'une autorisation de mise sur le marché ».

Le prescripteur est tenu de participer au recueil des données collectées dans le cadre du PUT-SP. Il transmet les données de suivi des patients traités, selon des modalités assurant le respect du secret médical au laboratoire exploitant le médicament.

Suite à l'initiation du traitement, le prescripteur planifie des visites de suivi (voir calendrier de suivi dans le PUT-SP) 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 4](#),
- remplir la fiche d'arrêt de traitement, le cas échéant.

Les fiches de suivi et d'arrêt sont envoyées systématiquement et sans délai à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné pour transmission au laboratoire selon les modalités décrites en page 9.

Si le prescripteur souhaite poursuivre le traitement, il soumet, avant la date d'échéance de l'AAC, la demande de renouvellement de l'AAC via e-saturne à l'ANSM.

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 faisant l'objet d'une AAC.

Le pharmacien :

- complète la fiche d'initiation de traitement ainsi que les fiches de suivi préalablement remplies par le prescripteur lors de chaque visite, et les transmet au laboratoire exploitant le médicament
- commande le médicament auprès du laboratoire sur la base de l'AAC ;
- 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 selon les modalités prévues en [annexe 4](#).

Le pharmacien est tenu de participer au recueil des données lorsqu'il est exigé dans le cadre du PUT-SP.

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 3](#)) ;
- informe les professionnels de santé de tout effet indésirable ou le déclare lui-même sur le portail de signalement : www.signalement-sante.gouv.fr.

3. Rôle du laboratoire

L'entreprise qui assure l'exploitation du médicament :

- réceptionne les fiches d'initiation de traitement, de suivi et d'arrêt définitif, et intègre les données dans sa base de suivi
- est responsable du traitement des données au sens du règlement général sur la protection des données (RGPD) ;
- collecte et analyse toutes les informations recueillies dans le cadre du PUT-SP, notamment les données d'efficacité et de pharmacovigilance. Il établit selon la périodicité définie en 1^{ère} page, le rapport de synthèse accompagné d'un projet de résumé qu'il transmet à l'ANSM et le cas échéant au CRPV en charge du suivi de l'accès compassionnel et transmet après validation par l'ANSM le résumé de ce rapport, également publié sur le site internet de l'ANSM, aux médecins, aux pharmacies à usage intérieur concernées ainsi qu'à l'ensemble des CRPV et Centres antipoison ;
- sur demande du CRPV, lui soumet les éléments complémentaires requis,

- 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 cas échéant 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 AAC (médecins, pharmaciens, patients), conformément aux GVP Module IX (*Emergent Safety Issues*) ;
- organise et finance le recueil des données dans le cadre des AAC, s'assure de l'assurance qualité et de la collecte rigoureuse et exhaustive des données ;
- s'assure du bon usage du médicament dans le cadre des AAC;
- approvisionne en conséquence la PUI et assure le suivi de lots ;
- s'est engagé, en cas de développement en cours dans l'indication en vue d'une demande d'AMM, à demander une autorisation d'accès précoce auprès de la HAS et de l'ANSM

4. Rôle de l'ANSM

L'ANSM :

- évalue le médicament notamment les données d'efficacité, de sécurité, de fabrication et de contrôle, pour permettre son utilisation dans le cadre des AAC,
- évalue les demandes d'AAC pour chaque patient,
- valide le présent PUT-SP.

À la suite de la délivrance des AAC, l'ANSM :

- prend connaissance des informations transmises par le laboratoire ainsi que par le CRPV en charge du suivi du médicament en AAC le cas échéant et prend toute mesure utile de manière à assurer la sécurité des patients et le bon usage du médicament ;
- évalue en collaboration avec le CRPV sus cité le cas échéant les rapports périodiques de synthèse fournis par le laboratoire et publie le résumé de ces rapports;
- informe sans délai le laboratoire et le CRPV sus cité le cas échéant en cas de signal émergent de sécurité qui lui aurait été notifié ou déclaré directement qui pourrait remettre en cause les AAC,
- modifie le PUT-SP en fonction de l'évolution des données disponibles, suspend ou retire les AAC si les conditions d'octroi ne sont plus remplies ou pour des motifs de santé publique

L'ANSM diffuse sur son site internet un référentiel des médicaments en accès dérogatoire (<https://ansm.sante.fr/documents/reference/#collapse-1>) et toutes les informations nécessaires pour un bon usage de ces médicaments, les PUT-SP correspondants ainsi que les résumés des rapports de synthèse périodiques.

5. Rôle du CRPV en charge du suivi du médicament en AAC

Le centre régional de pharmacovigilance (CRPV) désigné en 1^{ère} page le cas échéant assure le suivi de pharmacovigilance du médicament en AAC au niveau national. Il est destinataire (via le laboratoire) des rapports périodiques de synthèse et des résumés de ces rapports. 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 autorisation d'accès compassionnel : KIMOZO 40 mg/ml, suspension buvable (témozolomide)

Cette annexe comprend :

- un document d'information sur le dispositif d'autorisation d'accès compassionnel
- une [note d'information sur le traitement des données personnelles](#).

Note d'information sur l'autorisation d'accès compassionnel

Dans le cas où le patient serait dans l'incapacité de prendre connaissance de cette information, celle-ci sera donnée à son représentant légal ou, le cas échéant, à la personne de confiance qu'il a désignée

Votre médecin vous a proposé un traitement par KIMOZO 40 mg/ml, suspension buvable (témozolomide) dans le cadre d'une autorisation d'accès compassionnel (AAC).

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 compassionnel ?

Le dispositif d'autorisation d'accès compassionnel (AAC) permet la mise à disposition dérogatoire en France de médicaments ne disposant pas d'autorisation de mise sur le marché (AMM) pour le traitement de maladies graves, rares ou invalidantes. L'efficacité et la sécurité et du médicament que vous propose votre médecin sont présumées favorables par l'ANSM au vu des données disponibles.

L'objectif est de vous permettre de bénéficier de ce traitement à titre exceptionnel en faisant l'objet d'un suivi particulier au cours duquel vos données personnelles concernant votre santé, le traitement et ses effets sur vous seront collectées. L'AAC s'accompagne d'un recueil obligatoire de données pour s'assurer que le médicament est sûr et efficace en conditions réelles d'utilisation et que les bénéfices du traitement restent présumés supérieurs aux risques potentiellement encourus au cours du temps.

Les données sont recueillies auprès des médecins et des pharmaciens par le laboratoire exploitant le médicament via la mise en place d'un Protocole d'Utilisation Thérapeutique et de recueil de données (PUT-SP) validé par l'ANSM. Ces données sont transmises périodiquement et de manière anonyme par le laboratoire à l'ANSM afin d'évaluer le médicament le temps de sa mise à disposition en accès compassionnel.

Lorsqu'il vous est prescrit un médicament dans le cadre d'une AAC, vous ne participez 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.

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

Les médicaments mis à disposition dans ce cadre sont intégralement pris en charge par l'Assurance maladie, sans avance de frais de votre part.

Vous pouvez en parler avec votre médecin. N'hésitez pas à poser toutes vos questions. Il vous donnera des informations sur les bénéfices attendus de ce médicament dans votre situation mais aussi sur les incertitudes ou inconvénients (effets indésirables, contraintes de prise, etc.).

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

En pratique, comment allez-vous ou votre enfant recevoir ce médicament ?

Demandez des précisions à votre médecin ou reportez-vous à la notice du médicament dans sa boîte s'il y en a une.

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

- de respecter les conseils qui vous ont été donnés pour le prendre et le conserver (certains médicaments doivent être conservés au réfrigérateur, sont à prendre à distance ou pendant les repas, etc.) ; de demander des précisions sur le lieu où vous pourrez vous le procurer. Les médicaments en accès compassionnel ne sont généralement disponibles que 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.

Kimozo est une suspension buvable, homogène blanche à légèrement rosée ou beige, présenté en flacon en polyéthylène-terephthalate (PET) de 30 ml avec un bouchon sécurité-enfant et un insert pour seringue de dosage pour administration orale. Chaque boîte de Kimozo contient 1 flacon de suspension buvable et 1 seringue de dosage graduée jusqu'à 5 ml.

Kimozo contient une substance active appelée témozolomide. Ce médicament est un agent antitumoral (cytotoxique). Pour diminuer le risque d'exposition au cytotoxique, il est recommandé de porter des gants à usage unique pour manipuler Kimozo.

Il faudra toujours prendre ce médicament en suivant exactement les indications du médecin. Vérifiez auprès du médecin en cas de doute.

Le médecin calculera la dose de Kimozo à administrer selon la surface corporelle (poids, taille). Suivant la dose prescrite, le médecin ou le pharmacien vous indiquera le volume de suspension à administrer. Kimozo peut être prescrit soit seul soit en association avec un autre médicament anticancéreux.]

À quoi cela vous engage-t-il ? Quelles seront vos contraintes ?

Comme il existe peu de recul sur l'utilisation du médicament qui vous est proposé, son utilisation est sous surveillance et décrite en détail dans le protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-SP) disponible sur le site internet de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM).

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 consultation avec votre médecin et à tout moment entre les visites en cas d'effets indésirables.

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. Pour plus de détails sur les données personnelles recueillies et vos droits, vous pouvez lire le document intitulé « Accès compassionnel d'un médicament - Traitement des données personnelles » (voir en fin de document la rubrique « Pour en savoir plus »).

Chez vous, entre les consultations

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 autorisation d'accès compassionnel, directement via le portail de signalement - site internet : www.signalement-sante.gouv.fr

Il est important que vous déclariez les effets indésirables du médicament, c'est-à-dire les conséquences inattendues ou désagréables du traitement que vous pourriez ressentir (douleurs, nausées, diarrhées, etc.).

Combien de temps dure une autorisation d'accès compassionnel ?

L'AAC est temporaire, dans l'attente que le médicament puisse le cas échéant disposer d'une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) et être commercialisé. La durée de validité est précisée sur l'autorisation délivrée par l'ANSM et ne peut dépasser un an. Elle peut être renouvelée sur demande du prescripteur qui jugera de la nécessité de prolonger le traitement.

Elle peut être suspendue ou retirée par l'ANSM dans des cas très particuliers, en fonction des nouvelles données, si les conditions d'octroi ne sont plus respectées ou autre motif de santé publique.

Traitement de vos données personnelles

Le traitement par un médicament prescrit dans le cadre d'une AAC implique le recueil de données personnelles concernant votre santé.

Vous trouverez des informations complémentaires relatives à vos droits dans la rubrique suivante : [« Accès compassionnel d'un médicament – Traitement des données personnelles »](#).

Pour en savoir plus

- ➔ Notice du médicament que vous allez prendre (renvoi vers site de l'ANSM, lien à venir), (à supprimer si pas de notice)
- ➔ Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données de votre médicament, (lien vers le référentiel des accès dérogatoires)
- ➔ Informations générales sur les autorisations d'accès compassionnel des médicaments (<https://ansm.sante.fr/vos-demarches/professionel-de-sante/demande-dautorisation-dacces-compassionnel>)

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

[Ce document a été élaboré par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé, en collaboration avec le laboratoire ORPHELIA Pharma]

Note d'information destinée au prescripteur

[Le RCP Kimozo 40 mg/ml suspension buvable dans l'indication de l'Accès Précoce (neuroblastome de haut risque réfractaire ou récidivant) est consultable sur le site de l'ANSM

<https://ansm.sante.fr/documents/referance/atu-de-cohorte-en-cours>

Note d'information à destination des patients sur le traitement des données personnelles

Uniquement en cas de recueil de données

Ce document est une proposition de note d'information à destination des patients sur le traitement des données personnelles à adapter au médicament.

Un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès compassionnel (AAC) vous a été prescrit. Ceci implique un traitement de données personnelles sur votre santé, c'est à dire 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 ORPHELIA Pharma. Il s'agit du laboratoire exploitant le médicament en accès compassionnel.

À quoi vont servir vos données ?

Pour pouvoir relever d'une AAC un médicament doit remplir plusieurs critères : présenter plus de bénéfices que de risques et le traitement ne peut attendre que le médicament soit autorisé au titre de l'AMM. Vos données personnelles et en particulier les informations sur votre réponse au traitement, permettront d'évaluer en continu si ces critères sont toujours remplis.

Vos données personnelles pourront-elles être réutilisées par la suite ?

Vos données personnelles, pseudo-anonymisées, pourront également être utilisées ensuite pour faire de la recherche, étude ou de l'évaluation dans le domaine de la santé.

Cette recherche se fera dans les conditions autorisées par le Règlement européen général sur la protection des données (RGPD) et la loi du 6 janvier 1978 modifiée dite loi « informatique et liberté » et après accomplissement des formalités 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 compassionnel 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 qui vous a prescrit ce médicament.

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> .

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. 5121-12-1 et suivants du Code de la santé publique](#) relatifs au dispositif d'accès compassionnel.

La collecte de données de santé est justifiée par un intérêt public dans le domaine de la santé (article 9.2.i) du RGPD.

Quelles sont les données collectées ?

Votre médecin et le pharmacien qui vous a donné le médicament seront amenés à collecter les données personnelles suivantes autant que de besoin aux fins de transmission au laboratoire pharmaceutique :

- votre identification : numéro, les trois premières lettres de votre nom et les deux premières lettres de votre prénom, sexe, poids, taille, âge ou année et mois de naissance ou date de naissance complète si nécessaire dans un contexte pédiatrique ;
- les informations relatives à votre état de santé : notamment l'histoire de votre maladie, vos antécédents personnels ou familiaux, vos autres maladies ou traitements ;
- les informations relatives aux conditions d'utilisation du médicament impliquant notamment : l'identification des professionnels de santé vous prenant en charge (médecins prescripteurs et pharmaciens dispensateurs, etc.), vos autres traitements, les informations relatives aux modalités de prescription et d'utilisation du médicament ;
- l'efficacité du médicament ;
- la nature et la fréquence des effets indésirables du médicament (ce sont les conséquences désagréables du traitement que vous pourriez ressentir : douleur, nausées, diarrhées, etc.) ;
- les motifs des éventuels arrêts de traitement.

Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités de [ORPHELIA Pharma](#) et ses éventuels sous-traitants (société de recherche sous contrat) sous une forme pseudo-anonymisées. 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.

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 [ORPHELIA Pharma](#) à l'ANSM [ainsi qu'au centre régional de pharmacovigilance désigné en charge du suivi du médicament].

Le résumé de ces rapports est également susceptible d'être adressé aux médecins qui ont prescrit le médicament, aux pharmaciens qui l'ont délivré ainsi qu'aux centres antipoison.

Cette synthèse, ce rapport et ce résumé ne comprendront aucune information permettant de vous identifier.

Transferts hors Union européenne

À compléter par les laboratoires qui transfèrent des données personnelles 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.

[ORPHELIA Pharma pourra être amené à transférer vos données personnelles hors de l'Union Européenne, lorsque cela s'avère indispensable à ses activités de développement ou réglementaires, y compris vers les pays suivants : Etats-Unis. Afin d'assurer un niveau de protection suffisant, ORPHELIA Pharma mettra en place toutes mesures qui seront nécessaires pour garantir un niveau de protection essentiellement équivalent à celui prévu dans l'Union Européenne, et s'assurera que la législation de tout pays tiers n'empiétera pas sur ces mesures supplémentaires de manière à les priver d'effectivité]

Vous avez le droit de demander une copie de ces garanties au laboratoire pharmaceutique [ORPHELIA Pharma].

Combien de temps sont conservées vos données ?

Vos données personnelles sont conservées pendant une durée de [5 ans] pour une utilisation active. Les données seront ensuite archivées durant [20 ans]. À l'issue de ces délais, vos données seront supprimées ou anonymisées.

Les données seront-elles publiées ?

L'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé publie sur son 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 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'AAC, vous ne pouvez pas vous opposer à la transmission des données listées ci-dessus ou demander leur suppression. Le droit à l'effacement et le droit à la portabilité ne sont également pas applicables à ce traitement.

Vous pouvez cependant vous opposer à la réutilisation de vos données pour de la recherche.

Vous pouvez contacter directement votre médecin pour exercer ces droits.

Vous pouvez, par ailleurs, contacter le délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire à l'adresse suivante dpo@orphelia-pharma.eu 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 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.

En outre, les professionnels de santé sont encouragés à déclarer toute situation particulière.

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-SP auprès du laboratoire.

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 portail de signalement : www.signalement-sante.gouv.fr en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'une autorisation d'accès compassionnel.

D'autres supports de déclaration peuvent être utilisés, tels qu'un courrier, un courriel, ou un appel téléphonique, adressés directement au CRPV dont la personne ayant présenté l'effet indésirable dépend géographiquement. La liste indiquant l'adresse et les départements couverts par chaque CRPV est disponible sur le site Internet de l'ANSM.]