

**BELEODAQ® 500 mg,
Poudre pour solution pour perfusion (belinostat)
Résumé du rapport de synthèse N°6 ATU nominative
Période du 05 juin 2021 au 04 décembre 2021**

Introduction

BELEODAQ® (belinostat, poudre pour solution pour perfusion 500 mg) bénéficie d'une Autorisation Temporaire d'Utilisation nominative (ATUn) en France depuis le 05 décembre 2018 (1^{er} patient inclus). Jusqu'au 06 avril 2020, il était importé des Etats-Unis pour le compte de ONXEO S.A., 49 boulevard du Général Martial Valin 75015 PARIS, titulaire des droits pour l'Europe. Depuis le 06 avril 2020, la propriété intellectuelle et le savoir-faire concernant belinostat ont été transférés à ACROTECH (une filiale détenue à 100 % par AUROBINDO PHARMA), qui étend ses droits sur belinostat à tous les territoires qui n'étaient pas déjà sous licence.

Le belinostat est un inhibiteur d'histone-désacétylases (HDACi). Il catalyse la suppression des groupes acétyle des résidus lysine des histones et d'autres protéines non-histones. In vitro, belinostat entraîne l'accumulation d'histones acétylées et d'autres protéines, induisant l'arrêt du cycle cellulaire et/ou l'apoptose des cellules cancéreuses.

Le produit est soumis à un Protocole d'Utilisation Thérapeutique (PUT). La dernière version (04) validée par l'ANSM date de janvier 2021.

BELEODAQ® est inscrit sur le Référentiel des ATU nominatives depuis le 20 juin 2019. Ses critères d'octroi de l'ATUn sont :

- Lymphome à cellules T périphérique en rechute ou réfractaire

Le présent et 6^{ème} rapport rédigé dans le cadre de l'ATU nominative pour BELEODAQ® couvre la période du 05 juin 2021 au 04 décembre 2021.

Un état des lieux de l'utilisation du BELEODAQ® dans le cadre de l'ATU nominative y est également établi, pour la période cumulative du 05 décembre 2018 au 04 décembre 2021.

Données recueillies dans le cadre de l'ATU nominative

Au total, 91 patients ont été inclus dans le cadre de l'ATU nominative du 05 décembre 2018 au 04 décembre 2021 dont 82 patients ont reçu au moins un cycle de traitement. Sur la période couverte par ce rapport, du 05 juin 2021 au 04 décembre 2021, 7 patients ont été inclus dont 4 nouveaux patients sur la période. Les 7 patients inclus ont tous reçu au moins un cycle de traitement.

Au 04 décembre 2021, 4 d'entre eux poursuivaient le traitement.

Si l'on prend en compte les données cumulées, 50 patients ont arrêté le traitement. Sur la période concernée par ce rapport, 3 patients ont arrêté le traitement due à une progression de la maladie.

Données nationales de pharmacovigilance

- Pour la période concernée par ce rapport, 1 cas grave rapporte des effets indésirables liés au traitement :

AUR-APL-2021-034625 : ce cas grave rapporte une leucémie aigüe qui n'est pas attendue avec l'administration de belinostat. La causalité a été considérée comme non évaluable due au manque d'informations importantes (antécédents médicaux, chronologie d'apparition de l'effet, co-traitements, évolution du patient).

- Aucun cas d'évolution fatale n'a été signalé
- Aucun cas pendant la grossesse ou au cours de l'allaitement n'a été signalé
- Aucune situation particulière n'a été rapportée
- Tous les patients étaient traités pour un lymphome T périphérique.

Au total, en prenant en compte les données cumulées (du 05 décembre 2018 au 4 décembre 2021) :

19 cas de pharmacovigilance, dont 15 cas graves et 4 cas non graves, ont été recueillis. Parmi ces 19 cas, 7 cas rapportent des effets indésirables reliés incluant 6 cas graves et 1 cas non grave. Aucun cas notifié au cours d'une grossesse ou au cours de l'allaitement.

Données internationales de pharmacovigilance

Les données internationales de pharmacovigilance n'ont pas mis en évidence de nouveaux signaux.

Conclusion :

Considérant les informations actuellement disponibles, le profil de sécurité connu du belinostat depuis le précédent rapport d'ATU, n'a pas été modifié durant la période couverte par ce rapport et ACROTECH considère que le rapport bénéfice-risque de belinostat reste favorable dans l'indication du PUT. Il n'y a pas lieu de modifier le PUT, la note d'information au prescripteur ou la note d'information au patient.

La période couverte dans le prochain rapport sera du 05 décembre 2021 au 04 juin 2022 et le rapport sera à soumettre avant le 05 juillet 2022.