

Annexe 7 :

**BELEODAQ® 500 mg,
Poudre pour solution pour perfusion (belinostat)
Résumé du rapport de synthèse N°8 AAC
Période du 05 juin 2022 au 04 décembre 2022**

Introduction

BELEODAQ® (belinostat, poudre pour solution pour perfusion 500 mg) bénéficie d'une Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC) 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 (05) a été validée par l'ANSM en janvier 2022.

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

- Lymphome à cellules T périphérique en rechute ou réfractaire

Le 8^{ème} rapport rédigé dans le cadre de l'AAC pour BELEODAQ® couvre la période du 05 juin 2022 au 04 décembre 2022.

Un état des lieux de l'utilisation du BELEODAQ® dans le cadre de l'AAC y est également établi, pour la période cumulative du 05 décembre 2018 au 04 décembre 2022.

Données recueillies dans le cadre de l'AAC

Au total, 111 patients ont été inclus dans la cohorte dont 102 traités par belinostat. Au 04 décembre 2022, 4 d'entre eux poursuivaient le traitement. Sur la période couverte par ce rapport, du 05 juin 2022 au 04 décembre 2022, 17 patients ont été inclus dont 13 nouveaux patients sur la période. Les 17 patients inclus ont tous reçu au moins un cycle de traitement. Si l'on prend en compte les données cumulées, 66 patients ont arrêté le traitement. Sur la période concernée par ce rapport, 13 patients n'ont pas répondu au traitement.

Données nationales de pharmacovigilance

- Pour la période concernée par ce rapport, 1 cas de pharmacovigilance a été signalé.
- 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

Au total, en prenant en compte les données cumulées (du 05 décembre 2018 au 4 décembre 2022) :

20 cas de pharmacovigilance, dont 16 cas graves et 4 cas non-graves, ont été recueillis. Parmi ces 20 cas, 13 cas rapportent des effets indésirables reliés incluant 9 cas graves et 4 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'AAC, 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 2022 au 04 juin 2023 et le rapport sera à soumettre avant le 05 juillet 2023.