
Modèle de résumé de rapport de synthèse

Cadre de prescription compassionnelle [DCI - Nom de la spécialité en l'absence de générique/biosimilaire médicament – dosage – forme pharmaceutique]

Rapport n° [...] Période du [...] au [...]

1- Introduction

L'ANSM (Agence Nationale de Sécurité du Médicament) a établi un cadre de prescription compassionnelle (CPC) pour le(s) médicament(s) |nom de la spécialité en l'absence de génériques, DCI, forme et dosage dans [indication. |

La mise à disposition du/de ces médicaments dans le cadre de prescription compassionnelle a démarré le XX/XX/XXXX.

2- Données recueillies

Toutes les données ci-dessous doivent être présentées pour la période concernée par le rapport et de manière cumulative sur la période totale de mise en place du CPC (du 1^{er} patient inclus jusqu'à ce rapport).

Le texte ci-dessous mentionne les variables à détailler pour la rédaction de ce résumé. Les résultats devront également être présentés sous forme de tableau deux colonnes (période couverte par le rapport de synthèse et période cumulée). Pour certaines données (exemple : évolution de l'inclusion des patients, répartition de patients) les graphiques sont encouragés.

a. Caractéristiques générales des patients / prescripteurs

Suivi des patients

- Nombre de patients enregistré dans le CPC et pour lequel une fiche d'initiation a été transmise.
- Nombre de patients exposés pour lesquels les données ont été recueillies (indiquer le pourcentage de données manquantes par variable).

- Durée de suivi médiane sous traitement en précisant le motif des arrêts/interruptions/modifications de traitements.

Caractéristiques générales des patients

- Age (moyenne, médiane, min, max), préciser le nombre de patients pédiatriques si applicable.
- Sexe (proportion femmes/hommes).
- Poids (moyenne, médiane, min, max).
- Si un critère physiologique est requis pour la prescription (par exemple la fonction rénale), indiquer ce critère.

Caractéristiques de la maladie

Faire apparaître les principales caractéristiques de la maladie des patients inclus (diagnostic, stade de la maladie, symptômes cliniques, antécédents médicaux, variables biologiques) au regard de l'indication, des critères de prescription dans le CPC, ainsi que les traitements préalablement pris pour traiter cette maladie le cas échéant et des données recueillies dans le protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP).

Caractéristiques des prescripteurs

Indiquer le nombre de prescripteurs, leurs spécialités, zones géographiques et types d'établissement.

Pour les données d'utilisation du médicament et d'efficacité, le dénominateur à utiliser pour le calcul des pourcentages est le nombre de patients exposés au médicament concerné par le cadre de prescription compassionnelle, en indiquant la part des données manquantes.

b. Conditions d'utilisation du médicament

Décrire les conditions d'utilisation du médicament dans le contexte du CPC selon les données recueillies dans le PUT-SP avec à minima les informations suivantes : posologies, co-prescriptions en précisant notamment les cas dont des molécules contre-indiquées ou à risque d'interaction sont co-prescrites), durée médiane de traitement, modifications de posologie, critères d'arrêt et de reprise de traitement. Une présentation avec un tableau est encouragée.

c. Données d'efficacité

Pour chaque variable d'efficacité mentionnée dans le PUT-SP, rapporter le pourcentage de données manquantes, les durées médianes de suivis, les valeurs et les variations par rapport à l'inclusion. Rapporter les intervalles de confiance à 95% si pertinent.

Pour les données de mortalité, le cas échéant, présenter les médianes de survie globale depuis l'initiation du traitement (si atteinte) et les taux de survie. Indiquer le nombre de décès et les raisons (y compris les liens éventuels avec le traitement). Rapporter ces données sur la période et en cumulé sous forme de tableau incluant l'âge, le sexe, la cause du décès, la chronologie avec le traitement, le lien de causalité, et le cas échéant préciser le numéro de cas de pharmacovigilance associé.

d. Données nationales de pharmacovigilance

Cette section devra contenir les informations suivantes sur la période du rapport et en cumulé :

- nombre de patients ayant présenté au moins un effet indésirable (en distinguant total, graves et non graves) ;
- nombre total d'effets indésirables rapportés et nombre d'effets indésirables attendus (*d'après le RCP*) (en distinguant total, graves et non graves), préciser les PT des effets inattendus (*d'après le RCP*) en distinguant graves et non graves ;
- nombre d'effets indésirables d'issue fatale ainsi que le nombre d'effets indésirables avec mise en jeu du pronostic vital ;
- nombre d'effets indésirables ayant conduit à une modification/interruption/arrêt de traitement ; préciser les EI ayant conduit à un arrêt définitif du traitement et préciser l'évolution lors de ces arrêts ;
- nombre de situations particulières rapportées avec ou sans EI ;
- préciser si un signal de sécurité a été nouvellement identifié ou réévalué dans le contexte du CPC durant la période considérée ; et, le cas échéant, préciser la nature du signal, la conclusion de l'évaluation de ce signal (signal potentiel/confirmé/non confirmé) et les mesures de réduction de risque/actions de surveillance prises (modification du PUT-SP, surveillance/suivi particulier de ce type d'effet indésirable, communication aux professionnels de santé, communiqué de presse etc...) ;
- préciser si d'autres actions ont été mises en œuvre suite à l'évaluation des données de sécurité disponibles par ailleurs ;

3- Conclusion

Faire une discussion générale sur la population exposée, sur les conditions d'utilisation, sur l'efficacité, ainsi que sur la sécurité d'emploi observée. Discuter et justifier les éventuelles données manquantes.

Faire une évaluation comparative par rapport à la période précédente, et mettre en évidence toute nouvelle information de sécurité et/ou d'efficacité.

Proposer une conclusion sur l'efficacité et la sécurité du médicament dans le CPC.

Exemple de libellé :

Sur la période considérée, les données de sécurité et d'efficacité issues du suivi des patients inclus dans le CPC remettent / ne remettent pas en cause le rapport bénéfice/risque de XXX.