

Direction Médicale Médicaments 1

Pôle oncologie – Pôle oncohématologie, hématologie, néphrologie
Personnes en charge : Marie GADEYNE - Chantal TOULOT

Comité Scientifique Permanent Oncologie-Hématologie Séance du 26 janvier 2024 (13h à 15h30)

Ordre du jour

Points	Sujets abordés	pour audition, information, adoption ou discussion
I	- Accueil – Café	Information -
	- Introduction	
	- Déclarations publiques d'intérêts	
Dossiers thématiques		
II	- Extension d'AMM Pemazyre (pemigatinib) en monothérapie pour les néoplasies myéloïdes et lymphoïdes FGFR1 mutées.	Discussion
III	- Venclyxto (venetoclax) : place dans la stratégie thérapeutique pour la prise en charge de l'amylose, et encadrement par un CPC le cas échéant.	Discussion
IV	- ARACYTINE 100 mg, poudre et solvant pour solution injectable : besoin en ville et CPDs associées	Discussion

Participants

Nom des participants	Statut (modérateur, membre, évaluateur, ...)	Présent	Absent /excusé
Membres			
ATTIGNON Valéry	Membre	Visio	
BABAI Samy	Membre	Visio	
BAY Jacques-Olivier	Membre		excusé
BERDAÏ Driss	Membre	Présent	
BOUTONNAT Jean	Membre		excusé
De COUCY Antoine	Membre	Visio	
DENANCE Micheline	Représentant association	Visio	
FONTENAY Franck	Représentant association	Visio	
GUILLERM Jean-François	Membre	Visio	
GUILLOT Bernard	Membre	Visio	
KEMPF Emmanuelle	Membre	Visio	
LAIGLE-DONADEY Florence	Membre	Présente	
PIERRE Sabrina	Membre		excusée
PLANTAZ Dominique	Membre	Visio	
QUESNEL Bruno	Membre	Présent	
SCHMIDT Aline	Membre	Visio	
TALEB Amina	Membre	Visio	
Expert(s)			
Autres			
HOOG LABOURET Natalie	INCA	Visio	
DUPUY Camille	INCA	Visio	

ANSM			
AMERIOU Laura	Interne	Visio	
ANDREOLI Laura	Evaluateur PV	Visio	
BENLAZAR Anissa	Evaluateur clinique	Visio	
CASALEGNO Umberto	Evaluateur clinique	présent	
DOUTRELUIGNE Astrid	Evaluateur clinique	visio	
GADEYNE Marie	Cheffe de Pôle	Présente	
MARIAMPILLAI Kuberaka	Evaluateur clinique	visio	
MONARD Adrien	Conseiller scientifique	Visio	
REMIGY Joséphine	Interne	excusée	
TOULOT Chantal	Assistante	presente	
VERMILLARD Violaine	Evaluateur PV	visio	

1. Introduction

1.1. Point sur les DPI et les situations de conflits d'intérêts

Le modérateur, après avoir vérifié que les membres n'ont pas de nouveaux liens à déclarer et que les DPI sont à jour, précise qu'aucune situation de conflit d'intérêts n'a été identifiée ou signalé au regard des dossiers à l'ordre du jour ;

Aucun lien n'a été identifié pour les membres et les experts

Dossiers

Extension d'AMM Pemazyre (pemigatinib) en monothérapie pour les néoplasies myéloïdes et lymphoïdes FGFR1 mutées.

Numéro/type/nom du dossier	Extension d'AMM Pemazyre
Laboratoire(s)	
Direction produit concernée	Pôle Onco-Hématologie
Expert(s)	Pr Aline Schmidt
Evaluateur(s) en charge du dossier	Anissa Benlazhar

Présentation du dossier

L'ANSM a présenté le dossier d'extension d'indication pour la spécialité Pemazyre, dans l'indication « Traitement des patients adultes atteints de tumeurs myéloïdes/lymphoïdes (TML) associées à un réarrangement du récepteur du facteur de croissance fibroblastique 1 (FGFR1) ». Le principe actif de PEMAZYRE, le pemigatinib, est un inhibiteur de kinases de FGFR1, 2 et 3 (facteurs de croissance des fibroblastes), et le dossier d'extension se base sur une étude pivot de phase II (FIGHT-203) non comparative en monothérapie chez des patients en première ligne et chez les patients en rechute ou réfractaires à une précédente thérapie. Cette étude est toujours en cours.

Compte-rendu

Conclusions du CSP

Question posée : Le CSP Onco-Hématologie est sollicité sur le dossier de demande d'extension d'indication pour la spécialité Pemazyre.

Votes

Nombre de votants

Nombre d'avis favorables

Nombre d'avis défavorables

Nombre d'abstention

Explication des votes

Avis majoritaires

Avis minoritaires

Conclusions

Concernant les données de l'étude pivot et de l'étude confirmatoire, les Membres du CSP Onco-Hématologie ont abordé les points suivants :

- Le design non comparatif de l'étude pivot peut se comprendre par la rareté de la maladie et l'absence de comparateur validé,
- Les résultats obtenus apportent un avantage thérapeutique significatif au vu de l'absence de thérapies adaptées notamment en deuxième ligne et au-delà. Pour la première ligne, des incertitudes persistent au vu de l'effectif limité présenté par le laboratoire. Un membre souligne l'extrême rareté de ces pathologies très polymorphes et la possibilité de mener les patients vers la greffe plus facilement avec le Pemazyre,
- L'indication revendiquée est soutenue,
- La toxicité de classe est importante et il est nécessaire de surveiller de près les cas de toxicité oculaires,
- Le Bénéfice/Risque est considéré favorable à ce stade dans l'indication revendiquée.

Références documentaires

Dossiers

Venclyxto (venetoclax) : place dans la stratégie thérapeutique pour la prise en charge de l'amylose, et encadrement par un CPC le cas échéant.

Numéro/type/nom du dossier	Venclyxto (venetoclax)
Laboratoire(s)	Abbvie
Direction produit concernée	Pôle Onco-Hématologie
Expert(s)	
Evaluateur(s) en charge du dossier	

Présentation du dossier

Suite aux déclarations d'usage non conforme du Venetoclax, un inhibiteur de BCL-2 (B-cell lymphoma 2), L'ANSM a présenté aux membres du CSP Onco-Hématologie les données d'efficacité et de sécurité provenant de la littérature scientifique, d'essais cliniques ainsi que des signalements d'usage non conforme concernant l'utilisation du vénétoclax chez les patients présentant une Amylose AL en rechute ou réfractaires.

- **Conclusions du CSP**

Question posée : Le CSP Onco-Hématologie est sollicité afin de confirmer le besoin thérapeutique et la nécessité d'un encadrement de l'usage hors AMM du Vénétoclax dans la prise en charge de ces deux pathologies.

Votes

Nombre de votants	
Nombre d'avis favorables	
Nombre d'avis défavorables	
Nombre d'abstention	

Explication des votes

Avis majoritaires	
Avis minoritaires	

Conclusions

Au vu des données présentées, le CSP Onco-Hématologie confirme l'utilité de l'usage du Vénétoclax dans la prise en charge des patients présentant une Amylose AL ou un Myélome multiple en rechute ou réfractaire, ainsi que la nécessité de l'encadrement de celui-ci par un Cadre de Prescription Compassionnel (CPC) ou un Accès Précoce (AP).

Références documentaires

Dossiers

ARACYTINE 100 mg, poudre et solvant pour solution injectable : besoin en ville et CPDs associées

Numéro/type/nom du dossier	Conditions de prescription et délivrance (CPD) Aracytine 100 mg, poudre et solvant pour solution injectable
Laboratoire(s)	Pfizer
Direction produit concernée	Pôle Onco-Hématologie
Expert(s)	
Evaluateur(s) en charge du dossier	Marie GADEYNE

Présentation du dossier

L'ANSM a présenté les CPD de la spécialité ARACYTINE 100 mg, poudre et solvant pour solution injectable :

- Il s'agit de la seule spécialité à base de cytarabine disponible en ville, en liste I
- L'ensemble des autres spécialités sont en réserve hospitalière (RH) ou prescription hospitalière (PH), prescription réservée aux spécialistes
- Elle peut être administrée par voie sous-cutanée
- Des difficultés ont été remontées notamment pour la reconstitution qui doit être encadrée concernant ce médicament cytotoxique

- **Conclusions du CSP**

Question posée : Le CSP Onco-Hémalogie est sollicité sur le besoin actuel en ville pour ARACYTINE 100 mg, poudre et solvant pour solution injectable.

Votes

Nombre de votants	
Nombre d'avis favorables	
Nombre d'avis défavorables	
Nombre d'abstention	

Explication des votes

Avis majoritaires	
Avis minoritaires	

Conclusions

Le besoin pour des administrations à domicile tend à diminuer mais reste nécessaire, et la manipulation doit être encadrée pour ce médicament cytotoxique. Une révision des CPD avec une RH et rétrocession possible une fois reconstituée pour administration par une infirmière de ville serait adaptée.

Références documentaires