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

Accès compassionnel – TEPEZZA (teprotumumab) 500 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion

|  |  |
| --- | --- |
| La demande | |
| Spécialité | TEPEZZA 500 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion |
| DCI | Teprotumumab |
| Critères d’octroi | . ophtalmopathies basedowiennes après avis des experts lors d’une réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP) nationale « orbitopathie basedowienne »  . myxoedème des membres inférieurs et supérieurs dans le cadre de la maladie de Basedow résistant aux traitements locaux. |
| Périodicité des rapports de synthèse | *6 MOIS* |
| Renseignements administratifs | |
| Contact laboratoire titulaire ou CRO | Titulaire : Horizon Therapeutics Ireland DAC Contact local : AMGEN SAS  *CRO : WEP Clinical*  [*aac-Tepezza@wepclinical.com*](mailto:aac-Tepezza@wepclinical.com)  *tel +33 (01) 49 11 66 80* |
| Contact à l’ANSM | [aac@ansm.sante.fr](mailto:aac@ansm.sante.fr) |
| CRPV en charge du suivi du médicament en AAC, le cas échéant | *CHU de Limoges* |
| Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire | Amgen Data Privacy  Tél :+33 1 70289330 E-mail ou lien vers formulaire de contact : [privacy@amgen.com](mailto:privacy@amgen.com) |

Dernière date de mise à jour : *à compléter par l’ANSM*.

Retrouvez toutes les informations sur ce médicament en AAC :

<https://ansm.sante.fr/documents/reference/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 4](#_bookmark0)

[Le médicament 6](#_bookmark1)

[Calendrier des visites 8](#_bookmark2)

[Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients 10](#_bookmark3)

[Annexes 11](#_bookmark4)

[Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données 11](#_bookmark5)

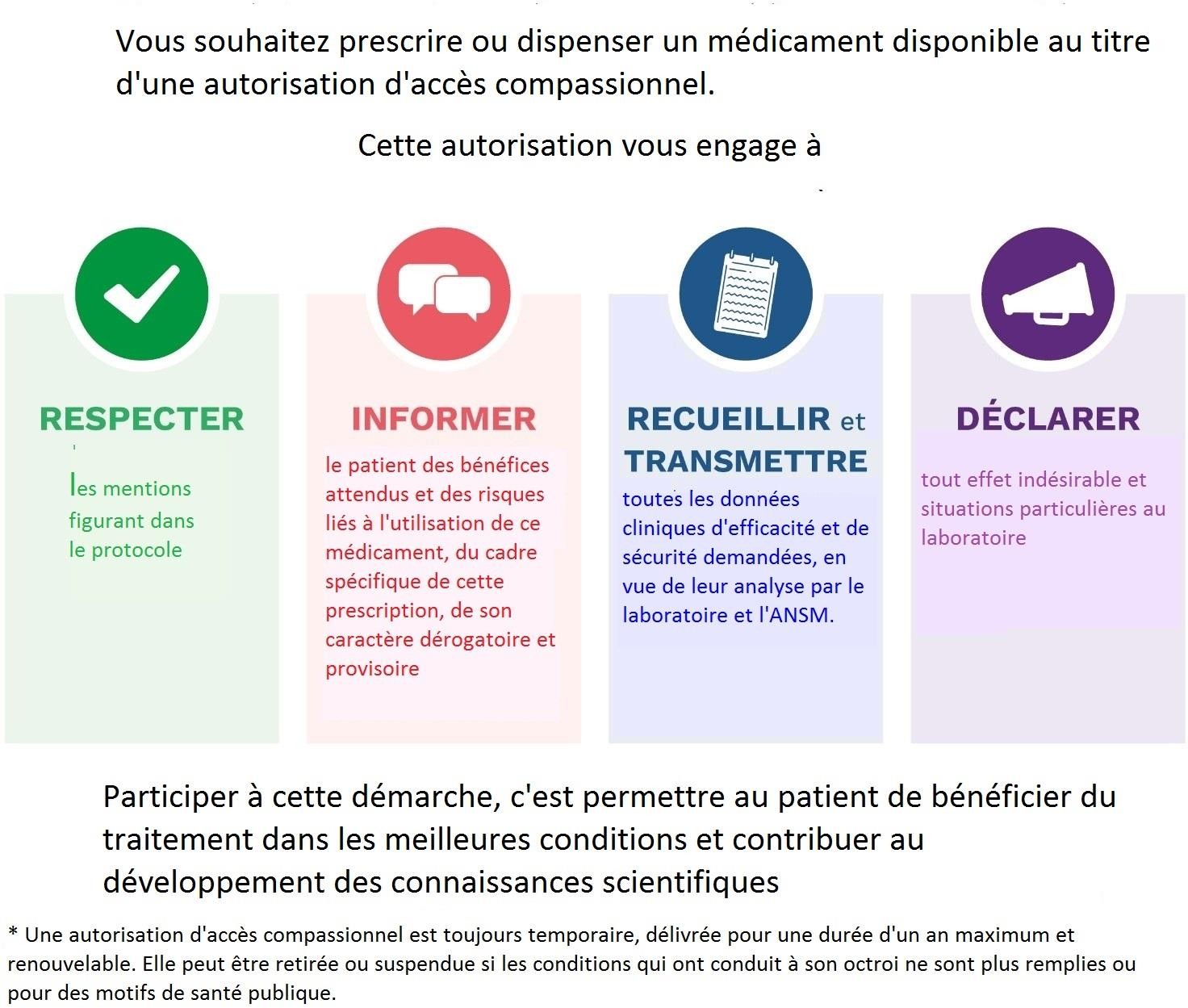
[Annexe 2. Rôle des différents acteurs 35](#_bookmark11)

[Annexe 3. Documents d’information à destination des patients avant toute prescription](#_bookmark12) [d’un médicament en autorisation d’accès compassionnel : TEPEZZA](#_bookmark12)

[(teprotumumab) 500 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion 39](#_bookmark12)

[Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d’être liés au traitement et de](#_bookmark14) [situations particulières 48](#_bookmark14)

# Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur



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 suivi des patients (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](#_bookmark12)) ;
* 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](#_bookmark5)). 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)

TEPEZZA (teprotumumab) 500 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion

##### Caractéristiques du médicament

TEPEZZA (teprotumumab) est un anticorps monoclonal humain IgG1, inhibiteur du récepteur IGF- 1R (*Insuline-like Growth Factor).* Cette liaison empêche l’activation du complexe des voies de signalisation IGF-1R/TSHR, impliquées dans la réaction inflammatoire, l’expansion et le remodelage tissulaire à l’origine des symptômes de l’ophtalmopathie basedowienne.

##### Critères d’octroi

*Précaution : un sevrage tabagique systématique est impératif avant toute initiation d’un traitement par TEPEZZA.*

##### Critères d’inclusion

En cas d’ophtalmopathie basedowienne :

* Patient ≥ 18 ans
* Diagnostic clinique d’une ophtalmopathie basedowienne modérée à sévère inflammatoire ou ophtalmopathie séquellaire (stade chronique) associée à un critère de sévérité de l’exophtalmie
* Exophtalmie marquée par une protrusion supérieure d’au moins 2mm à la norme pour le sexe et l’ethnie, responsable d’un retentissement fonctionnel, social ou psychologique invalidant
* Patients en euthyroïdie sous traitement ou spontanée
* Ne requiert pas une intervention chirurgicale ophtalmologique immédiate
* Absence de maladie auditive évolutive
* Nécessité d’une contraception hautement efficace pour les femmes en âge de pendant le traitement et pendant les 6 mois post-traitement (cf. RCP US et cf. Guideline du CTFG sur la contraception et la grossesse concernant les médicaments foetotoxiques possibles : [https://www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human\_Medicines/01-](https://www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human_Medicines/01-About_HMA/Working_Groups/CTFG/2020_09_HMA_CTFG_Contraception_guidance_Version_1.1_updated.pdf) [About\_HMA/Working\_Groups/CTFG/2020\_09\_HMA\_CTFG\_Contraception\_guidance\_Vers](https://www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human_Medicines/01-About_HMA/Working_Groups/CTFG/2020_09_HMA_CTFG_Contraception_guidance_Version_1.1_updated.pdf) [ion\_1.1\_updated.pdf](https://www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human_Medicines/01-About_HMA/Working_Groups/CTFG/2020_09_HMA_CTFG_Contraception_guidance_Version_1.1_updated.pdf))

En cas de myxœdème des membres inférieurs et supérieurs dans le cadre de la maladie de Basedow résistant aux traitements locaux :

* Patient ≥ 18 ans
* Myxœdème invalidant selon le prescripteur par son extension importante, son degré d’infiltration marquée des tissus, et une gêne fonctionnelle induite significative ayant un retentissement socio-professionnel
* En échec de traitement local
* Nécessité d’une contraception hautement efficace pour les femmes en âge de procréer pendant le traitement et pendant les 6 mois post-traitement (cf. RCP US et cf. Guideline du CTFG sur la contraception et la grossesse concernant les médicaments foetotoxiques possibles : [https://www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human\_Medicines/01-](https://www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human_Medicines/01-About_HMA/Working_Groups/CTFG/2020_09_HMA_CTFG_Contraception_guidance_Version_1.1_updated.pdf) [About\_HMA/Working\_Groups/CTFG/2020\_09\_HMA\_CTFG\_Contraception\_guidance\_Vers](https://www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human_Medicines/01-About_HMA/Working_Groups/CTFG/2020_09_HMA_CTFG_Contraception_guidance_Version_1.1_updated.pdf) [ion\_1.1\_updated.pdf](https://www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human_Medicines/01-About_HMA/Working_Groups/CTFG/2020_09_HMA_CTFG_Contraception_guidance_Version_1.1_updated.pdf))

##### Critères d’exclusion

* Maladie inflammatoire chronique intestinale
* Diabète déséquilibré avec HbA1c > 8,5%
* Pathologie auditive évolutive ou responsable d’un défect auditif séquellaire
* Grossesse
* Projet de grossesse dans l’année

##### Posologie

Perfusion intra-veineuse initiale de 10 mg/kg puis 20 mg/kg toutes les 3 semaines pour les 7 injections suivantes.

Administrer TEPEZZA par perfusion intra-veineuse pendant 60 à 90 minutes.

##### Conditions de prescription et de délivrance

En complément des conditions de prescription et de délivrance, se rapporter à [l’annexe 2](#_bookmark11) pour plus

d’informations sur les mentions obligatoires à porter sur l’ordonnance.

TEPEZZA (teprotumumab) 500 mg, est un médicament réservé à l’usage hospitalier. La prescription est réservée aux médecins spécialistes en endocrinologie, enophtalmologie ou en médecine interne.

# Calendrier des visites

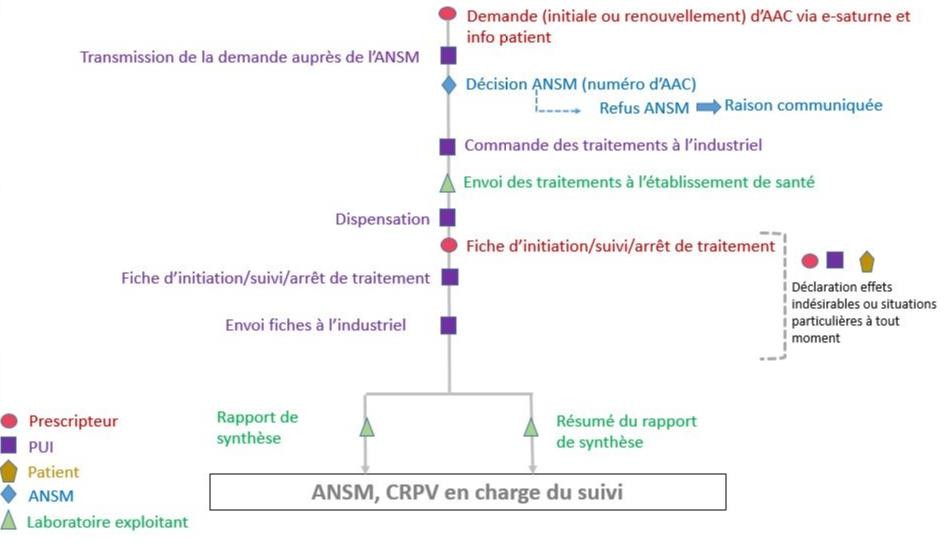
|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
|  | Demande d’autorisation auprès de l’ANSM | Première administration  (Fiche d’initiation) | Suivi du traitement  (Fiches de suivi aux semaines S9, S21 puis post- traitement à M3, M6, M9, M12, M18  et M24) | Arrêt du traitement  (Fiche d’arrêt définitif de traitement) |
| 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 | X |  |
| Antécédents de traitement et histoire de la maladie | X | X |  |  |
| Test de grossesse | X\* | X\* | X\*\* (toutes les 4 semaines au cours du traitement et jusqu’à 6 mois post-traitement) | X\*\* |
| Audiométrie |  | X | X (uniquement à M3, M6, M12, M24  post-traitement) | X |

|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
| **Collecte de données sur les conditions d’utilisation** | | | | |
| Posologie et traitements associés | X | X | X | X |
| Interruption de traitement |  |  | X | X |
| **Collecte de données d’efficacité** | | | | |
| Score d’activité CAS (*Clinical activity score*) |  | X | X |  |
| Score de sévérité |  | X | X |  |
| **Collecte de données de tolérance/situations particulières** | | | | |
| Suivi des effets indésirables/situation particulières |  | X | X | X |

* Test de grossesse sanguin

\*\* Test de grossesse urinaire

# 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](#_bookmark6)
* [Fiches de suivi de traitement](#_bookmark7)
* [Fiche d’arrêt définitif de traitement](#_bookmark8)
* [Fiche de déclaration d’effet indésirable](#_bookmark9)
* [Fiche de signalement de situations particulières](#_bookmark10)

REDCap Cloud, une plateforme internet EDC, sera utilisée pour collecter les données liées à cet accès compassionnel.

Fiche d’initiation de traitement

***À remplir par le prescripteur/pharmacien***

Fiche à transmettre avec l’AAC au laboratoire

##### Identification du patient

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

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) : | \_ | \_ | \_ |

\_ \_/\_ \_

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.

<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

|  |  |
| --- | --- |
|  | **HISTOIRE DE LA MALADIE** |
| Date de diagnostic clinique de la maladie de Basedow : \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_  Taux d’Ac anti récepteur de TSH (-R-TSH) au diagnostic initial de la maladie de Basedow : Euthyroïdie : □ oui / □ non  Date de diagnostic clinique de l’ophtalmopathie basedowienne : \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_  Œil atteint : □ droit / □ gauche / □ atteinte bilatérale Origine ethnique **:** | |
| Myxœdème associé : □ oui / □ non  Date de diagnostic clinique du myxœdème : \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_  Membre atteint : □ inférieur / □ supérieur | |
| **EVALUATION CLINIQUE DU PATIENT** | |
| Date de l’évaluation : \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_  Dans le cas d’une atteinte bilatérale, les données cliniques à renseigner concernent l’œil le plus gravement atteint : □ œil droit / □ œil gauche | |

|  |
| --- |
| **Activité clinique** |
| * Score d’activité CAS (Clinical Activity Score) : \_ / 7pts.   **Critères Points**  Douleur rétrobulbaire spontanée \_/ 1pt.  Douleur lors des mouvements oculaires vers le haut ou le bas \_/ 1pt.  Rougeur des paupières \_/ 1pt.  Hyperhémie conjonctivale \_/ 1pt.  Œdème palpébral \_/ 1pt.  Inflammation de la caroncule et/ou pli semi-lunaire \_/ 1pt.  Chémosis \_/ 1pt.  Phase de l’ophtalmopathie basedowienne: □ active / □ inactive |
| **Scores de sévérité** |
| * Protrusion (mesurée à l’exophtalmomètre) : \_ \_ mm (écart intercanthal : \_ \_ mm) * Diplopie (score de Gorman) :   **Critères Score**  Absence de diplopie 0  Diplopie intermittente (diplopie en position primaire du regard, 1  en cas de fatigue ou lors du réveil)  Diplopie inconstante (diplopie aux extrémités du regard) 2  Diplopie constante (diplopie continue en position primaire et 3  lors de la lecture)   * Rétractation de la paupière : □ oui / □ non * Lagophtalmie : \_ \_ mm * Neuropathie optique : □ oui / □ non * Atteinte cornéenne :   + Kératite ponctuée superficielle : □ oui / □ non   + Ulcère de cornée : □ oui / □ non   Stade de l’ophtalmopathie basedowienne : □ léger / □ modéré / □ sévère |
| **Paramètres ophtalmologiques** |
| * Limitation des mobilités oculaires : □ oui / □ non * Test de Lancaster : □ normal / □ anormal * Acuité visuelle : |

|  |
| --- |
| * Test de Snellen : \_/\_ * Anomalies du champ visuel : □ oui / □ non * Anomalie de la vision des couleurs : □ oui / □ non |
| **Test audiométrique** |
| * Audiométrie tonale : \_ \_ dB   Surdité : □ oui / □ non  Si oui, préciser la perte : \_ \_ dB   * Audiométrie vocale : |
| **Autre anomalie à l’examen ORL** |
| □ oui / □ non  Si oui, préciser : |

En cas de myxœdème associé :

Circonférence du mollet à son plus large diamètre : \_ \_ cm Pointure : \_ \_

##### Traitements antérieurs

|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
| **Traitement** | **Date de début** | **Posologie** | **Actuelle ment en cours** | **Si non, motif d’arrêt** |
| **Traitements antérieurs de la thyroïde pour maladie de Basedow / Hyperthyroïdie** | | | | |
| **Antithyroïdiens de synthèse** | \_ \_ / \_ \_ / \_ \_ \_ \_ | \_ \_ \_ | * Oui\* * Non | * Résistance * Dépendance\* * Intolérance |
| **Chirurgie** | \_ \_ / \_ \_ / \_ \_ \_ \_ |  |  | Non applicable |
| **IRAthérapie** | \_ \_ / \_ \_ / \_ \_ \_ \_  Patient en hypothyroïdie : □ oui / □ non | Dose : |  | Non applicable |
| **Traitements antérieurs de l’ophtalmopathie** | | | | |
| **Corticostéroïde systémique** | \_ \_ / \_ \_ / \_ \_ \_ \_ | \_ \_ \_ | □ Oui\* | □ Résistance |

|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
|  |  | Dose cumulée : Nombre de cures :  Injectable : □ oui / □ non | □ Non | * Dépendance * Intolérance * Dose maximale reçue |
| **Radiothérapie orbitaire** | \_ \_ / \_ \_ / \_ \_ \_ \_ | \_ \_ \_ | * Oui\* * Non | □ Résistance |
| **Rituximab** | Date de début : \_  \_ / \_ \_ / \_ \_ \_ \_ Date de fin  \_ \_ / \_ \_ / \_ \_ \_ \_ | \_ \_ \_  Dose cumulée : Nombre de cures : | * Oui\* * Non | □ Résistance |
| **Tocilizumab** | Date de début : \_  \_ / \_ \_ / \_ \_ \_ \_  Date de fin : \_ \_ /  \_ \_ / \_ \_ \_ \_ | \_ \_ \_  Nombre de cures : |  | Non applicable |
| **Traitements antérieurs du myxœdème associé, le cas échéant** | | | | |
| **Corticoïde topique** | \_ \_ / \_ \_ / \_ \_ \_ \_ | \_ \_ \_ | * Oui\* * Non | * Résistance * Dépendance * Intolérance * Dose maximale reçue |

* Dépendance aux antithyroïdiens de synthèse chez les patients répondant au traitement mais chez qui celui-ci ne peut être interrompu

Remarque : Les femmes en âge de procréer doivent recevoir une contraception hautement efficace pendant le traitement et les 6 mois post- traitement. (https://[www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human\_Medicines/01-](http://www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human_Medicines/01-) About\_HMA/Working\_Groups/CTFG/2020\_09\_HMA\_CTFG\_Contraception\_guidance\_Version\_ 1.1\_updated.pdf)

Chirurgie antérieure : □ oui / □ non Si oui, préciser :

* + Décompression orbitaire, date de la chirurgie : \_ \_ /\_ \_/ \_ \_ \_ \_
  + Chirurgie strabologique, date de la chirurgie : \_ \_ /\_ \_/ \_ \_ \_ \_
  + Chirurgie palpébrale, date de la chirurgie : \_ \_ /\_ \_/ \_ \_ \_ \_

##### Comorbidités

Préciser les comorbidités significatives du patient :

* + Tabagisme actif\*
  + Fumeur sevré, depuis : \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_
  + Non-fumeur
  + Diabète de type 1, traité par insuline : □ oui / □ non
  + Diabète de type 2 traité par insuline : □ oui / □ non
  + diabète, traité par insuline : ☐ oui / ☐ non
  + Antécédents auditifs, préciser :
  + Maladie inflammatoire intestinale, préciser :
  + Antécédents néoplasiques, préciser :
  + Autre antécédents significatifs, préciser :

**\*Il est impératif que tout patient avec un tabagisme actif soit en sevrage tabagique avant l’initiation du traitement**.

### Biologie

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
| **Examen** | **Date** | **Résultats** | **Interprétation (selon les valeurs du laboratoire)** |
| **TSH** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :   * Hyperthyroïdie infraclinique * Hyperthyroïdie franche * Hypothyroïdie infraclinique * Hypothyroïdie franche Normes du laboratoire\* :   ……………………… |
| **Anticorps anti- récepteurs de la TSH** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  \_ \_ \_ \_x LSN  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **T3L (à doser si TSH abaissée)** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :   * élevée (\_ \_ x LSN) * abaissée   Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **T4L (à doser si TSH abaissée)** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :   * élevée (\_ \_x LSN) * abaissée   Normes du laboratoire\* : |

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  |  |  | ……………………… |
| **Glycémie à jeun** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  \_ \_ \_,\_ \_ en g/L  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **HbA1c** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  \_ \_ \_%  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **ASAT** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  □ élevée (\_ \_ x LSN)  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **ALAT** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  □ élevée (\_ \_ x LSN)  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **Phosphatase alcaline** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  □ élevée (\_ \_x LSN)  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **Gamma-glutamyl transpeptidase** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  □ élevée (\_ \_ x LSN)  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **Bilirubine** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  □ élevée (\_ \_ x LSN)  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **Créatinine** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  \_ \_ \_ \_µmol/L  Clairance CKD-EPI :  \_ \_ \_ \_ml/min/1.73 m²  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **NFS** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  ……………………...  ………………………  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **Test sanguin de grossesse** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | □ Positif | Non applicable |

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  |  | * Négatif * Non applicable |  |

\*Normes du laboratoire à renseigner si disponibles.

### Traitement par TEPEZZA (teprotumumab) 500 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion

##### Posologie et durée envisagée

Dose prescrite :

TEPEZZA (teprotumumab), 500 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion :

Dose initiale de 10 mg/kg puis 20 mg/kg toutes les 3 semaines pour les 7 injections suivantes. Administrer TEPEZZA par perfusion intra-veineuse pendant 60 à 90 minutes.

Dose administrée : \_ \_ \_ mg

Si administration selon un autre schéma posologique, justifier :

##### Traitements concomitants et/ou soins de support *()*

Existe-il des traitements concomitants ? □ oui / □ non. Si oui, compléter le tableau ci-dessous :

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **Type de traitement** | **Date de début de traitement** | **Indication** |
| Antithyroïdiens de synthèse :   * Carbimazole * Thiamazol * Propythiouracile | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Hormone thyroïdienne de synthèse | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| B-bloquants | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Larmes artificielles | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Vitamine A locale | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Collyre hypotonisant | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Prisme | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Sélénium | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Corticoïdes topiques | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Corticoïdes systémiques | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Contraception | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |

Remarque : Nécessité d’une contraception hautement efficace chez les femmes en âge de procréer pendant le traitement et les 6 mois post-traitement.

([https://www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human\_Medicines/01- About\_HMA/Working\_Groups/CTFG](https://www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human_Medicines/01- About_HMA/Working_Groups/CTFG/2020_09_HMA_CTFG_Contraception_guidance_Version_1.1_updated.pdf)

[/2020\_09\_HMA\_CTFG\_Contraception\_guidance\_Version\_1.1\_updated.pdf](https://www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human_Medicines/01- About_HMA/Working_Groups/CTFG/2020_09_HMA_CTFG_Contraception_guidance_Version_1.1_updated.pdf)).

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 <https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2020/761143s000lbl.pdf>(RCP US)

##### Critères d’octroi

Veuillez-vous référer aux critères d’inclusion et d’exclusion mentionnés en pages 6 et 7.

###### 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 : Justification de la demande

J’ai remis les documents d’information au patient (disponible en [annexe](#_bookmark12) 3) et certifie que le patient a été informé de la collecte de ses données personnelles : ☐ Oui ☐ Non

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **Médecin prescripteur** Nom/Prénom : Spécialité :  No RPPS :  Hôpital :   * CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé   Numéro FINESS : Tel: Numéro de téléphone.  E-mail: [xxx@domaine.com](mailto:xxx@domaine.com)  Date : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_  Cachet et signature du médecin : |  | **Pharmacien**  Nom/Prénom :  No RPPS :  Hôpital :   * CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé Numéro FINESS :   Tel: Numéro de téléphone. E-mail: [xxx@domaine.com](mailto:xxx@domaine.com)  Date : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_  Cachet et signature du pharmacien : |

En tant que professionnel de santé impliqué dans le programme TEPEZZA, vos données personnelles font l’objet d’un traitement par Amgen dont le délégué à la Protection des Données est joignable à l’adresse [privacy@amgen.com](mailto:dataprivacy@wepclinical.com), qui agit en tant que responsable de traitement au sens de la réglementation relative aux données personnelles.

Vous pouvez à tout moment accéder à vos données ou demander leur rectification. Vous pouvez également demander la limitation du traitement.

En revanche, vous ne pourrez pas vous opposer au traitement de vos données, demander leur effacement ou leur portabilité.

**Fiche de suivi de traitement**

**(Visites après la première administration)**

*À remplir par le prescripteur/pharmacien*

Fiche à transmettre au laboratoire

Visite de suivi no à compléter

* + - Semaine 9 – au moment de la 4ème injection
    - Semaine 21 – au moment de la dernière injection

Date de la visite : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_

* + - Suivi trimestriel post-traitement, préciser (M3, M6, M9, M12, M18, M24 post-traitement)

:

### 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

No d’AAC de l’ANSM: Cliquez ici pour entrer du texte

### Conditions d’utilisation

Date de la première administration : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_

##### Posologie et durée prescrite

À ne compléter que si différent de la fiche de demande de traitement.

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

Si oui, préciser : Poids du patient : \_ \_ \_ kg

Dose administrée : \_ \_ \_ mg

Si administration selon un autre schéma posologique, justifier :

.

##### Traitements concomitants et/ou soins de support

À ne compléter que si différent de la fiche de demande de traitement.

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

Si oui, préciser :

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **Type de traitement** | **Date de début de traitement** | **Indication** |
| Antithyroïdiens de synthèse :   * Carbimazole * Thiamazol | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **□** Propythiouracile |  |  |
| Hormone thyroïdienne de synthèse | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| B-bloquants | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Larmes artificielles | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Collyre hypotonisant | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Prisme | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Vitamine D et analogues | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Vitamine A | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Sélénium | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Corticoïdes topiques | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Corticoïdes systémiques | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Contraceptif hautement efficace | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ |  |
| Autres |  |  |

Remarque : Nécessité d’une contraception hautement efficace chez les femmes en âge de procréer pendant le traitement et les 6 mois post-traitement. (https://[www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human\_Medicines/01-](http://www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human_Medicines/01-) About\_HMA/Working\_Groups/CTFG/2020\_09\_HMA\_CTFG\_Contraception\_guidance\_Version\_ 1.1\_updated.pdf)

##### Biologie

Les paramètres biologiques sont à évaluer à S3, S21 et post traitement M3, M6, M9, M12, M18 et M24.

La glycémie à jeun et l’HbA1c est à évaluer à chaque perfusion et post traitement M3, M6, M9, M12, M18 et M24.

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
| **Examen** | **Date** | **Résultats** | **Interprétation (selon les valeurs du laboratoire)** |
| **TSH**  à réaliser :   * tous les 3 mois si patient bien contrôlé par antithyroïdien de synthèse * toutes les 4 à 6 semaines si patient   dépendant à antithyroïdien de synthèse | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :   * Hyperthyroïdie infraclinique * Hyperthyroïdie franche * Hypothyroïdie infraclinique * Hypothyroïdie franche |
| **T3L à réaliser si TSH anormale – suivi tous les 3 mois** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :   * élevée (\_ \_ x LSN) * abaissée   Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **T4L à réaliser si TSH anormale – suivi tous les 3 mois** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :   * élevée (\_ \_ x LSN) * abaissée   Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **Glycémie à jeun** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  \_ \_ \_,\_ \_ en g/L  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **Anticorps anti- récepteurs de la TSH** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  \_ \_ \_ \_x LSN  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **HbA1c** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  \_ \_ \_%  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
| **ASAT** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  □ élevée (\_ \_ x LSN)  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **ALAT** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anomal | Si anormal, préciser :  □ élevée (\_ \_ x LSN)  Normes du laboratoire\*:  ……………………… |
| **Phosphatase alcaline** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  □ élevée (\_ \_x LSN)  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **Gamma-glutamyl transpeptidase** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  □ élevée (\_ \_ x LSN)  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **Créatinine** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  □ élevée (\_ \_ x LSN)  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **NFS** | \_ \_ /\_ \_ /\_ \_ \_ \_ | * Normal * Anormal | Si anormal, préciser :  \_ \_ \_ \_ \_ µmol/L  Clairance CKD-EPI :  \_ \_ \_ \_ml/min/1.73 m²  Normes du laboratoire\* :  ……………………… |
| **Test de grossesse urinaire\*\*** |  | □ Positif   * Négatif * Non applicable | Non applicable |

* Normes du laboratoire à renseigner si disponibles.

**\*\*** Un test de grossesse urinaire est à réaliser toutes les 4 semaines, pendant le traitement et jusqu’à 6 mois après l’arrêt du traitem

##### Interruption/arrêt temporaire de traitement

* Oui
* Non

Si oui, préciser les 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 TEPEZZA (teprotumumab) 500 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion

##### Variable d’efficacité 1 (à préciser)

L’œil évalué lors du suivi à S9 et S21 puis à M3, M6, M9, M12, M18 et M24 post-traitement doit être le même que celui évalué à la visite d’initiation.

*Dans le cas d’une atteinte bilatérale, les données cliniques à renseigner concernent l’œil le plus gravement atteint*.

Reprécisez l’œil évalué : □ droit / □ gauche

Scores d’efficacité (à évaluer à S9, S21 et post-traitement à M3, M6, M9, M12, M18 et M24) :

* + Score d’activité CAS *(Clinical Activity Score)* : \_ \_/ 7pts.

|  |  |
| --- | --- |
| **Critères** | **Points** |
| Douleur rétrobulbaire spontanée | \_/ 1pt. |
| Douleur lors des mouvements oculaires vers le haut ou le bas | \_/ 1pt. |
| Rougeur des paupières | \_/ 1pt. |
| Hyperhémie conjonctivale | \_/ 1pt. |
| Œdème palpébral | \_/ 1pt. |
| Inflammation de la caroncule et/ou pli semi-lunaire | \_/ 1pt. |
| Chémosis | \_/ 1pt. |

Phase de l’ophtalmopathie basedowienne: □ active / □ inactive

Scores de sévérité (à évaluer à S9, S21 et post-traitement à M3, M6, M9, M12, M18 et M24) :

* + Protrusion (mesurée à l’exophtalmomètre) : \_ \_ mm (écart intercanthal : \_ \_ mm)
  + Diplopie (score de Gorman) :

|  |  |
| --- | --- |
| **Critères** | **Score** |
| Absence de diplopie | 0 |
| Diplopie intermittente (diplopie en position primaire du regard, en cas de fatigue ou lors du réveil) | 1 |
| Diplopie inconstante (diplopie aux extrémités du regard) | 2 |
| Diplopie constante (diplopie continue en position primaire et lors de la lecture) | 3 |

* + Rétractation de la paupière : □ oui / □ non
  + Lagophtalmie : \_ \_ mm
  + Neuropathie optique : □ oui / □ non
  + Atteinte cornéenne :
    - Kératite ponctuée superficielle : □ oui / □ non
    - Ulcère de cornée : □ oui / □ non

Stade de l’ophtalmopathie thyroïdienne : □ léger / □ modéré / □ sévère

##### Paramètres ophtalmologiques (à évaluer à S9, S21 et post-traitement à M3, M6, M9, M12, M18 et M24) :

* + Limitation des mobilités oculaires : □ oui / □ non
  + Test de Lancaster : □ normal / □ anormal
  + Acuité visuelle :
    - Test de Snellen : \_/\_
    - Anomalies du champ visuel : □ oui / □ non

o Anomalie de la vision des couleurs : □ oui / □ non

##### Test audiométrique (à évaluer à S9, S21 et post-traitement à M3, M6, M12 et M24) :

* + Audiométrie tonale : \_ \_ dB

Surdité : □ oui / □ non

Si oui, préciser la perte : \_ \_ dB

* + Audiométrie vocale :

##### Autre anomalie à l’examen ORL (à évaluer à S9, S21 et post-traitement à M3, M6, M9, M12, M18 et M24) :

□ oui / □ non

Si oui, préciser :

##### En cas de myxœdème associé (à évaluer à S9, S21 et post-traitement à M3, M6, M9, M12, M18 et M24) :

Circonférence du mollet à son plus large diamètre : \_ \_ cm Pointure : \_ \_

Chirurgie ophtalmologique réalisée au cours du traitement ou après l’arrêt du traitement :

* Décompression orbitaire, date de la chirurgie : \_ \_ /\_ \_/\_ \_ \_ \_
* Chirurgie strabologique, date de la chirurgie : \_ \_ /\_ \_/\_ \_ \_ \_
* Chirurgie palpébrale, date de la chirurgie : \_ \_ /\_ \_/\_ \_ \_ \_

##### 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

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

* Oui
  + Non

Vérification du suivi de la contraception, le cas échéant.

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
|  |  | |
| **Médecin prescripteur** | | **Pharmacien** |
| Nom/Prénom : | | Nom/Prénom : |
| Spécialité : | | No RPPS : |
| No RPPS : | |  |
| Hôpital :   * CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé | | Hôpital :   * CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé |
| No FINESS : | | No FINESS : |
| Tél : Numéro de téléphone. | | Tél : Numéro de téléphone. |
| E-mail : [xxx@domaine.com](mailto:xxx@domaine.com) | | E-mail : [xxx@domaine.com](mailto:xxx@domaine.com) |
| Date : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_ | | Date : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_ |
| 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

### Identification du patient

Date de l’arrêt définitif de traitement : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_

Nom du patient (3 premières lettres) :

| \_ | \_ | \_ | Prénom (2 premières lettres) :

| \_ | \_ |

No dernière AAC de l’ANSM: Cliquez ici pour entrer du texte Posologie à l’arrêt du traitement :

### Raisons de l’arrêt du traitement

* + Fin de traitement tel que prévu par le schéma thérapeutique (mention à supprimer si durée non définie)
  + 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 :
  + Chirurgie ophtalmologique
    - Décompression orbitaire, date de la chirurgie : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_
    - Chirurgie strabologique, date de la chirurgie : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_
    - Chirurgie palpébrale, date de la chirurgie : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_
  + Autre, préciser :

|  |  |
| --- | --- |
| **Médecin prescripteur** | **Pharmacien** |

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| Nom/Prénom :  Spécialité :  No RPPS :  Hôpital :   * CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé No FINESS :   Tél : Numéro de téléphone. E-mail: [xxx@domaine.com](mailto:xxx@domaine.com)  Date : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_  Cachet et signature du médecin : |  | Nom/Prénom :  No RPPS :  Hôpital :   * CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé No FINESS :   Tél : Numéro de téléphone. E-mail: [xxx@domaine.com](mailto:xxx@domaine.com)  Date : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_  Cachet et signature du pharmacien : |

Fiche de déclaration des effets indésirables

Fiche à transmettre au laboratoire

NB : compléter les dates au format suivant : JJ-MMM-AAAA

\*Compléter, dans la mesure du possible

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **Représentant d’**Amgen **destinataire des Evènements Indésirables (EI)** | | |
| **Nom\*NA** | Date du rapport\* : | |
| **Service d’Amgen : Pharmacovigilance** | Date de notification de l’EI au représentant d’Amgen : | |
| **Contact Amgen :** | Email : [svc-ags-in-us@amgen.com](mailto:svc-ags-in-us@amgen.com)  Cc’ : [pharmacovigilance@amgen.com](mailto:pharmacovigilance@amgen.com) | |
| **Rapporteur (non-employée d’Amgen) fournissant des informations concernant un EI** | | |
| **□ Médecin □ Pharmacien □ Infirmière □ Patient □ Autre** | | |
| **Nom\* :** | Rue : | |
| **Téléphone\* :** | Ville : | Etat : |
| **Email\* :** | Code postal : | Pays\* : |
| **Produit** | | |
| **Nom du médicament\* :** | Lot/numéro de lot : | |
| **Indication d’utilisation :** | Date d’expiration : | |
| **Taille du conditionnement :** | Date de début : | |
| **Dosage :** | Date d’arrêt : | |
| **Application [forme (ex orale), fréquence, durée, date de début d’utilisation, toujours en vigueur (oui/non), arrêté le, date et site d’injection] :** | | |

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
| **Informations du patient** | | | |
| **Nom du patient** (3 premières lettres) **: | \_**  **| \_ | \_ |**  **Prénom** (2 premières lettres) **: | \_ | \_ |** | | □ Homme\* □ Femme\* | |
| **Date de naissance ou âge au moment de la survenue de l’évènement\* :** | | | |
| **Le patient participe-t-il à un programme/une étude d’Amgen\* ?**  **□ Non □ Oui, préciser : N° identifiant du patient :** | | | |
| **Evènement indésirable** | | | |
| **Description de l’effet indésirable\* ?** | | | |
| **Date de début :** | **Date d’arrêt :** | | **Durée (si les dates exactes ne sont pas disponibles) :** |
| **Issue : □ Rétabli/Résolu □ En cours de rétablissement/En cours de résolution**  **□ Non rétabli/Non résolu □ Inconnu** | | | |
| **Antécédents médicaux** | | | |
|  | | | |
| **Autre(s) traitement(s) en cours** | | | |
|  | | | |
| **Autres informations supplémentaires/commentaires** | | | |
|  | | | |

Fiche de signalement de situations particulières

Fiche à transmettre au laboratoire

|  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- |
| **Nom du produit :** |  | | **Numéro d'identification du cas**  **:** | |  |
| **Partie 1 : Information du patient** | | | | | |
| Initiales de la mère : | |  | Date de naissance de la mère (jj-mmm-aaaa) : | |  |
| Initiales du père (si partenaire de grossesse) : | |  | Date de naissance du père (si partenaire de grossesse)  (jj-mmm-aaaa) : | |  |
| Antécédents d'avortement spontané : | | | Avortement provoqué Mort-né  Non applicable  Si la case avortement provoqué ou mort-né est cochée, préciser la cause, le nombre et les dates (jj- mmmm-aaaa) : | | |
| Nombre de grossesses  antérieures : | |  | Nombre de naissances d’enfants vivants : | |  |
| Antécédents de complications de  grossesse | | | Oui, préciser : Non | | |
| Antécédents familiaux de maladies héréditaires, de malformations, de maladies chroniques chez les futurs parents : | | | Oui, préciser : Non | | |
| Médicaments utilisés par la mère et le père (si connus) : | | |  | | |
| Cocher les éléments suivants pour la mère et le père (si connu) : | | | Fumeur, quantité/fréquence :  Consommateur d’alcool, quantité/ fréquence : Consommateur de drogue, quantité/ fréquence : Ancien fumeur, date d’arrêt :  Ancien consommateur d’alcool, date d’arrêt : Ancien consommateur de drogue, date d’arrêt : | | |
| **Partie 2 : Grossesse en cours** | | | | | |
| Multiples attendus : | | |  | Oui, préciser le nombre : Non | |
|  |
| Date des dernières menstruations (jj-mmm- aaaa) : | | |  | | |
| Avant la grossesse, les menstruations étaient-elles régulières : | | | Oui  Non, préciser si des mesures contraceptives à long  terme étaient utilisées avant la grossesse et lesquelles : | | |
| Âge gestationnel au moment de la déclaration : | | |  | | |
| Date d’accouchement prévue (jj-mmm-  aaaa) : | | |  | | |
| Complications au cours de la grossesse (par ex. hospitalisation, infections, etc.) | | |  | Oui, préciser le nombre : Non | |
|  |
| **Partie 3 : Examens prénataux au cours de la grossesse** | | | | | |

|  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- |
| Contrôles médicaux préventifs réguliers : | | | | | | | | | | | | Oui Non | | | | | | | |
| Analyses | | | | | | | Date  (jj-mmm-aaaa) | | | | Normal | | Anormal | | | | | | |
| Amniocentèse | | | | | | |  | | | |  | | Préciser : | | | | | | |
| Alpha  fœtoprotéine (AFP) | | | | | | |  | | | |  | | Préciser : | | | | | | |
| Prélèvement de  villosités choriales (CVS) | | | | | | |  | | | |  | | Préciser : | | | | | | |
| Dépistage génétique | | | | | | |  | | | |  | | Préciser : | | | | | | |
| Échographie | | | | | | |  | | | |  | | Préciser : | | | | | | |
| 1ère échographie (9ème à la 12ème  semaine de gestation) | | | | | | |  | | | |  | | Préciser : | | | | | | |
| 2ème échographie  (19ème à la 23ème semaine de gestation) | | | | | | |  | | | |  | | Préciser : | | | | | | |
| 3ème échographie (28ème à la 32ème  semaine de gestation) | | | | | | |  | | | |  | | Préciser : | | | | | | |
| **Partie 4: Exposition au médicament** | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| Date de début de traitement (jj-mmm-  aaaa) : | | | | | | | |  | | | | Date de fin de traitement (jj-mmm-aaaa) : | | | |  | | | |
| **Partie 5 : Exposition à d’autres médicaments au moment de la conception/pendant la**  **grossesse** | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| Nom commercial/ Générique | | | | | Dose journalière | | | | | Voie d’administration | | | Indication | | Date de traitement (jj-mmm-aaaa) | | | | |
|  | | | | |  | | | | |  | | |  | |  | | | |  |
|  | | | | |  | | | | |  | | |  | |  | | | |  |
|  | | | | |  | | | | |  | | |  | |  | | | |  |
| **Ou** |  | Non applicable, pas d’exposition à d’autres médicaments au moment de la | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| conception/pendant la grossesse | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| **Partie 6 : Informations sur l’accouchement/l’enfant** | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| Date de naissance / Avortement / Mort-né (jj-mmm-aaaa): | | | | | | | | | | | | Ou Date inconnue | | | | | | | |
| Âge gestationnel (semaine) : | | | | | | |  | | | | | Multiple : | | Oui, préciser le nombre : Non | | | | | |
| Type d’accouchement | | | | | | | Voie basse  Ventouse obstétricale/Extraction par aspiration Césarienne  Accouchement par le siège | | | | | | | | | | | | |
| Enfant | | Genre | | APGAR | | | | | | Périmètre crânien  (cm) | | Poids (kg) | Taille (cm) | Résultats  \* | | Anomalie/préciser | | | |
| M | F | 1 | | 5 | | | 10 |  | |  |  |  | |  | | | |
| 1 | |  |  |  | |  | | |  |  | |  |  |  | | Oui, préciser : Non | | | |
| 2 | |  |  |  | |  | | |  |  | |  |  |  | |  |  | Oui, préciser : | |
| Non | | | |
| 3 | |  |  |  | |  | | |  |  | |  |  |  | |  |  | Oui, préciser : | |
| Non | | | |
| \*Indiquez le numéro pour les éléments suivants : 1. Naissance vivante ; 2. Avortement spontané (jusqu’à 20 semaines) ; 3. Mort-né (20 à 27 semaines) ; 4. Mort-né (>28 semaines) ; 5. Avortement  provoqué ; 6. Décès de la mère et de l’enfant ; 7. Grossesse extra-utérine | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
| **Partie 7 : Signature du rapporteur** | | | |
| Nom et titre en caractère d’imprimerie : | Statut du rapporteur (ex : médecin, infirmier(ère), pharmacien, etc.) : | Adresse email : | |
| Téléphone : | |
| Signature : | | | Date (jj-mmm-aaaa) : |

## Annexe 2. Rôle des différents acteurs

### Rôle des professionnels de santé

#### 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](#_bookmark12) 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](#_bookmark14) 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.

#### 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](#_bookmark14) 4.

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

### 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)](#_bookmark12) ;
* informe les professionnels de santé de tout effet indésirable ou le déclare lui-même sur le portail de signalement : [www.signalement-sante.gouv.fr](http://www.signalement-sante.gouv.fr/).

### 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 1ere 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

### 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.

### Rôle du CRPV en charge du suivi du médicament en AAC

Le centre régional de pharmacovigilance (CRPV) désigné en 1ère 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 : TEPEZZA (teprotumumab) 500 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion

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](#_bookmark13).

**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 TEPEZZA (teprotumumab) 500 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion 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 suivi des patients (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’examens 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 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, arrêt impératif du tabac, 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.
* Pour les femmes en âge de procréer s’assurer de la prise d’une contraception hautement efficace pendant le traitement et pendant les 6 mois post-traitement.

Le produit que vous allez recevoir est TEPEZZA 500 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion présentée dans un flacon unidose.

TEPEZZA contient la substance active teprotumumab et appartient à une classe de médicaments appelés anticorps monoclonaux. TEPEZZA est utilisé pour traiter l’ophtalmopathie basedowienne ainsi que le myxœdème des membres inférieurs et supérieurs dans le cadre de la maladie de Basedow résistant aux traitements locaux*.*

TEPEZZA est administré à une dose initiale de 10 mg/kg puis 20 mg/kg toutes les 3 semaines pour les 7 injections suivantes. L’administration de cette spécialité se fait par perfusion intra-veineuse pendant 60 à 90 minutes.

### 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 suivi des patients (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](http://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 ».](#_bookmark13)

### 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 suivi des patients (PUT-SP) 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.

Associations de patients :

*Association 'Vivre sans thyroïde' (AVST)*

*Association Française des Malades de la Thyroïde (AFMT)*

Ce document a été élaboré par l’Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé, en collaboration avec le laboratoire AMGEN et les membres d’associations de patients

**Note d’information destinée au prescripteur**

RCP US : <https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2020/761143s000lbl.pdf>)

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

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 Amgen. 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 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>et à l’adresse suivante : <https://www.amgen.fr/informations-legales-donnees-caractere-personnelles-acces-precoce>.

### 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](https://eur-lex.europa.eu/legal-content/FR/TXT/PDF/?uri=CELEX%3A32016R0679&from=FR)) telle que prévue aux articles [L. 5121-12-1 et suivants du Code](https://www.legifrance.gouv.fr/codes/article_lc/LEGIARTI000041721215/) [de la santé publique](https://www.legifrance.gouv.fr/codes/article_lc/LEGIARTI000041721215/) 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.

À conserver uniquement lorsqu’elles sont strictement nécessaires au regard du produit prescrit et de la

pathologie en cause.

Sont également collectées :

* l’origine ethnique ;
* la consommation de tabac, d’alcool et de drogues.

### Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités du groupe Amgen et ses éventuels sous-traitants (société de recherche sous contrat) sous une forme pseudonymisées. 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.

Vos données pourront également être transmises au personnel habilité des autres sociétés du groupe

Amgen auquel appartient Amgen S.A.S.

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 Amgen à l’ANSM ainsi qu’au centre régional de pharmacovigilance désigné en charge du suivi du médicament le cas échéant.

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.

Les transferts sont réalisés en conformité avec les réglementations applicables relatives à la protection des données ainsi qu’avec les règles contraignantes d'entreprise (BCR) d’Amgen. Pour en savoir plus sur les BCR d’Amgen, notamment sur votre capacité à soumettre une réclamation concernant un traitement qui contreviendrait aux BCR, merci de consulter http://www.am-gen.com/bcr/. Amgen prend toutes les précautions techniques, juridiques et administratives pour garantir la bonne exécution de ces transferts.

.

Vous avez le droit de demander une copie de ces garanties au laboratoire pharmaceutique Amgen à l’adresse suivante : [privacy@amgen.com](mailto:privacy@amgen.com).

### Combien de temps sont conservées vos données ?

Vos données personnelles sont conservées pendant une durée de 2 ans pour une utilisation active. Les données seront ensuite archivées durant pour la durée de l’autorisation de mise sur le marché de Tepezza et jusqu’à 10 ans après l’expiration de cette autorisation. 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 [privacy@amgen.com](mailto:dataprivacy@wepclinical.com) 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.](http://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](http://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.