
Résumé du rapport de synthèse

Autorisation d'accès compassionnel (AAC) Léniolisib

Rapport n°1 - Période du 23 décembre 2023 au 24 juin 2024

1- Introduction

L'ANSM (Agence Nationale de Sécurité du Médicament) délivre des autorisations d'accès compassionnel (AAC) pour le médicament Léniolisib, 10, 30 et 70 mg en comprimés pelliculés, dans le traitement du syndrome de la phosphoinositide 3-kinase delta activée (APDS) pour les patients de 4 ans et plus.

La mise à disposition du médicament dans le cadre des autorisations d'accès compassionnel a débuté le 1er juillet 2021.

Depuis le 15 décembre 2023, les AAC sont encadrées par un Protocole d'Utilisation Thérapeutique et de Suivi des Patients (PUT-SP) approuvé par l'ANSM. Le premier patient a été inclus le 23 décembre 2023 selon ce PUT-SP.

Il s'agit du premier rapport périodique pour l'AAC du léniolisib sur la période protocolisée et il couvre la période du 23 décembre 2023 au 24 juin 2024.

Entre le 23 décembre 2023 et le 24 juin 2024, 4 patients ont été inclus selon le PUT-SP, seules les données sur ces 4 patients sont présentées dans ce rapport.

Avant décembre 2023, aucune donnée patient n'a été recueillie car aucun PUT-SP n'était en place.

A ce jour (4 novembre 2024), Léniolisib ne bénéficie pas encore d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) en France.

2- Données collectées

a. Caractéristiques générales des patients/prescripteurs

Suivi des patients

Une demande d'AAC a été approuvée pour 4 patients qui sont suivis conformément au protocole PUT-SP.

- Sur les 4 patients couverts dans ce rapport, 1 reçoit 30 mg 2x/j, 1 reçoit 40 mg 2x/j et 2 reçoit 70 mg 2x/j.
- La durée moyenne du traitement est de 104 jours.
- Les 4 formulaires d'initiation des patients ont été reçus et 3 des 4 formulaires de suivi pour la première visite de suivi ont été reçus.

Les 4 patients AAC sont restés à leur dose initiale, et il n'y a pas eu d'interruption ou d'arrêt de traitement.

Caractéristiques générales des patients

	Moyenne	Médiane	Min.	Max.
Âge	12,90 ans	13,73 ans	8,45 ans	15,67 ans
Nombre de patients pédiatriques	4 patients pédiatriques			

	Proportion d'hommes	Proportion de femmes
Sexe	50%	50%

	Moyenne	Médiane	Min.	Max.
Poids	44,68 kg	41,85 kg	26,0 kg	69,0 kg

Caractéristiques de la maladie

Mutations génétiques :

- Un patient présente une PI3CD confirmée et un patient présente des mutations PI3R1 confirmées. Les mutations génétiques des 2 autres patients n'ont pas été confirmées.

Antécédents médicaux :

- Un patient a une évaluation historique par TDM, le même patient a des antécédents de splénomégalie.
- Un autre patient a des antécédents de maladie respiratoire.
- Aucun des 4 patients AAC n'a rapporté d'antécédents de tumeurs.

Antécédents d'infections :

- Les 4 patients ont souffert de multiples infections au cours des 12 derniers mois.

Caractéristiques des prescripteurs

Les 4 patients AAC couverts dans ce rapport sont sous la responsabilité de 3 médecins.

Sur les 4 patients AAC, dont les données ont été recueillies selon le PUT-SP, 3 patients ont été mis sous traitement par l'équipe de l'hôpital Necker à Paris et sont suivis dans leurs hôpitaux locaux, un patient a été initié au CHU de Lille

b. Conditions d'utilisation du médicament

Les informations concernant la posologie, la comédication, la durée médiane du traitement, les modifications de la posologie, les interruptions et les arrêts du traitement sont présentées dans le tableau ci-dessous.

Patient	Posologie Modification de la posologie	Interruption ou arrêt du traitement	Durée du traitement	Comédication
1	40 mg 2x/j	Non	6 jours	IgSC Prophylaxie antibiotique
2	70 mg 2x/j	Non	111 jours	IgSC Antihistaminiques
3	30 mg 2x/j	Non	161 jours	IgSC Prophylaxie antibiotique
4	70 mg 2x/j	Non	138 jours	IgIV Prophylaxie antibiotique Analgésiques ou traitement anti- inflammatoire

c. Données d'efficacité

Le recueil des données d'efficacité n'est pas requise jusqu'au deuxième suivi au 6ème mois selon le PUT-SP.

Comme aucun des 4 patients, dont les données ont été recueillies au cours de la période de ce rapport, n'a eu cette deuxième visite de suivi, aucune donnée d'efficacité n'a été collectée.

d. Données nationales de pharmacovigilance

Pendant la période de ce rapport, aucun patient AAC n'a signalé d'effet indésirable ou d'événement indésirable. Comme il s'agit du premier rapport pour l'AAC dans le cadre du protocole PUT-SP, le nombre cumulé de réactions et d'événements est donc également nul (0).

Le nombre de signalements concernant des situations particulières est également nul (0) : aucun événement signalant des erreurs médicamenteuses, des abus, des surdosages, des mésusages ou des interactions médicamenteuses n'a été reçu pendant la période de signalement ou cumulativement.

3. Conclusion

Pharming a revu et évalué toutes les informations de sécurité sur le léniolisib reçues au cours de la période de ce rapport du 23 décembre 2023 au 22 juin 2024.

Sur la base de l'évaluation des données, il est conclu que:

- Aucun rapport d'effets indésirables n'a été reçu de l'AAC au cours de la période de ce rapport.
- Les données de sécurité restent conformes à l'expérience antérieure des essais cliniques et à l'information de sécurité de référence (ISR).
- Aucune modification de l'ISR n'est donc jugée nécessaire à l'heure actuelle.
- Aucune modification du protocole n'est jugée nécessaire.
- Le rapport bénéfice-risque du léniolisib demeure inchangé dans les conditions d'utilisations décrites dans le PUT-SP.