|  |
| --- |
| Modèle de Protocole d’Utilisation Thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP)Accès compassionnel – Fosmanogepix |

|  |
| --- |
| **La demande**  |
| Spécialité | Fosmanogepix 20 mg/mL, concentré pour solution pour perfusionFosmanogepix 400 mg, comprimé  |
| DCI | Fosmanogepix |
| Critères d’octroi  | Absence de critère d’octroi. La demande doit être justifiée. |
| Périodicité des rapports de synthèse | Annuelle |
| **Renseignements administratifs** |
| Contact laboratoire titulaire ou CRO | WE Pharma Inc. (opérant sous le nom de WEP Clinical) [aac-fmgx@wepclinical.com] pour le compte de Basilea Pharmaceutica International Ltd, Allschwil |
| Contact à l’ANSM  | **Contact-LABO-AAC@ansm.sante.fr** |
| CRPV en charge du suivi du médicament en AAC, le cas échéant  | CRPV de Besançon pharmacovigilance@chu-besancon.fr |
| Contact pour la protection des données du laboratoire | Kiran Tiwana dataprivacy@wepclinical.com |

Dernière date de mise à jour : 18/04/2025
**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 3](#_Toc98859298)

[Le médicament 3](#_Toc98859299)

[Calendrier des visites 3](#_Toc98859300)

[Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients 3](#_Toc98859301)

[Annexes 3](#_Toc98859302)

[Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données 3](#_Toc98859303)

[Annexe 2. Rôle des différents acteurs 3](#_Toc98859304)

[Annexe 3. Documents d’information à destination des patients avant toute prescription d’un médicament en autorisation d’accès compassionnel : Nom du médicament 3](#_Toc98859305)

[Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d’être liés au traitement et de situations particulières 3](#_Toc98859306)

# 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](#Annexe_3)) ;
* 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](#Annexe_1)). 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 données[[1]](#footnote-2).

# Le médicament

Spécialité(s) concernée(s)

Fosmanogepix 20 mg/mL, concentré pour solution pour perfusion

Fosmanogepix 400 mg, comprimé

Caractéristiques du médicament

Fosmanogepix est un médicament antifongique en cours de développement dans le traitement des infections fongiques invasives. Il possède une activité in-vitro sur diverses espèces de *Candida* et de champignons filamenteux.

Fosmanogepix est la pro-drug rapidement métabolisée par les phosphatases sériques en la fraction active du médicament, le manogepix. Manogepix inhibe l’enzyme protéique de transfert dans la paroi cellulaire 1 (Gwt1) ancrée dans le glycosylphosphatidylinositol (GPI) fongique, une inositol acylase qui catalyse une étape précoce de la voie de biosynthèse de l’ancrage GPI.

Données cliniques disponibles :

L’efficacité et la sécurité de Fosmanogepix ont été évaluées au cours de 2 études de phase II réalisées en ouvert et sans bras comparateur dans les candidémies/ candidoses invasives chez un total de 30 patients:

* + - *Pappas PG, et al.. J Antimicrob Chemother. 2023;78:2471-2480,*
		- *Vazquez JA, et al.. Antimicrob Agents Chemother. 2023;67:e0141922,*

et au cours d’une étude de phase II en ouvert et sans bras comparateur dans l’aspergillose invasive et autres infections rares à champignons filamenteux chez 20 patients. Cette étude n’a pas fait l’objet de publication dans la littérature scientifique.(*ClinicalTrials.gov ID : NCT04240886)*

Essais cliniques en cours et prévues :

Une étude clinique de phase III avec le fosmanogepix est actuellement en cours dans le traitement de la candidémie/candidose invasive. ClinicalTrials.gov ID : NCT05421858. Une étude de phase III dans l’aspergillose invasive et autres infections rares à champignons filamenteux devrait débuter en 2025.

Critères d’octroi

Absence de critère d’octroi. La demande doit être justifiée.

Posologie

Jour 1 – Fosmanogepix 20 mg/mL, concentré pour solution pour perfusion **:** 1000 mg toutes les 12 heures

Jour 2 et suivants

Fosmanogepix 400 mg, comprimé : 2 comprimés par jour de préférence au cours du repas.

ou

Fosmanogepix 20 mg/mL, concentré pour solution pour perfusion  : 600 mg toutes les 24 heures

Durée de traitement : la durée la plus longue étudiée dans les essais cliniques avec ce médicament était de 42 jours. Au-delà de cette durée, la sécurité du traitement n’est pas connue.

**Contre-indication**

Hypersensibilité au fosmanogepix ou à l’un des excipients de ce médicament.

**Mise en gardes et précautions d’emploi**

 Une toxicité testiculaire partiellement réversible a été démontrée chez l'animal. Les hommes traités doivent être informés du risque d’altération de la fertilité.

Une toxicité neurologique a également été mise en évidence chez l’animal.

Des cas d’augmentation de transaminases ayant été observés au cours des essais cliniques, une surveillance de la fonction hépatique est recommandée pendant le traitement.

**Grossesse-Allaitement**

Fosmanogepix étant potentiellement tératogène, les femmes en âge de procréer doivent réaliser un test de grossesse avant la mise sous traitement et utiliser une méthode efficace de contraception pendant le traitement et jusqu’à 28 jours après l’arrêt du traitement.

Les femmes ne doivent pas allaiter pendant le traitement.

**Effets indésirables**

Les effets indésirables observés sont les suivants :

>10% des sujets/patients traités : nausée, vomissements, céphalées

2 à 10% des sujets/patients traités : malaise, fatigue, diarrhée, somnolence, réaction au point d’injection

<2% des sujets/patients traités : douleurs abdominales, diminution de l’appétit, bouffées de chaleur, gêne thoracique, douleur thoracique, dysgueusie, augmentation de l'alanine aminotransférase, délire.

Un patient traité par fosmanogepix a présenté de graves effets secondaires du système nerveux liés au fosmanogepix avec des troubles mentaux, des troubles moteurs et des convulsions.

Conditions de prescription et de délivrance

Fosmanogepix 20 mg/mL, concentré pour solution pour perfusion : réservé à l’usage hospitalier

En complément des conditions de prescription et de délivrance, se rapporter à [l’annexe 2](#Annexe_2) pour plus d’informations sur les mentions obligatoires à porter sur l’ordonnance.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de ce médicament, veuillez-vous référer au manuel de pharmacie et à la brochure de l'investigateur disponible auprès du laboratoire Basilea.

# Calendrier des visites

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  | Demande d’autorisation auprès de l’ANSM | Première administration(Fiche d’initiation) | Suivi du traitement et/ou arrêt(Fiches de suivi) |
| Remise de la note d’information destinée au patient par le médecin prescripteur | X |  |  |
| Collecte de données sur les caractéristiques des patients  |
| Antécédents de traitement et histoire de la maladie | X | X |  |
| Résultats de l’antifongigramme  | X |  |  |
| Bilan biologique (notamment fonction hépatique et rénale) | X | X | X |
| Test de grossesse  | X | X | X |
| Collecte de données sur les conditions d’utilisation |
| Posologie et traitements associés | X | X | X |
| Interruption de traitement |  |  | X |
| Collecte de données d’efficacité (à adapter selon le médicament) |
| Données de survie, le cas échéant |  |  | X |
| Critère d’efficacité (Évaluation de la réponse globale par le médecin en charge du suivi) |  | X | X |
| Collecte de données de tolérance/situations particulières |
| Suivi des effets indésirables/situation particulières |  | X | X |

# Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients



# Annexes

1. Fiches de suivi médical et de collecte de données
* [Fiche d’initiation de traitement](#Demande_accès)
* [Fiches de suivi de traitement](#Suivi_traitement_2)
* [Fiche d’arrêt définitif de traitement](#Arret_traitement)
* [Fiche de déclaration d’effet indésirable](#EI)
* [Fiche de signalement de situations particulières](#Situations_particulières)

RedCap Cloud, une plateforme internet EDC, sera utilisée pour collecter les données liées à cet accès compassionne

**En cas d’impossibilité de connexion à cette plateforme**, les fiches peuvent être transmises par un autre mode de transmission (aac\_fmgx@wepclinical.com).

|  |
| --- |
| Fiche d’initiation de traitementÀ remplir par le prescripteur/pharmacien |

Fiche à transmettre avec l’AAC au laboratoire aac-fmgx@wepclinical.com

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

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.

Date de naissance\* : \_ \_/\_ \_ (MM/AAAA) Poids (kg) : | \_ | \_ | \_ | Taille (cm) : | \_ | \_ | \_ |

\*Dans un contexte pédiatrique, mentionner la date de naissance complète (JJ/MM/AAAA), le poids (décimale) et la taille exacts si pertinents.

Sexe : M [ ]  F [ ]

\*Dans un contexte pédiatrique, mentionner la date de naissance complète (JJ/MM/AAAA), le poids (décimale) et la taille exacts si pertinents.

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.

Étude FMGX-CS-301 (Phase 3 : candidémie, candidose invasive) :

* Numéro EU CT 2022-500455-23-00 enregistré dans CTIS : [https://euclinicaltrials.eu/search-for-clinical-trials/?lang=en&EUCT=2022-500455-23-00](https://nam02.safelinks.protection.outlook.com/?url=https%3A%2F%2Feuclinicaltrials.eu%2Fsearch-for-clinical-trials%2F%3Flang%3Den%26EUCT%3D2022-500455-23-00&data=05%7C02%7Clchristiejones%40wepclinical.com%7C89dac8c57730450d293508dd39fba689%7C9aa8310dede44651b8aed260f231bae4%7C0%7C0%7C638730475203975162%7CUnknown%7CTWFpbGZsb3d8eyJFbXB0eU1hcGkiOnRydWUsIlYiOiIwLjAuMDAwMCIsIlAiOiJXaW4zMiIsIkFOIjoiTWFpbCIsIldUIjoyfQ%3D%3D%7C0%7C%7C%7C&sdata=An5q4X3zCL4%2BtCi1MQf%2B8siZfS2n%2BQQ8KPO%2B%2B3Govsk%3D&reserved=0)
* CT.gov : NCT05421858 : [Étude de phase 3 sur l’efficacité et l’innocuité du Fosmanogepix pour le traitement des participants adultes atteints de candidémie et/ou de candidose invasive. | ClinicalTrials.gov](https://nam02.safelinks.protection.outlook.com/?url=https%3A%2F%2Fwww.clinicaltrials.gov%2Fstudy%2FNCT05421858%3Fintr%3Dfosmanogepix%26rank%3D3&data=05%7C02%7Clchristiejones%40wepclinical.com%7C89dac8c57730450d293508dd39fba689%7C9aa8310dede44651b8aed260f231bae4%7C0%7C0%7C638730475203997674%7CUnknown%7CTWFpbGZsb3d8eyJFbXB0eU1hcGkiOnRydWUsIlYiOiIwLjAuMDAwMCIsIlAiOiJXaW4zMiIsIkFOIjoiTWFpbCIsIldUIjoyfQ%3D%3D%7C0%7C%7C%7C&sdata=qoo%2F6rBDuT3X4AhjurZT1Tx6IFMZ3%2F1YgWmHBVT5QcM%3D&reserved=0)

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

|  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- |
|

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **Le patient ≥18ans et poids de ≥37 kg :** | ☐ Oui | ☐ Non |
| **Infection fongique invasive (IFI)**  **Facteur de risque :**  | ☐ Neutropénie prolongée ☐ Immunosuppression☐ Autre (préciser) |
| **Infection fongique invasive**  | ☐ A*spergillosis*☐ *Candidiasis*☐ Autre (préciser) ---------------------------------------------------------------------------- |
| **Site(s) d’infection** | ☐ Poumon ☐ Sinus ☐ Système nerveux central☐ Peau☐ Articulation☐ Autre (préciser)------------------------------------------------------------------------ |
| **Base du diagnostic de l’IFI** | ☐ AntifongigrammePréciser les résistances : ------------------------------------------------------------------------☐ Histopathologie☐ Imagerie ☐ Autre (préciser) |

 |

Traitements antérieurs

|  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- |
|

|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
| **Traitement(s) antifongique(s) antérieur(s)** | *Médicament antifongique + dose* | *Date de début* | *Date d’arrêt / en cours* | *Raison de l’arrêt* |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |

 |

Comorbidités

|  |  |
| --- | --- |
| **Pathologies sous-jacentes :** | ☐ Leucémie aiguë ☐ Greffe allogénique de cellules hématopoïétiques (post-greffe)☐ Transplantation d’organe solide ☐ Autre |

## Biologie

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
| ***Fournir les derniers résultats d’examens***  | **Examens** | **Résultats (précisez l’unité)** | **Date**  |
| BUN |  |  |
| Créatinine |  |  |
| ALT/SGPT |  |  |
| AST/SGOT |  |  |
| Phosphatase alcaline |  |  |
| Bilirubine totale |  |  |
| Globules blancs totaux |  |  |
| Polynucléaires neutrophiles  |  |  |
| Hémoglobine |  |  |
| Hématocrite |  |  |
| Plaquettes  |  |  |
| Protéine C-réactive |  |  |
| Bêta-D-glucane sérique |  |  |
| Galactomannane sérique |  |  |

## Traitement par Fosmanogepix

Posologie et durée envisagée

La posologie utilisée dans les essais cliniques est la suivante

|  |  |
| --- | --- |
| **Journée 1**  | 1000 mg IV 2 fois à 12 heures d’intervalle |
| **À partir du jour 2**  | 600 mg IV toutes les 24 heuresOU800 mg (deux comprimés de 400 mg) par jour en 1 à 2 prises suivant la tolérance digestive |
| **Association envisagée** |  |

La durée du traitement est déterminée par le médecin en charge du suivi du patient en fonction de la tolérance et de l’efficacité du traitement. La durée la plus longue étudiée dans les essais cliniques avec ce médicament était de 42 jours. Au-delà de cette durée, la sécurité d’emploi n’est pas connue.

Traitements concomitants et/ou soins de support (optionnel)

|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
| **Traitement(s) en cours**  | *Nom de médicament + dose* | *Date de début* | *Date d’arrêt / en cours* | *Raison de l’arrêt* |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |

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  insérer lien vers la NIP ou le RCP.

## Engagement du prescripteur

**J’ai remis les documents d’information au patient (disponible en** [annexe](#Annexe_4) 3**) et certifie que le patient a été informé de la collecte de ses données personnelles :** [ ]  Oui [ ]  Non

Je m’engage à réaliser un test de grossesse et à mettre en place une méthode de contraception efficace chez les femmes en âge de procréer avant la mise sous traitement.

|  |  |
| --- | --- |
| **Médecin prescripteur** Nom/Prénom : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Spécialité : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_No  RPPS : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Hôpital :[ ]  CHU [ ]  CHG [ ]  CLCC [ ]  centre privéNuméro FINESS : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Tel: Numéro de téléphone. E-mail: xxx@domaine.comDate : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_ Cachet et signature du médecin : | **Pharmacien**Nom/Prénom : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_No  RPPS : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Hôpital :[ ]  CHU [ ]  CHG [ ]  CLCC [ ]  centre privéNuméro FINESS : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Tel: Numéro de téléphone.E-mail: xxx@domaine.comDate : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_ Cachet et signature du pharmacien : |

En tant que professionnel de santé impliqué dans le programme FMGX AAC, vos informations professionnelles seront traitées par WE Pharma Inc. (WEP Clinical) pour le compte de Basilea Pharmaceutica International Ltd, Allschwil , qui agit en tant que responsable de la gestion du programme conformément à la législation relative aux données personnelles.

Vous pouvez accéder à vos données ou demander leur rectification à tout moment. Vous pouvez également demander la limitation du traitement. Vous ne pouvez cependant pas refuser le traitement de vos données, demander leur suppression ou leur portabilité

|  |
| --- |
| **Fiche de suivi de traitement****(Visites après la première administration)**À remplir par le prescripteur/pharmacien |

Fiche à transmettre au laboratoire aac-fmgx@wepclinical.com

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

Visite de suivi no à compléter :

☐ Jour 1

☐ Jour 7

☐ Jour 14

☐ Jour 28

☐ Une visite mensuelle

## 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 d’initiation de traitement.

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

Si oui, préciser.

Traitements concomitants et/ou soins de support

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

|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
| **Traitement(s) en cours**  | *Nom de médicament + dose* | *Date de début* | *Date d’arrêt / en cours* | *Raison de l’arrêt* |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |

.

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

Si oui, préciser.

|  |
| --- |
| Changement dans la thérapie antifongique ; Modification de la thérapie anticancéreuse ; Modification du traitement immunosuppresseur ; Autre).  |

Interruption/arrêt temporaire de traitement [ ]  **Oui** [ ]  **Non**

Si oui, préciser les raisons.

|  |
| --- |
| Manque d'efficacitéRetrait du consentementEffet indésirableGrossesseDécision de l'investigateurPerte de suiviDécèsAutre.Si un arrêt définitif du traitement a eu lieu, remplir la fiche d’arrêt de traitement Si l’arrêt est dû à un effet indésirable, remplir la fiche de déclaration des effets indésirables. |

## **Évaluation de l’effet du traitement par Fosmanogepix**

Variable d’efficacité 1 (à préciser)

Évaluation de la réponse globale par l’investigateur

Évaluation de la tolérance du traitement par Fosmanogepix

Bilan biologique

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
| ***Fournir les derniers résultats ’examens***  | **Examens** | **Résultats (précisez l’unité)** | **Date**  |
| Créatinine |  |  |
| ALT/SGPT |  |  |
| AST/SGOT |  |  |
| Phosphatase alcaline |  |  |
| Bilirubine totale |  |  |
| ***Autres paramètres modifiés*** |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |

Effet(s) indésirable(s)/Situation(s) particulière(

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 [ ]  Oui [ ]  Non

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

Vérification du suivi de la contraception, le cas échéant.

|  |  |
| --- | --- |
| **Médecin prescripteur** Nom/Prénom : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Spécialité : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_No  RPPS : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Hôpital :[ ]  CHU [ ]  CHG [ ]  CLCC [ ]  centre privéNo FINESS : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Tél : Numéro de téléphone.E-mail : xxx@domaine.comDate : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_Cachet et signature du médecin : | **Pharmacien**Nom/Prénom \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_: No  RPPS : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_ Hôpital :[ ]  CHU [ ]  CHG [ ]  CLCC [ ]  centre privéNo FINESS : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Tél : Numéro de téléphone.E-mail : xxx@domaine.comDate : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_Cachet et signature du pharmacien : |

|  |
| --- |
| **Fiche d’arrêt définitif de traitement**À remplir par le prescripteur/pharmacien |

Fiche à transmettre au laboratoire aac-fmgx@wepclinical.com

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

## Identification du patient

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 :

 \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

[ ]  Autre, préciser : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

|  |  |
| --- | --- |
| **Médecin prescripteur** Nom/Prénom : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Spécialité : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_No RPPS : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Hôpital : [ ]  CHU [ ]  CHG [ ]  CLCC [ ]  centre privéNo FINESS : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Tél : Numéro de téléphone.E-mail: xxx@domaine.comDate : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_ Cachet et signature du médecin : | **Pharmacien**Nom/Prénom : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_No RPPS : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Hôpital : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_[ ]  CHU [ ]  CHG [ ]  CLCC [ ]  centre privéNo FINESS : \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_Tél : Numéro de téléphone.E-mail: xxx@domaine.comDate : \_ \_/\_ \_/\_ \_ \_ \_ Cachet et signature du pharmacien : |

|  |
| --- |
| Fiche de déclaration des effets indésirables |

Fiche à transmettre au laboratoire **basilea@primevigilance.com**



|  |  |
| --- | --- |
| **Identification du patient :** | **Âge du patient (années)** |
| **Antécédents médicaux pertinents :** |
| **Médicaments concomitants :**  |
| **Nom du médicament**  | **Date de début/d’arrêt** | **Indication** |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
| **Fosmanogepix IV :** |
| **Posologie et fréquence** |  |  |
| **Date de début/d’arrêt** |  |  |  |
| **Posologie et fréquence** |  |  |
| **Date de début/d’arrêt** |  |  |  |
| **Fosmanogepix par voie orale (comprimés)** |
| **Posologie et fréquence** |  |  |
| **Date de début/d’arrêt** |  |  |  |
| **Posologie et fréquence** |  |  |
| **Date de début/d’arrêt** |  |  |  |
| **Événement indésirable** |
| **Terme de l’événement indésirable** |  |
| **Date de début de l’événement :** |  |
| **Date de fin de l’événement :** |  |
| **Résultat :** | **Veuillez cocher l’une des options suivantes** |
| Rétabli ou résolu | ☐  |
| Non rétabli ou non résolu | ☐ |
| Rétabli ou résolu avec séquelles | ☐ |
| En cours de rétablissement ou de résolution | ☐ |
| Inconnue | ☐ |
| Létal | ☐ |
| **Décrire les séquelles :**Le cas échéant |  |
| **Gravité :** | **Veuillez cocher l’une des options suivantes** |
| Légère / Grade 1 du CTCAE | ☐ |
| Modéré / Grade 2 du CTCAE | ☐ |
| Grave / Grade 3 du CTCAE | ☐ |
| Mettant en jeu le pronostic vital / Grade 4 du CTCAE | ☐ |
| Décès / Grade 5 du CTCAE | ☐ |
| Référence : https://ctep.cancer.gov/protocoldevelopment/electronic\_applications/docs/CTCAE\_v5\_Quick\_Reference\_5x7.pdf |
| **Relation de cause à effet avec le fosmanogepix** | **Veuillez cocher l’une des options suivantes** |
| Lié | ☐ |
| Non lié | ☐ |
| **L’événement indésirable est-il grave ?**  | **Veuillez cocher l’une des options suivantes** |
| Oui | ☐ |
| Non | ☐ |
| **Pour les événements indésirables graves – Veuillez cocher au moins l’une des options suivantes concernant les critères de gravité :** |
| **Hospitalisation** | ☐ |
| Date d’admission à l’hôpital : |  |
| Date de sortie de l’hôpital : |  |
| **Décès** | ☐ |
| Date du décès |  |
| Cause du décès  |  |
| Une autopsie a-t-elle été pratiquée ? |  |
| **A mis la vie en danger** | ☐ |
| **Handicap important :** | ☐ |
| **Anomalie congénitale ou malformation congénitale :** | ☐ |
| **Autre événement médical important :** | ☐ |
| **Mesure prise avec le fosmanogepix** | **Veuillez cocher l’une des options suivantes** |  |
| Dose inchangée | ☐ |
| Dose divisée en deux prises par jour | ☐ |
| Dose augmentée | ☐ |
| Dose réduite | ☐ |
| Interruption du traitement | ☐ |
| Dose interrompue et réduite | ☐ |
| Médicament retiré | ☐ |
| Sans objet | ☐ |
| Inconnue | ☐ |

|  |
| --- |
| **Récit :**  |
| **Nom du médecin traitant** |  |
| **Nom de l’établissement** |  |
| **Numéro de téléphone du médecin traitant :** |  |
| **E-mail du médecin traitant** |  |
| **Titre et adresse du médecin traitant** |  |
| **Signature et date :** |  |
|

|  |  |
| --- | --- |
| **Veuillez remplir ce formulaire et le renvoyer à :****Nom :    PrimeVigilance****US Fax :  US +1-866-902-7489****EU eFax : + 44 8000 669 192****Email :** **basilea@primevigilance.com** |  |

 |

|  |
| --- |
| Fiche de signalement de situations particulières |

Fiche à transmettre au laboratoire **basilea@primevigilance.com**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| Fosmanogepix**Formulaire de déclaration de grossesse** | A blue rectangle with black text  AI-generated content may be incorrect. | Version 1.006 mars 2024 |

**Identification du patient :**

|  |
| --- |
| **Veuillez remplir ce formulaire et le renvoyer à :****Nom : PrimeVigilance****Fax : UE +44-8000-669-192 / USA +1-866-902-7489****Email : basilea@primevigilance.com** |
|

Toutes les informations et données personnelles que vous partagez avec nous seront protégées et gardées confidentielles conformément aux politiques de l’entreprise et aux réglementations locales. Les informations que vous fournissez seront utilisées à des fins de surveillance de l’innocuité des médicaments et pourront être partagées sous une forme anonymisée avec les autorités sanitaires ou les tiers concernés.

**Rapport initial** ☐ **Suivi** ☐

|  |
| --- |
| **PARTIE A - À compléter lorsque la grossesse est confirmée** |

1. **Données démographiques des parents**

|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
| **Mère** | **Année de naissance** | **Âge** | **Taille (cm)** | **Poids (kg)** |
|       |       |       |       |
| **Père** | **Année de naissance** | **Âge**  | **Taille (cm)**  | **Poids (kg)** |
|       |       |       |       |

1. **Informations sur le médicament étudié**

|  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- |
| **Nom du médicament Basilea** | **Formulation(IV ou orale)** | **Dose(mg)** | **Fréquence** | **Date de début** | **Date de fin** |
| **Fosmanogepix** |       |       |       |       |       |
| **Fosmanogepix** |       |       |       |       |       |
| **Fosmanogepix** |       |       |       |       |       |
| **Fosmanogepix** |       |       |       |       |       |

 **Traitements concomitants pertinents de la mère/du père** - Préciser les médicaments prescrits, les produits en vente libre, les suppléments de grossesse tels que l’acide folique, les multivitamines, etc.

☐ **Aucun**

|  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- |
| **Nom commercial** (nom générique si le nom commercial n’est pasconnu) | **Numéro de lot** | **Dose / Fréquence/ Formulaire de posologie/ Voie d’administration** | **Affection pour laquelle le médicament a été prescrit** | **Dates de traitement** | **Mère / Père** |
| Date de début | En cours | Date de fin |
|       |       |       |       |       | [ ]  |       | M [ ]  F [ ]  |
|       |       |       |       |       | [ ]  |       | M [ ]  F [ ]  |
|       |       |       |       |       | [ ]  |       | M [ ]  F [ ]  |
|       |       |       |       |       | [ ]  |       | M [ ]  F [ ]  |
|       |       |       |       |       | [ ]  |       | M [ ]  F [ ]  |
|       |       |       |       |       | [ ]  |       | M [ ]  F [ ]  |

1. **Antécédents médicaux pertinents et conditions actuelles de la mère/du père** - Continuer au verso si nécessaire

|  |
| --- |
| **Antécédents médicaux, conditions actuelles****Y compris hypertension, troubles épileptiques, diabète, troubles psychiatriques, tumeurs malignes, infection** |
| **Mère** | **Père** (en cas d’exposition via le sperme) |
| **Antécédents médicaux présents : ☐ Non ☐ Inconnu****☐ Oui, si oui, précisez ci-dessous :** | **Antécédents médicaux présents** : [ ]  Non [ ]  Inconnu[ ]  Oui, si oui, précisez ci-dessous : |
| **Antécédents médicaux (plusieurs détails sur les antécédents + dates de début)** | **Antécédents médicaux** (plusieurs détails sur les antécédents + dates de début) |

|  |  |
| --- | --- |
| **État de santé actuel présent : ☐ Non ☐ Inconnu****☐ Oui, si oui, précisez ci-dessous : (Plusieurs détails et dates de début) :** | **État de santé actuel présent : ☐ Non ☐ Inconnu****☐ Oui, si oui, précisez ci-dessous : (Plusieurs détails et dates de début)** |
|  |  |
| **Antécédents familiaux :** | ☐ Aucun | ☐ Inconnue | **Antécédents familiaux** : | ☐ Aucun | ☐Inconnu |
| Anomalie congénitale : | ☐ Non | ☐ Inconnue | ☐ Oui\* | Anomalie congénitale : | ☐ Non | ☐ Inconnue | ☐ Oui\* |
| Maladie mentale : | ☐ Non | ☐ Inconnue | ☐ Oui\* | Maladie mentale : | ☐ Non | ☐ Inconnue | ☐ Oui\* |
| Autres antécédents familiaux : | ☐ Non | ☐ Inconnue | ☐ Oui\* | Autres antécédents familiaux : | ☐ Non | ☐ Inconnue | ☐ Oui\* |
| \*Veuillez préciser : | \*Veuillez préciser : |

1. **Antécédents obstétricaux/de grossesse pertinents** - Continuer au verso si nécessaire

|  |
| --- |
| **[ ]  Aucun [ ]  Inconnu** |
| **Contraception**Énumérez les procédés primaires (très efficaces) et secondaires (par exemple, barrière) | 1 :      2 :       | [ ]  Aucun[ ]  Inconnue |  |
| **Nombre de grossesses :** [ ]  Inconnue. nombre total de grossesses confirmées) :      nombre total de grossesses > 20 semaines) :      Nombre de grossesses multiples :  |
| **Issue des grossesses et détails :**[ ]  Naissance vivante : [ ]  Avortement interventionnel ou non interventionnel (spontané, fausse couche) :  [ ]  Interruption volontaire de grossesse : [ ]  Grossesse par le siège :  | [ ]  Grossesse extra-utérine : [ ]  Mortinatalité : [ ]  Autre :  |
| **Traitement de l’infertilité** : **[ ]**  Non **[ ]**  Oui, préciser : **[ ]** *Fertilisation In vitro***[ ]**  Autre :      |
| **Complications précédentes :** [ ]  Non [ ]  Inconnu [ ]  Oui, préciser :  |
| **Anomalies néonatales antérieures :** [ ]  Non [ ]  Oui, préciser :  |
| **Facteurs de risque :** [ ]  Aucun [ ]  InconnuTabagisme : [ ]  Oui [ ]  Non [ ]  Inconnu [ ] Cigarettes [ ] Autre, préciser : Paquet par jour :      A arrêté avant / pendant la grossesse : [ ] Non [ ]  Oui - Date d’arrêt     Alcool : [ ]  Oui [ ]  Non [ ]  Inconnu [ ]  Bière [ ]  Vin [ ] Spiritueux [ ]  Autre, préciser :       Quantité par jour :      A arrêté avant / pendant la grossesse : [ ]  Non [ ]  Oui - Date d’arrêt      Autres articles de consommation/usage récréatif de drogues : [ ]  Oui [ ]  Non [ ]  Inconnu Préciser :       Quantité par jour :      A arrêté avant / pendant la grossesse : [ ]  Non [ ]  Oui - Date d’arrêt      Autres facteurs de risque / Informations complémentaires / Résultats de laboratoire (y compris par exemple tests sérologiques, rubéole, toxoplasmose) :      |

1. **Informations sur la grossesse / État** - Continuer au verso si nécessaire

|  |
| --- |
| Veuillez fournir toute information sur l’état général de la grossesse, ainsi que sur les événements indésirables survenus pendant la grossesse, le cas échéant.[ ]  Aucun événement indésirable connu |
| Date des dernières règles :       [ ]  EstiméeDate estimée de conception :      Date du premier examen d’échographie obstétricale :      Durée estimée de la grossesse :       semainesNombre de fœtus :      Date estimée d’accouchement :       Basée sur : [ ]  Ultrasons ou [ ]  Dernières règlesAutres conclusions pertinentes :       |
| **Date du statut :** | [ ]  En cours[ ]  Perdu de vue - Motif :       |

**Si l’accouchement a déjà eu lieu, veuillez remplir la PARTIE B et la PARTIE C.**

**Si l’accouchement n'a pas encore eu lieu, veuillez remplir la PARTIE C.**

|  |
| --- |
| **PARTIE B - A compléter lorsque l’accouchement a déjà eu lieu** |

|  |  |
| --- | --- |
| [ ]  Perdu de vue  | [ ]  Inconnue |

1. **Accouchement** - Continuer au verso si nécessaire

|  |
| --- |
| Fin de grossesse : Date :       Durée de gestation : |\_\_|\_\_| Semaine |\_\_| JoursRésultat de la grossesse : [ ]  Naissance vivante → [ ]  Naissance par voie vaginale→ [ ]  Aspiration - Motif :      → [ ]  Induite - Motif :      → [ ]  Forceps - Motif :      → [ ]  Césarienne - Motif :       Motif :      [ ]  [ ]  Avortement interventionnel ou non interventionnel (spontané, fausse couche) :  Motif :      [ ]  Avortement provoqué Motif :      [ ]  Interruption volontaire de grossesse Motif :      [ ]  Mortinatalité Motif :      Placenta normal : [ ]  Oui [ ]  Non, préciser :      Soins post-nataux requis : [ ]  Non [ ]  Oui, préciser :      Allaitement : [ ]  Oui [ ]  Non, préciser :       |

1. **Détails supplémentaires sur l’événement indésirable pendant la grossesse / détails sur l’accouchement**

|  |
| --- |
| **[ ]  Aucun** |

1. **Résultat fœtal / Informations sur le nourrisson** - Continuer au verso si nécessaire notamment en cas de naissances multiples

|  |
| --- |
| En cas de naissances multiples, nombre de nouveaux-nés :       [ ]  Sans objet |
| **Sexe** : [ ]  Mâle [ ]  Femelle [ ]  Inconnu | Scores **Apgar**      à la naissance      à 5 minutes      à 10 minutes | **Longueur**      cm**Poids**       kg**Périmètre crânien**       cm |
| [ ]  Nouveau-né normal[ ]  Anomalie congénitale - Préciser :      [ ]  Décès - Date :       Motif :       Résultats autopsie disponibles : [ ]  Non [ ]  Oui- Préciser :      Besoin de réanimation : [ ]  Oui [ ]  NonAdmission à l’unité des soins intensifs : [ ]  Oui [ ]  Non (Si oui, veuillez compléter l’événement indésirable ci-dessous) |

1. **Événements indésirables du nouveau-né**

À compléter en cas de mort fœtale tardive, de mortinatalité, d’avortement spontané, d’interruption volontaire de grossesse

|  |
| --- |
| Événement indésirable/complications [ ]  Non [ ]  Oui (Si oui, compléter le tableau ci-dessous) |
| Événement indésirable | Critères de gravité1 | Résultat2 | Gravité3 | Relation avec le médicament à l’étude | Date de début | En cours | Date de fin |
|  |  |  |  |  |  |  |  |
|  |  |  |  |  |  |  |  |
|  |  |  |  |  |  |  |  |
|  |  |  |  |  |  |  |  |
| **Critères de gravité1**1 Décès2 A mis la vie en danger3 Handicap/Invalidité permanente4 Hospitalisation/hospitalisation prolongée5 Anomalie congénitale6 Événement médical important7 Sans gravité | **Résultat2**1 Rétabli2 En cours de rétablissement3 Non rétabli4 Rétabli w/ Séquelles5 Décès6 Inconnu | **Gravité3**1 Moyenne2 Modérée3 Grave4 A mis la vie en danger5 Létal | **Relation4** 1 Lié2 Non lié |

**Détails supplémentaires sur l’événement indésirable du néonate**

|  |
| --- |
| **[ ]  Aucun** |

|  |
| --- |
| **PARTIE C - À remplir par le médecin pour chaque rapport envoyé** |

1. **Informations sur le déclarant** - Au moins une information est requise

|  |  |
| --- | --- |
| **Nom** |  |
| **Site no** |  |
| **Adresse** |       | **Numéro de téléphone de contact** |  |
| **Date** |       | **Signature** |

1. 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](#Annexe_4) 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](#Annexe_5) 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](#Annexe_5) 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)](#Annexe_4) ;
* 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 (*à supprimer si pas de CRPV)*

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.

1. Documents d’information à destination des patients avant toute prescription d’un médicament en autorisation d’accès compassionnel : Fosmanogepix

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](#Note_traitement_données).

|  |
| --- |
| **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 Fosmanogepix 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, 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.

**Conservation et surveillance de la température de la solution pour perfusion de fosmanogepix 20 mg/ml (17,5 ml/flacon)**

Les flacons de solution pour perfusion de BAL2243 (fosmanogepix) doivent être conservés au congélateur à une température comprise entre −25 et −15 °C (−13 et 5 °F), à l’abri de la lumière, dans l’emballage d’origine et amenés à température ambiante avant la préparation de la dose comme suit :

Les flacons de solution pour perfusion de fosmanogepix doivent être complètement décongelés avant la préparation de la dose en utilisant l’un des deux procédés suivants :

1. Les flacons de solution pour perfusion de Fosmanogepix peuvent être décongelés dans un bain d’eau à température contrôlée à 40 °C pendant environ 10 minutes. Si un bain-marie à température contrôlée n’est pas disponible, un récipient approprié rempli d’eau tiède peut être utilisé à la place, pour accélérer le temps de décongélation. Un thermomètre doit être inclus et la température de l’eau ne doit pas dépasser 40 °C.

2. Alternativement, les flacons peuvent être décongelés à température ambiante pendant environ 120 minutes. Les flacons doivent être retirés de tout emballage pendant le processus de décongélation. Minimiser l’exposition des flacons et des solutions de dosage à la lumière ambiante pendant la préparation. Éviter l’exposition à la lumière directe du soleil ou aux rayons ultraviolets.

**Conservation et surveillance de la température des comprimés de fosmanogepix 400 mg**

Les comprimés de fosmanogepix doivent être conservés au réfrigérateur entre 2 et 8 °C (36 et 46 °F).

**Manipulation spéciale du fosmanogepix - Informations sur la manipulation de produits dangereux**

Le fosmanogepix peut impliquer un risque pour le fœtus. Les professionnels de santé doivent prendre des précautions concernant le stockage et la manipulation appropriés et sécurisés, notamment le port de vêtements de protection individuelle, de gants jetables et d’équipements. Les patients doivent se laver les mains avant et immédiatement après avoir manipulé les comprimés de fosmanogepix, et les soignants doivent toujours utiliser des gants lors de leur manipulation.

La préparation, la manipulation et l’élimination en toute sécurité du fosmanogepix ne peuvent être effectuées que par du personnel qualifié qui connaît les procédures qui minimisent l’exposition excessive aux agents dangereux et à l’environnement.

**Conditions de manipulation pour la préparation de la solution IV de fosmanogepix**

* Les préparations doivent être effectuées dans une pharmacie ou un espace équivalent dédié à la préparation des médicaments.
* La préparation doit être effectuée conformément à la procédure du site clinique pour la préparation de la solution pour perfusion IV afin de minimiser la contamination microbienne du produit.
* Il convient de porter des gants, des masques et des blouses pour toutes les procédures.
* Les surfaces doivent être nettoyées à l'aide d'un solvant approprié avant et après chaque préparation.

**Exigences en matière de manipulation pour la distribution de la solution de dosage de fosmanogepix et des comprimés de fosmanogepix pour administration orale:**

* Des gants doivent être portés pour toutes les procédures de manipulation.
* Les surfaces doivent être nettoyées à l'aide d'un solvant approprié avant et après chaque préparation.
* Lorsqu'ils sont manipulés par le patient, les patients doivent se laver les mains avant et immédiatement après avoir manipulé les comprimés de fosmanogepix, et les soignants doivent toujours utiliser des gants lorsqu'ils les manipulent.

# **Effets indésirables**

Tous les médicaments peuvent provoquer des effets secondaires. Vous devez informer votre médecin traitant de tout effet secondaire que vous ressentez. Tous les médicaments présentent un risque de provoquer une réaction allergique qui (si elle n’est pas traitée rapidement) peut mettre la vie en danger.

Fosmanogepix est un médicament en cours de développement pour le traitement des infections fongiques invasives.

Les effets secondaires du fosmanogepix signalés chez plus de 10 % des participants à l’étude comprenaient :

• nausées, maux de tête, vomissements.

Les effets secondaires du fosmanogepix signalés chez plus de ou égal à 2 % à 10 % des participants à l’étude comprenaient :

• Vertiges, fatigue, diarrhée, sensation de somnolence, réactions au point d’injection (douleur, irritation).

Les effets secondaires signalés chez moins de 2 % des participants à l’étude comprenaient :

Gêne gastrique, diminution de l’appétit, inconfort au niveau du thorax, douleur thoracique, changement du goût des aliments, augmentation des valeurs des tests hépatiques, délire, inconfort au niveau de la tête et bouffées de chaleur.

Un patient traité par fosmanogepix a présenté de graves effets secondaires du système nerveux liés au fosmanogepix avec des troubles mentaux, des troubles moteurs et des convulsions.

Sur la base d’études animales, il existe un risque d’altération de la fertilité chez l’homme..

Fosmanogepix est un médicament expérimental dont les informations de sécurité sont limitées au-delà de six semaines d'administration. L'utilisation de Fosmanogepix peut entraîner un risque d'effets indésirables imprévisibles et de gravité inconnue, y compris un risque d'effet indésirable fatal.

Vous devez informer immédiatement votre médecin traitant ou un professionnel de santé de tous les symptômes ou effets indésirables que vous pourriez avoir au cours du traitement, même si vous ne pensez pas qu’ils soient liés au fosmanogepix.

Le fosmanogepix peut nuire à un enfant à naître lorsqu’il est administré à une femme enceinte. Les femmes qui envisagent une grossesse, qui sont enceintes ne doivent pas recevoir de fosmanogepix. L’allaitement est contre-indiqué pendant le traitement.

Les femmes en âge de procréer doivent accepter d’utiliser une contraception pendant letraitement et pendant au moins 28 jours après la dernière dose de fosmanogepix. Un test de grossesseDoit être réalisé avant la mise sous traitement. Si vous tombez enceinte pendant ou après avoir arrêté le fosmanogepix, prévenez immédiatement votre médecin traitant.

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)](https://signalement.social-sante.gouv.fr/psig_ihm_utilisateurs/index.html#/accueil)

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 ».](#Note_traitement_données)

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.

*L’industriel peut ici préciser des noms d’associations s’il en a connaissance. : Nil*

Ce document a été élaboré par l’Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé, en collaboration avec le laboratoire [Basilea Pharmaceutica International Ltd, Allschwil] et les membres d’associations de patients Nil

**Note d’information destinée au prescripteur**

*Pour plus d’information, veuillez vous référer à la brochure investigateur du fosmanogepix disponible auprès du laboratoire Basilea.*

Fosmanogepix 20 mg/mL, concentré pour solution pour perfusion

Fosmanogepix 400 mg, comprimé

Mécanisme d’action

Fosmanogepix est un médicament antifongique en cours de développement dans le traitement des infections fongiques invasives. Il possède une activité in-vitro sur diverses espèces de *Candida* et de champignons filamenteux.

Fosmanogepix est la pro-drug rapidement métabolisée par les phosphatases sériques en la fraction active du médicament, le manogepix. Manogepix inhibe l’enzyme protéique de transfert dans la paroi cellulaire 1 (Gwt1) ancrée dans le glycosylphosphatidylinositol (GPI) fongique, une inositol acylase qui catalyse une étape précoce de la voie de biosynthèse de l’ancrage GPI.

**Données cliniques**

L’efficacité et la sécurité de Fosmanogepix ont été évaluées au cours de 2 études de phase II réalisées en ouvert et sans bras comparateur dans les candidémies/candidoses invasives chez un total de 30 patients ::

* + - *Pappas PG, et al.. J Antimicrob Chemother. 2023;78:2471-2480,*
		- *Vazquez JA, et al.. Antimicrob Agents Chemother. 2023;67:e0141922,*

et au cours d’une étude de phase II en ouvert et sans bras comparateur dans l’aspergillose invasive et autres infections rares à champignons filamenteux chez 20 patients. Cette étude n’a pas fait l’objet de publication dans la littérature scientifique.(*ClinicalTrials.gov ID : NCT04240886)*

Essais cliniques en cours et prévues :

Une étude clinique de phase III avec le fosmanogepix est actuellement en cours dans le traitement de la candidémie/candidose invasive. ClinicalTrials.gov ID : NCT05421858. Une étude de phase III dans l’aspergillose invasive et autres infections rares à champignons filamenteux devrait débuter en 2025.

Posologie utilisée dans les essais cliniques avec le médicament

Jour 1 – Fosmanogepix 20 mg/mL, concentré pour solution pour perfusion **:** 1000 mg 2 fois à 12 heures d’intervalle

Jour 2 et suivants

Fosmanogepix 400 mg, comprimé : 2 comprimés par jour de préférence au cours du repas.

ou

Fosmanogepix 20 mg/mL, concentré pour solution pour perfusion  : 600 mg toutes les 24 heures.

Durée de traitement : la durée la plus longue étudiée dans les essais cliniques avec ce médicament était de 42 jours. Au-delà de cette durée, la sécurité du traitement n’est pas connue.

**Contre-indication**

Hypersensibilité au fosmanogepix ou à l’un des excipients de ce médicament.

**Mise en gardes et précautions d’emploi**

Une toxicité testiculaire partiellement réversible a été démontrée chez l'animal. Les hommes traités doivent être informés du risque d'altération de la fertilité. Une toxicité neurologique a également été mise en évidence chez l’animal.

Des cas d’augmentation de transaminases ayant été observés au cours des essais cliniques, une surveillance de la fonction hépatique est recommandée pendant le traitement.

**Grossesse-Allaitement**

Fosmanogepix étant potentiellement tératogène, les femmes en âge de procréer doivent réaliser un test de grossesse avant la mise sous traitement et utiliser une méthode efficace de contraception pendant le traitement et jusqu’à 28 jours après l’arrêt du traitement.

Les femmes ne doivent pas allaiter pendant le traitement.

**Effets indésirables**

Les effets indésirables observés sont les suivants :

>10% des sujets/patients traités : nausée, vomissements, céphalées

2 à 10% des sujets/patients traités : malaise, fatigue, diarrhée, somnolence, réaction au point d’injection

<2% des sujets/patients traités : douleurs abdominales, diminution de l’appétit, bouffées de chaleur, gêne thoracique, douleur thoracique, dysgueusie, augmentation de l'alanine aminotransférase, délire.

Un patient traité par fosmanogepix a présenté de graves effets secondaires du système nerveux liés au fosmanogepix avec des troubles mentaux, des troubles moteurs et des convulsions.

|  |
| --- |
| 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 Basilea Pharmaceutica International Ltd, Allschwil. 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, pseudo-anonymisées, 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 : À compléter si votre laboratoire dispose d’un portail de transparence

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:32016R0679&from=FR)) telle que prévue aux articles [L. 5121-12-1 et suivants du Code 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 ;
* les données génétiques ;
* la vie sexuelle ;
* la consommation de tabac, d’alcool et de drogues.

Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités de WE Pharma Inc. (WEP Clinical) pour le compte de Basilea Pharmaceutica International Ltd, Allschwil et ses éventuels sous-traitants (société de recherche sous contrat) sous une forme pseudo-anonymisées. 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 WE Pharma Inc (WEP Clinical)l auquel appartient WEP Group..

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 WE Pharma Inc (WEP Clinical) pour le compte de Basilea Pharmaceutica International Ltd, Allschwil 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

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.

Détailler les mesures de protection

Vous avez le droit de demander une copie de ces garanties au laboratoire pharmaceutique dataprivacy@wepclinical.com.

Combien de temps sont conservées vos données ?

Vos données personnelles sont conservées pendant une durée de deux ans pour une utilisation active. Les données seront ensuite archivées durant six ans. 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 contact pour la protection des données du laboratoire à l’adresse suivante 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.

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.

1. Conformément au II de l’article R. 5121-74-5 du Code de la Santé Publique [↑](#footnote-ref-2)