

# Compte-rendu

## Direction Médicale Médicaments 1

Pôle oncologie – Pôle oncohématologie, hématologie, néphrologie

Personnes en charge : Anissa BENLAZAR - Liora BRUNEL- Chantal TOULOT

## CSP Onco-Hématologie

Séance du 23/05/2025

### Ordre du jour

N°	Points prévus à l'ordre du jour	Pour avis, audition, information, adoption ou discussion
1 -	Approbation du compte-rendu de la séance du 14/02/2025	Pour adoption
2	Point sur les déclarations publiques d'intérêts	Pour information
3	Demande d'autorisation de mise sur le marché européen d'OJEMDA (tovorafenib) en monothérapie pour le traitement des patients pédiatriques âgés de 6 mois et plus atteints d'un gliome de bas grade (GBG) porteur d'une fusion ou d'un réarrangement de <i>BRAF</i> , ou d'une mutation <i>BRAF V600</i> , ayant reçu au moins une ligne de traitement par voie systémique	Pour discussion
4	Point annuel sur les accès précoces en oncologie et onco-hématologie	Pour discussion

## Participants

Nom des participants	Statut (modérateur, membre, évaluateur, ...)	Présent sur site	Présent visio	Absent/excusé
ATTIGNON Valéry	Membre	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
BABAI Samy	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
BAY Jacques-Olivier	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
BERDAÏ Driss	Membre	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
BOUTONNAT Jean	Membre	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
De COUCY Antoine	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
DENANCE Micheline	Représentant association	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
FONTENAY Franck	Représentant association	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
GUILLERM	Membre	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
GUILLOT Bernard	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
KEMPF Emmanuelle	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
LAIGLE-DONAHEY Florence	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
PIERRE Sabrina	Membre	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
PLANTAZ Dominique	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
QUESNEL Bruno	Membre	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
SCHMIDT Aline	Membre	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
TALEB Amina	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
		<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
DUPUY Camille	INCA	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
HOOG LABOURET Natalie	INCA	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
BENLAZHAR Anissa	Cheffe de pôle	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
BRUNEL Liora	Cheffe de pôle	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
DOUTRELUINGNE Astrid	Evaluateur	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
RUSTE Valentine	Conseillère médicale	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
		<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

## Introduction

### Point sur les DPI et les situations de conflits d'intérêts

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

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

## Dossiers

	OJEMDA (tovorafenib)
Numéro/type/nom du dossier	OJEMDA (tovorafenib)
Laboratoire(s)	IPSEN
Direction médicale concernée	DMM1
Expert(s)	

### Présentation du dossier

L'ANSM a présenté le dossier de demande d'AMM conditionnelle pour la spécialité OJEMDA (tovorafenib) dans l'indication « traitement des patients âgés d'au moins 6 mois atteints d'un gliome de bas grade pédiatrique (pLGG) porteurs d'une fusion ou d'un réarrangement de BRAF, ou d'une mutation V600 de BRAF, ayant reçu une ou plusieurs thérapies systémiques antérieures ». Le principe actif d'OJEMDA, le tovorafenib, est un inhibiteur de protéines kinases RAF de type II.

Le dossier de demande d'AMM conditionnelle se base sur les résultats d'une seule cohorte (bras 1) de l'étude de phase II (FIREFLY-1), chez des patients atteints de patients âgés de 6 mois à 2 ans atteints d'un gliome de bas grade pédiatrique (pLGG) porteurs d'une fusion ou d'un réarrangement de BRAF, ou d'une mutation V600 de BRAF, ayant reçu une ou plusieurs thérapies systémiques antérieures. Cette étude est toujours en cours. Une étude confirmatoire de phase 3, FIREFLY-2, est également en cours et proposée par le laboratoire comparant OJEMDA en monothérapie à la chimiothérapie standard chez des patients âgés de 6 mois et plus atteints d'un gliome de bas grade pédiatrique présentant une altération activatrice du gène RAF nécessitant un traitement systémique de première intention.

## Conclusions du CSP

**Question posée :** Le CSP Onco-Hématologie est sollicité sur le dossier d'AMM pour la spécialité OJEMDA.

Votes	
Numéro/type/nom du dossier	OJEMDA (tovorafenib)
Laboratoire(s)	IPSEN
Direction médicale concernée	DMM1
Expert(s)	
Explication des votes	
Avis majoritaires	NA
Avis minoritaires	NA
Conclusions	

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

- Le besoin médical est majeur pour cette population de patients inopérables et extrêmement invalidés à ce stade avec une menace fonctionnelle importante pour lesquels la perte de la vision et le déficit au niveau endocrinien sont sévères.
- Les différentes échelles de critères radiologiques utilisées dans l'essai clinique FIREFLY-1 pour l'évaluation des réponses tumorales ont été abordées.
- Les modalités de suspension et d'arrêt de traitement en cas de toxicité notamment de retard de croissance ont été discutées.
- La disponibilité d'une formulation buvable, associée à un schéma d'administration hebdomadaire, constitue un point intéressant, notamment pour les jeunes enfants.
- Les données de l'essai de phase 3 confirmatoire FIREFLY-2 seront nécessaires pour confirmer le profil bénéfice-risque du médicament en première ligne, ceci nécessite de garantir un recrutement adéquat.

### Références documentaires