
Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD)

Accès précoce pré-AMM– JASCAYD (nérandomilast)

La demande	
Spécialité	JASCAYD 9 mg, comprimés pelliculés JASCAYD 18 mg, comprimés pelliculés
DCI	Nérandomilast
Indication	JASCAYD est indiqué chez les adultes pour le traitement de la fibrose pulmonaire idiopathique (FPI) et des fibroses pulmonaires progressives (FPP) : <ul style="list-style-type: none">- chez les patients dont la maladie s'aggrave de façon cliniquement significative selon l'avis du clinicien, malgré un traitement antifibrosant,- chez les patients qui ne peuvent bénéficier d'un traitement antifibrosant en raison d'une contre-indication ou d'une intolérance.
Date d'octroi	25/06/2026 <i>La mise à disposition de ce médicament sera effective dans un délai maximal de 2 mois à compter de cette date.</i>
Périodicité des rapports de synthèse	Pour chaque renouvellement le rapport de synthèse déposé devra être le plus récent possible, en tenant compte du dépôt du dossier 3 mois avant la fin de l'autorisation et du gel de base toléré de 2 mois avant le dépôt du dossier.»
Renseignements administratifs	
Contact laboratoire titulaire et/ou CRO	Cellule AP JASCAYD Numéro vert : 08 01 90 80 03 Numéro de fax : 02 46 99 15 04

	E-mail : ap-nerandomilast@euraxipharma.fr , Plateforme électronique à destination des professionnels de santé : www.acces-derogatoires-nerandomilast.fr
CRPV en charge du suivi de l'accès précoce	<i>CRPV d'Amiens</i>
Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire	Monsieur Vincent Barbet Massin Numéro de téléphone : 04.28.67.46.30 E-mail : protection_donnees@boehringer-ingenelheim.com

Dernière date de mise à jour : 25/06/2026

Retrouvez toutes les informations sur ce médicament en accès précoce sur les sites internet de [l'ANSM](#) et de la [HAS](#).

Version du modèle de PUT-RD	Version 2.1 (Novembre 2023)
-----------------------------	-----------------------------

Sommaire

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur	4
Le médicament	6
Calendrier des visites	8
Annexes	9
Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données	9
Annexe 2. Rôle des différents acteurs	33
Annexe 3. Documents d'information à destination des patients, des médecins prescripteurs et des pharmaciens avant toute prescription d'un médicament en accès précoce : JASCAYD	37
Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières	53

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur

Vous souhaitez prescrire ou dispenser un médicament au potentiel innovant disponible au titre d'une autorisation d'accès précoce et d'une prise en charge dérogatoire par l'Assurance maladie.

Cette autorisation vous engage à :

 RESPECTER les conditions d'utilisation, en particulier l'indication thérapeutique	 INFORMER le patient des bénéfices attendus et des risques liés à l'utilisation de ce médicament, du cadre spécifique de cette prescription, de son caractère dérogatoire et provisoire et lui préciser son rôle dans le recueil de données*	 RECUEILLIR et TRANSMETTRE au laboratoire toutes les données cliniques demandées en vue de leur analyse par les autorités sanitaires	 DÉCLARER tout effet indésirable et situations particulières sur signalement.social-sante.gouv.fr (si AMM) ou directement auprès de l'industriel (pré-AMM)
--	--	---	---

Participer à cette démarche, c'est permettre au patient de bénéficier du traitement dans les meilleures conditions et contribuer au développement des connaissances scientifiques.

* Une autorisation d'accès précoce est toujours temporaire, délivrée pour une durée d'un an renouvelable. Elle peut être retirée ou suspendue en fonction des nouvelles données disponibles. La poursuite du traitement est toutefois possible pour les patients en cours de traitement.

Le 25/06/2026, la Haute Autorité de santé (HAS) a délivré une autorisation d'accès précoce, après avis de l'Agence Nationale de Sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) concernant le rapport bénéfice/risque présumé, pour le médicament JASCAYD (nérandomilast) dans l'indication : chez les adultes pour le traitement de la fibrose pulmonaire idiopathique (FPI) et des fibroses pulmonaires progressives (FPP) :

- chez les patients dont la maladie s'aggrave de façon cliniquement significative selon l'avis du clinicien, malgré un traitement antifibrosant,
- chez les patients qui ne peuvent bénéficier d'un traitement antifibrosant en raison d'une contre-indication ou d'une intolérance.

Ce médicament ne dispose pas encore d'une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM).

Cette décision est susceptible d'évoluer (maintien, modification ou retrait) en fonction des nouvelles données. En cas de retrait ou de suspension, un dispositif de continuité de prise en charge des patients en cours de traitement est prévu.

Ce dispositif remplace l'ancien système des autorisations temporaires d'utilisation (ATU) de cohorte et de prise en charge temporaire post-AMM (PECT). Pour plus d'informations sur le dispositif d'accès précoce, veuillez consulter [le site internet de la HAS](#).

L'accès précoce est une procédure permettant l'utilisation, à titre exceptionnel, d'un médicament dans une indication précise soit avant la délivrance d'une AMM, soit dans l'attente de sa prise en charge par l'Assurance maladie au titre de son AMM, 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 fortement présumées au vu des résultats des essais thérapeutiques ou le médicament a obtenu une AMM ;
- le médicament est présumé innovant ;
- la mise en œuvre du traitement ne peut être différée.

Cette autorisation d'accès précoce est subordonnée au respect d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données (PUT-RD), 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 des conditions d'utilisation et de prescription complétée par le RCP du médicament disponible sur les sites de l'ANSM et de la HAS ;
 - des notes d'information que le prescripteur doit remettre au patient avant toute prescription du médicament (voir [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 de l'autorisation d'accès précoce susvisée. L'analyse de ces données permettra également, à termes, de contribuer à l'évaluation de ce médicament par la commission de la transparence en vue de sa prise en charge pérenne par l'Assurance maladie. Les prescripteurs et les pharmaciens sont tenus de participer au recueil de ces informations et de les transmettre aux laboratoires. Des personnels des établissements participant à la prise en charge des patients, autres que les pharmaciens et les prescripteurs, peuvent participer à la collecte des données sous la responsabilité de ceux-ci et selon les modalités d'organisation propres à chaque établissement de santé. **Une convention entre le titulaire et l'établissement définit les modalités de dédommagement de l'établissement pour le temps consacré à la collecte de données**¹.

¹ Conformément au II de l'article R5121-70 du Code de la Santé Publique

Le médicament

Cette section résume les principales caractéristiques du médicament et ses conditions d'utilisation. Outre ces informations, avant que soit prescrit ou dispensé un médicament dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce, il est impératif de se référer au RCP disponible sur les sites internet de l'ANSM et de la HAS.

Spécialités concernées

JASCAYD 9 mg, comprimés pelliculés
JASCAYD 18 mg, comprimés pelliculés

Caractéristiques du médicament

Le nérandomilast est un inhibiteur sélectif de la phosphodiesterase 4 (PDE4) avec une inhibition préférentielle de l'isoenzyme PDE4B au moins 9 fois supérieure à celle des PDE4A, C et D d'après les données *in vitro*. La PDE4 hydrolyse et inactive l'adénosine monophosphate cyclique (AMPc). Le nérandomilast exerce à la fois des effets antifibrotiques et immunomodulateurs, car l'inhibition préférentielle de la PDE4B augmente la concentration intracellulaire de l'AMPc et réduit l'expression des facteurs de croissance profibrotiques et des cytokines inflammatoires qui sont surexprimés dans la fibrose pulmonaire.

Indication

JASCAYD est indiqué chez les adultes pour le traitement de la fibrose pulmonaire idiopathique (FPI) et des fibroses pulmonaires progressives (FPP) :

- chez les patients dont la maladie s'aggrave de façon cliniquement significative selon l'avis du clinicien, malgré un traitement antifibrosant,
- chez les patients qui ne peuvent bénéficier d'un traitement antifibrosant en raison d'une contre-indication ou d'une intolérance.

Critères d'éligibilité

Pour être éligible à l'accès précoce, le patient doit remplir l'ensemble des critères suivants :

- Patient adulte
- Diagnostic confirmé de fibrose pulmonaire : Fibrose Pulmonaire Idiopathique ou Fibrose Pulmonaire Progressive
- Au moins une des trois conditions suivantes doit être vérifiée :
 - le patient ne peut bénéficier d'un traitement antifibrosant en raison d'une contre-indication
 - le patient ne peut bénéficier d'un traitement antifibrosant en raison d'une intolérance

- la maladie s'aggrave de façon cliniquement significative selon l'avis du clinicien, malgré un traitement antifibrosant en cours.

Critères de non-éligibilité

Le patient est non éligible à l'accès précoce s'il remplit l'un des critères ci-dessous :

- Hypersensibilité à la substance active ou à l'un des excipients mentionnés à la rubrique 6.1. du RCP

Se référer au paragraphe 4.6 du RCP pour les précautions relatives à la fertilité, la grossesse et l'allaitement

Conditions de prescription et de délivrance

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

- Médicament soumis à prescription hospitalière dans le cadre de l'accès précoce pré AMM.
- Traitement de la fibrose pulmonaire idiopathique (FPI) : Médicament à prescription réservée aux spécialistes en pneumologie.
- Traitement des fibroses pulmonaires progressives (FPP) : Médicament à prescription réservée aux spécialistes en pneumologie, en médecine interne et en rhumatologie.

Calendrier des visites

	Fiche d'accès au traitement	Fiche d'instauration de traitement	Fiche de suivi Fréquence : M3, M6, M12 ...	Fiche d'arrêt définitif de traitement
Remise des documents d'information destinés au patient par le médecin prescripteur	X			
Collecte de données sur les caractéristiques des patients				
Déclaration de conformité médicale aux critères d'éligibilité et de non-éligibilité	X	X		
Maladie (diagnostic et état du patient, traitements antérieurs, comorbidités)	X			
Test de grossesse	X			
Contraception efficace (le cas échéant)	X	X	X	
Collecte de données sur les conditions d'utilisation				
Posologie et traitements concomitants et/ou soins de support	X	X	X	X (posologie)
Interruption temporaire ou définitive de traitement			X	X (raisons d'arrêt définitif)
Collecte de données d'efficacité				
CVF (Capacité Vitale Forcée)	X	X	X [M6, M12, ...]	
DLCO	X	X	X [M6, M12, ...]	
Critère d'efficacité auto-rapporté par le patient : Questionnaire R-Scale-FP		X	X [M6, M12, ...]	X
Collecte de données de tolérance/situations particulières				
Suivi des effets indésirables/situation particulières : auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe 1		X	X	X

Annexes

Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données

- [Fiche d'accès au traitement](#)
- [Fiche d'instauration de traitement \(première administration\)](#)
- [Fiches de suivi de traitement](#)
- [Fiche d'arrêt de traitement](#)
- Formulaire de [déclaration d'effet indésirable](#) et/ou de [signalement de situations particulières](#)
- [Questionnaire](#) de qualité de vie, handicap, fonctionnement, symptômes...)

Qui contacter concernant le recueil des données :

Cellule AP JASCAYD

Tél : 08 01 90 80 03

E-mail : ap-nerandomilast@euraxipharma.fr

Fax : 02 46 99 15 04

Le recueil des données dans le cadre du PUT-RD se fait **via une plateforme électronique prévue à cet effet** :

- **Plateforme électronique** : <https://www.acces-derogatoires-nerandomilast.fr>

Pour rappel dans le cadre de l'accès précoce aux médicaments, lorsque le recueil de données d'utilisation de ces médicaments est effectué par l'intermédiaire d'outils numériques, l'identification et l'authentification à ces outils doit se faire par l'intermédiaire du service Pasrel/Plage mis en œuvre par l'ATIH².

En cas d'impossibilité de connexion à la plateforme, les fiches peuvent être transmises par fax ou mail (02 46 99 15 04 ou ap-nerandomilast@euraxipharma.fr) .

² NOTE D'INFORMATION N° DGOS/PF2/2022/205 du 29 août 2022 relative aux modalités d'identification et d'authentification aux outils de recueil de données utilisés dans le cadre de l'accès précoce et compassionnel aux médicaments

Fiche d'accès au traitement

À remplir par le prescripteur et le pharmacien

Plateforme électronique

www.acces-derogatoires-nerandomilast.fr

Date de la demande : __/__/____

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : |_|_|_| | Prénom (2 premières lettres) : |_|_|

Date de naissance : __/__/____ (MM/AAAA)

Sexe : M F

Si femme en âge de procréer, se référer au paragraphe 4.6 du RCP.

L'accès précoce 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. Pour plus d'information consulter <https://www.clinicaltrialsregister.eu/> ou <https://clinicaltrials.gov/>.

S'il existe une possibilité d'inclure le patient dans un essai clinique en cours dans l'indication qui fait l'objet de l'accès précoce, le patient doit être orienté vers l'essai clinique.

Le patient a-t-il déjà débuté le traitement dans le cadre d'un accès compassionnel ou dans une autre situation? Oui Non

Maladie

Diagnostic et état du patient

Indication concernée

- Fibrose Pulmonaire Idiopathique (FPI)*

OU

- Fibrose Pulmonaire Progressive (FPP)**

Si FPP, préciser l'étiologie sous-jacente à l'atteinte de pneumopathies interstitielles diffuses (PID):

- Pneumopathie Interstitielle Non-Spécifique (PINS) Idiopathique
- PID idiopathique inclassable
- Pneumopathie d'hypersensibilité
- PID associée à une maladie auto-immune
 - PID associée à la polyarthrite rhumatoïde
 - PID associée à la sclérodermie systémique
 - PID associée à une connectivite mixte
 - PID associée à une autre maladie auto-immune
- Autre PID

- PID liée à une exposition
- Sarcoïdose
- PID fibrosante associée à une autre maladie non auto-immune

* Selon les recommandations nationales Recommandations pratiques pour le diagnostic et la prise en charge de la fibrose pulmonaire idiopathique – Actualisation 2021, et le PNDS disponible sur le site de la HAS

** Selon les recommandations nationales Recommandations pratiques pour le diagnostic et la prise en charge de la fibrose pulmonaire idiopathique – Actualisation 2021, et les recommandations internationales Idiopathic Pulmonary Fibrosis (an Update) and Progressive Pulmonary Fibrosis in Adults: An Official ATS/ERS/JRS/ALAT Clinical Practice Guideline, publiées dans *American Journal of Respiratory and Critical Care Medicine*, Volume 205, Issue 9, pages e18–e47, on May 1, 2022

- Date du diagnostic de la pneumopathie interstitielle diffuse (PID) : __ / __ __ __ __ (MM/AAAA) (à compléter pour FPI et FPP)
- Dernier aspect scanographique connu de la PID :
 - de type PIC (Pneumopathie Interstitielle Commune)
 - autre type

ETAT DU PATIENT

Statut tabagique

- Ex-fumeur
- Fumeur actif
- Jamais fumé

Fonction pulmonaire du patient

CVF : |__|__|__|, |__| % de la valeur théorique

DLCO (corrigée pour l'hémoglobine) : |__|__|, |__| % de la valeur théorique

Patient sur liste d'attente pour une transplantation pulmonaire Oui Non

Comorbidités Oui Non

Si oui, précisez :

- Hypertension non contrôlée
- Insuffisance rénale terminale (DFGe < 15 mL/min)
- Insuffisance hépatique sévère (Child-Pugh C)
- Cardiopathie sévère
- Autres maladies respiratoires

Autre(s) maladie(s) sévère(s) en cours, préciser : _____

Traitements antérieurs et/ou concomitants (incluant les soins de support)

Traitement (DCI le cas échéant)	Statut
Nintédanib	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
Pirfénidone*	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
Oxygénothérapie	<input type="checkbox"/> Jamais débutée <input type="checkbox"/> En cours, précisez : <input type="checkbox"/> Oxygénothérapie nocturne <input type="checkbox"/> à l'effort <input type="checkbox"/> au long cours <input type="checkbox"/> Arrêtée
Inhibiteurs puissants du CYP3A** (exemple : clarithromycine, itraconazole, ritonavir, ...)	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
Inducteurs puissants ou modérés du CYP3A*** (exemples : bosentan, métamizole, carbamazépine, milleper-tuis, rifampicine, phénytoïne, ...)	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
Immunosuppresseur	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté

Si immunosuppresseur(s) en cours, le(s)quel(s) ?

- abatacept
- anti-TNF α
- azathioprine

- corticoïdes
- cyclophosphamide
- inhibiteur de JAK
- méthotrexate
- mycophenolate mofetil
- rituximab
- tacrolimus
- tocilizumab
- autre préciser : _____

* Utilisation concomitante avec la pirfénidone

L'utilisation concomitante avec de la pirfénidone diminue l'exposition au nérandomilast d'environ 50%. Chez les patients utilisant de la pirfénidone, la dose recommandée est de 18 mg deux fois par jour et ne doit pas être réduite à 9 mg deux fois par jour.

** Utilisation concomitante avec des inhibiteurs du CYP3A

En cas d'utilisation concomitante avec des inhibiteurs puissants du CYP3A, la dose doit être réduite à 9 mg deux fois par jour.

*** Utilisation concomitante avec des inducteurs du CYP3A

En cas d'utilisation concomitante avec des inducteurs puissants ou modérés du CYP3A, la dose recommandée est de 18 mg deux fois par jour et ne doit pas être réduite à 9 mg deux fois par jour.

Traitement par JASCAYD (nérandomilast)

Concernant l'utilisation du médicament notamment la posologie, les mises en garde spéciales, précautions d'emploi et contre-indications, veuillez-vous référer au RCP disponible sur les sites de l'ANSM et de la HAS.

Posologie envisagée

- 18 mg deux fois par jour
- 9 mg deux fois par jour

Se référer à la section « Posologie et mode d'administration » du résumé des caractéristiques du produit (RCP).

Engagement du prescripteur

Critères d'éligibilité

Pour être éligible à l'accès précoce, le patient doit remplir l'ensemble des critères suivants :

- Patient adulte
- Diagnostic confirmé de fibrose pulmonaire : Fibrose Pulmonaire Idiopathique ou Fibrose Pulmonaire Progressive
- Au moins une des trois conditions suivantes doit être vérifiée :
 - le patient ne peut bénéficier d'un traitement antifibrosant en raison d'une contre-indication

- le patient ne peut bénéficier d'un traitement antifibrosant en raison d'une intolérance
- la maladie s'aggrave de façon cliniquement significative selon l'avis du clinicien, malgré un traitement antifibrosant en cours.

Critères de non-éligibilité

Le patient est non éligible à l'accès précoce s'il remplit l'un des critères ci-dessous :

- Hypersensibilité à la substance active ou à l'un des excipients mentionnés à la rubrique 6.1. du RCP

Se référer au paragraphe 4.6 du RCP pour les précautions relatives à la fertilité, la grossesse et l'allaitement

Je certifie que le patient remplit les critères d'éligibilité et ne remplit aucun des critères de non-éligibilité ci-dessus :

Oui Non

Si, au regard de ces critères, le patient n'est pas éligible à l'accès précoce, le prescripteur peut, par l'intermédiaire du pharmacien de l'établissement de santé, faire d'emblée une demande d'autorisation d'accès compassionnel auprès de l'ANSM en justifiant la demande.

J'ai remis les documents d'information au patient (disponibles en [annexe 3](#)) et certifie que le patient a été informé de la collecte de ses données à caractère personnel : Oui Non

Une note d'information à destination des médecins prescripteurs et des pharmaciens sur le traitement de leurs données à caractère personnel est également disponible en [annexe 3](#).

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	Numéro FINESS : _____
Numéro FINESS : _____	Tél : Numéro de téléphone.
Tél : Numéro de téléphone.	E-mail : xxx@domaine.com
E-mail : xxx@domaine.com	Date : ___ / ___ / ___
Date : ___ / ___ / ___	Signature du pharmacien :
Signature du médecin :	

Fiche d'instauration de traitement

(Première administration dans le cadre de l'accès précoce – fiche à compléter uniquement pour les instaurations dans le cadre de l'accès précoce)

À remplir par le prescripteur et le pharmacien

Plateforme électronique

www.acces-derogatoires-nerandomilast.fr

Date de la visite : __/__/____

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : |_|_|_| Prénom (2 premières lettres) : |_|_|

N° patient d'accès précoce : |_|_|_|

Maladie et biologie

Des modifications majeures sont-elles survenues depuis que la fiche d'accès au traitement a été complétée ?

Oui Non

Si oui, précisez lesquelles :

Transplantation pulmonaire réalisée

Décision du patient de ne plus recevoir le traitement

Décision du médecin, préciser : _____

Décès du patient

Apparition d'une hypersensibilité à la substance active ou à ses excipients (se référer à la section 6.1 liste des excipients du RCP).

Autre préciser : _____

En cas d'effet indésirable, compléter la fiche de déclaration d'effet indésirable.

Engagement du prescripteur

Je confirme que le patient remplit toujours les critères d'éligibilité à l'accès précoce : Oui Non

Si le patient ne remplit plus les critères d'éligibilité de l'accès précoce, le prescripteur ne peut instaurer le traitement de son patient dans le cadre de l'accès précoce mais peut par l'intermédiaire du pharmacien de l'établissement de santé, faire une demande d'accès compassionnel en la justifiant.

Je confirme avoir vérifié la mise en place d'une contraception, conformément au RCP Oui Non

Conditions d'utilisation

Date de 1^{ère} administration ou d'instauration du traitement : ___/___/___

Posologie prescrite

18 mg deux fois par jour

9 mg deux fois par jour

Posologie

Se référer à la section « Posologie et mode d'administration » du résumé des caractéristiques du produit (RCP).

Traitements concomitants (incluant les soins de support)

Des modifications majeures sont-elles survenues depuis que la fiche d'accès au traitement a été complétée ?

Oui Non

Si oui, précisez lesquelles :

Traitement (<i>DCI le cas échéant</i>)	Statut
<input type="checkbox"/> Nintédanib	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Pirfénidone*	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Oxygénothérapie	<input type="checkbox"/> Jamais débutée <input type="checkbox"/> En cours, précisez : <input type="checkbox"/> Oxygénothérapie nocturne <input type="checkbox"/> à l'effort <input type="checkbox"/> au long cours <input type="checkbox"/> Arrêtée
<input type="checkbox"/> Inhibiteurs puissants du CYP3A ** (exemple : clarithromycine, itraconazole, ritonavir, ...)	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Inducteurs puissants ou modérés du CYP3A*** (exemples : bosentan, métamizole, carbamazépine, millepertuis, rifampicine, phénytoïne, ...)	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Immunosuppresseur	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours

Arrêté

Si immunosuppresseur(s) en cours, le(s)quel(s) ?

- abatacept
- anti-TNF α
- azathioprine
- corticoïdes
- cyclophosphamide
- inhibiteur de JAK
- méthotrexate
- mycophenolate mofetil
- rituximab
- tacrolimus
- tocilizumab
- autre préciser : _____

* Utilisation concomitante avec la pirfénidone

L'utilisation concomitante avec de la pirfénidone diminue l'exposition au nérandomilast d'environ 50%. Chez les patients utilisant de la pirfénidone, la dose recommandée est de 18 mg deux fois par jour et ne doit pas être réduite à 9 mg deux fois par jour.

** Utilisation concomitante avec des inhibiteurs du CYP3A

En cas d'utilisation concomitante avec des inhibiteurs puissants du CYP3A, la dose doit être réduite à 9 mg deux fois par jour.

*** Utilisation concomitante avec des inducteurs du CYP3A

En cas d'utilisation concomitante avec des inducteurs puissants ou modérés du CYP3A, la dose recommandée est de 18 mg deux fois par jour et ne doit pas être réduite à 9 mg deux fois par jour.

Collecte du/des critère(s) d'efficacité à l'instauration du traitement

Capacité vitale forcée (CVF)

CVF : |__|_|_|_|, |__| % de la valeur théorique

Capacité de Diffusion du Monoxyde de Carbone (DLCO)

DLCO (corrigée pour l'hémoglobine) : |__|_|_|, |__| % de la valeur théorique

Critère de qualité de vie auto-rapporté par le patient (R-Scale pulmonary fibrosis)

| À compléter par le patient par auto-questionnaire en [annexe](#).

La collecte des données se fera au format papier par le patient. Une fois complété, le questionnaire sera restitué au prescripteur qui se chargera de retranscrire les données sur la plateforme dédiée.

Critère d'efficacité auto-rapporté par le patient (ressenti par le patient de son état respiratoire)

| À compléter par le patient par auto-questionnaire en [annexe](#).

La collecte des données se fera au format papier par le patient. Une fois complété, le questionnaire sera restitué au prescripteur qui se chargera de retranscrire les données sur la plateforme dédiée.

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

Y a-t-il eu apparition d'effet(s) indésirable(s) immédiat(s) ou une situation particulière à déclarer ?

Oui Non

Si oui, procéder à leur déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe 1.

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	Numéro FINESS : _____
Numéro FINESS : _____	Tél : Numéro de téléphone.
Tél : Numéro de téléphone.	E-mail : xxx@domaine.com
E-mail : xxx@domaine.com	Date : __/__/____
Date : __/__/____	Signature du pharmacien :
Signature du médecin :	

Fiche de suivi de traitement

(Visites après la première administration)

À remplir par le prescripteur et le pharmacien

Plateforme électronique

www.acces-derogatoires-nerandomilast.fr

Date de la visite : _ / _ / _

Les fiches de suivi sont à compléter selon la périodicité suivante : M3*, M6, M12, M18, M24

Visite de suivi M3 M6 M12 M18 M24

*visite à but de vérification de la tolérance du traitement, optionnelle pour les patients traités précédemment au moins trois mois en accès compassionnel.

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : | _ | _ | _ | Prénom (2 premières lettres) : | _ | _ |

N° patient d'accès précoce : | _ | _ | _ |

Engagement du prescripteur

Je confirme avoir vérifié la mise en place d'une contraception, conformément au RCP Oui Non

Conditions d'utilisation

Posologie prescrite

18 mg deux fois par jour

9 mg deux fois par jour

Posologie

Se référer à la section « Posologie et mode d'administration » du résumé des caractéristiques du produit (RCP).

Interruption/arrêt temporaire de traitement

Oui

Non

| Si oui, préciser les raisons :

<input type="checkbox"/> Interruption temporaire du traitement*	Date d'interruption _ / _ / _ (JJ/MM/AAAA)	Motif <input type="checkbox"/> Effet indésirable* <input type="checkbox"/> Souhait du patient <input type="checkbox"/> Autre
---	--	---

<input type="checkbox"/> Reprise du traitement	Date de reprise ____/____/____ (JJ/MM/AAAA)	Posologie : <input type="checkbox"/> 9 mg deux fois par jour <input type="checkbox"/> 18 mg deux fois par jour
<input type="checkbox"/> Arrêt définitif du traitement*	(Compléter la fiche d'arrêt définitif de traitement)	
<input type="checkbox"/> Modification de la posologie depuis la dernière visite*	Date de modification ____/____/____ (JJ/MM/AAAA)	Motif : <input type="checkbox"/> Effet indésirable* <input type="checkbox"/> Autre Posologie actuelle : <input type="checkbox"/> 9 mg deux fois par jour <input type="checkbox"/> 18 mg deux fois par jour

* **En cas d'effet indésirable, compléter la fiche de déclaration d'effet indésirable. En cas de décès du patient, compléter la fiche d'arrêt définitif de traitement**

Maladie et bilan biologique

Des modifications majeures sont-elles survenues depuis la demande d'accès précoce ?

Oui Non

Si oui, précisez lesquelles :

- Transplantation pulmonaire réalisée
- Décision du patient de ne plus recevoir le traitement
- Décision du médecin, préciser : _____
- Décès du patient
- Apparition d'une hypersensibilité à la substance active ou à ses excipients (se référer à la section 6.1 liste des excipients du RCP).
- Autre, préciser : _____

En cas d'effet indésirable, compléter la fiche de déclaration d'effet indésirable.

Traitements concomitants (incluant les soins de support)

Quel traitement en cours (concomitairement au JASCAYD) ?

Traitement (DCI le cas échéant)
<input type="checkbox"/> Nintédanib
<input type="checkbox"/> Pirfénidone*
<input type="checkbox"/> Oxygénothérapie précisez : <input type="checkbox"/> Oxygénothérapie nocturne <input type="checkbox"/> à l'effort <input type="checkbox"/> au long cours

Immunosuppresseur

Inhibiteurs puissants du CYP3A** (exemple : clarithromycine, itraconazole, ritonavir, ...)

Inducteurs puissants ou modérés du CYP3A*** (exemples : bosentan, métamizole, carbama-zépine, millepertuis, rifampicine, phénytoïne, ...)

Si immunosuppresseur(s) ajouté, le(s)quel(s) ?

- abatacept
- anti-TNF α
- azathioprine
- corticoïdes
- cyclophosphamide
- inhibiteur de JAK
- méthotrexate
- mycophenolate mofetil
- rituximab
- tacrolimus
- tocilizumab
- autre préciser : _____

* Utilisation concomitante avec la pirfénidone

L'utilisation concomitante avec de la pirfénidone diminue l'exposition au nérandomilast d'environ 50%. Chez les patients utilisant de la pirfénidone, la dose recommandée est de 18 mg deux fois par jour et ne doit pas être réduite à 9 mg deux fois par jour.

** Utilisation concomitante avec des inhibiteurs du CYP3A

En cas d'utilisation concomitante avec des inhibiteurs puissants du CYP3A, la dose doit être réduite à 9 mg deux fois par jour.

*** Utilisation concomitante avec des inducteurs du CYP3A

En cas d'utilisation concomitante avec des inducteurs puissants ou modérés du CYP3A, la dose recommandée est de 18 mg deux fois par jour et ne doit pas être réduite à 9 mg deux fois par jour.

Évaluation de l'effet du traitement par JASCAYD (nérandomilast)

Capacité vitale forcée (CVF)

- CVF : |__| |__| |__|, |__| % de la valeur théorique

Capacité de diffusion du monoxyde de carbone (DLCO)

- DLCO (corrigée pour l'hémoglobine) : |__| |__|, |__| % de la valeur théorique

Critère de qualité de vie auto-rapporté par le patient (R-Scale pulmonary fibrosis)

| À compléter par le patient par auto-questionnaire en [annexe](#).

La collecte des données se fera au format papier par le patient. Une fois complété, le questionnaire sera restitué au prescripteur qui se chargera de retranscrire les données sur la plateforme dédiée.

Critère d'efficacité auto-rapporté par le patient (ressenti par le patient de son état respiratoire)

À compléter par le patient par auto-questionnaire en annexe.

La collecte des données se fera au format papier par le patient. Une fois complété, le questionnaire sera restitué au prescripteur qui se chargera de retranscrire les données sur la plateforme dédiée.

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 I.

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	N° FINESS : _____
N° FINESS : _____	Tél : Numéro de téléphone.
Tél : Numéro de téléphone.	E-mail : xxx@domaine.com
E-mail : xxx@domaine.com	Date : __/__/____
Date : __/__/____	Signature du pharmacien :
Signature du médecin :	

Fiche d'arrêt définitif de traitement

À remplir par le prescripteur et le pharmacien

Date de l'arrêt définitif de traitement : __/__/__

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : |_|_|_| Prénom (2 premières lettres) : |_|_|

N° patient d'accès précoce : |_|_|_|

Posologie à l'arrêt du traitement : 9 mg deux fois par jour 18 mg deux fois par jour

Autre traitement ultérieur envisagé ou mis en place (si applicable) : _____

Raisons de l'arrêt du traitement

Fin de traitement (définie dans le RCP)

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 I.

Progression de la maladie

Effet thérapeutique non satisfaisant

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 I.

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'éligibilité, préciser : _____

Autre, préciser : _____

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	N° FINESS : _____
N° FINESS : _____	Tél : Numéro de téléphone.
Tél : Numéro de téléphone.	E-mail : xxx@domaine.com
E-mail : xxx@domaine.com	Date : __/__/____
Date : __/__/____	Signature du pharmacien :
Signature du médecin :	

Questionnaire qualité de vie, handicap, fonctionnement, symptômes ...)

À compléter par le patient

Questionnaire de qualité de vie à compléter tous les 6 mois

1- **Evolution** : Comment vous sentez-vous globalement sur le plan respiratoire par rapport à votre dernière consultation ?

Beaucoup
moins bien

Moins bien

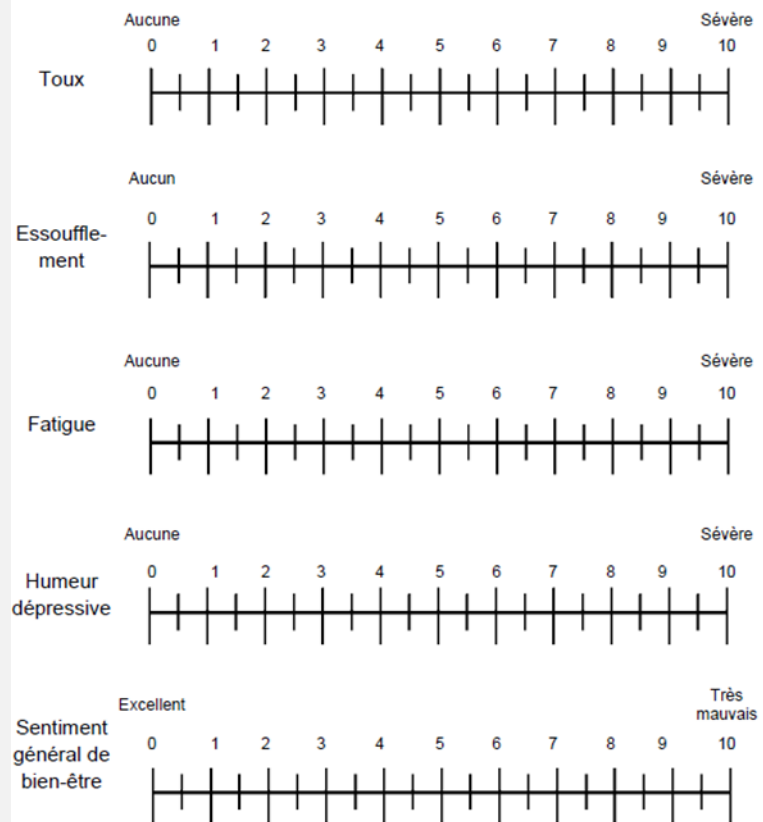
Pareil

Mieux

Beaucoup
mieux

2- **Echelle d'évaluation numérique de la fibrose pulmonaire (échelle de Raghu)**


Ce questionnaire vise à évaluer l'impact de la maladie pulmonaire sur votre qualité de vie. Sur chaque échelle, sélectionnez l'endroit qui représente le mieux votre vécu ou votre ressenti au cours des deux dernières semaines.



Scallan C, Strand L, Hayes J, Kadura S, Collins B, Ho L, Spada C, Canestaro W, Kolb M, Raghu G. R-scale for pulmonary fibrosis: a simple, visual tool for the assessment of health-related quality of life. *Eur Respir J.* 2022 Jan 13;59(1):2100917. doi: 10.1183/13993003.00917-2021. PMID: 34112729.

Fiche de déclaration des effets indésirables

Veillez envoyer ce formulaire à Boehringer Ingelheim France par Fax au 03 26 50 38 71 ou par mail sécurisé à pv_local_france@boehringer-ingelheim.com DANS UN DELAI DE 1 JOUR OUVRABLE (EI GRAVE) / 7 JOURS (EI NON GRAVE) APRES EN AVOIR PRIS CONNAISSANCE

 Boehringer Ingelheim	Rapport d'Événement Indésirable (EI) pour les Accès Précoces (AP)	N° centre : _ _ _ _ N° patient : _ _ _ _	Notificateur: _____ Téléphone: _____ Email: _____ BI CTMS No.: <u>1305-0080</u> Pays: <u>FRANCE</u>
---	--	--	--

Sexe 1 <input type="checkbox"/> Homme 2 <input type="checkbox"/> Femme	Année de naissance (aaaa) _ _ _ _	Taille (cm) _ _ _ _	Poids (kg) _ _ _ _ . _ Si inconnu, indiquer "UNK"	Grossesse <input type="checkbox"/> non <input type="checkbox"/> oui, semaines _ _
--	---------------------------------------	-------------------------	---	--

Rapport initial (1ère fois que vous déclarez un EI pour ce patient)
 Rapport de suivi (information additionnelle concernant un EI déjà déclaré pour ce patient)

EVENEMENT(S) Décrivez tous les événements, signes ou symptômes observés	Date de l'événement				Traitement de l'EI 0 = non 1 = oui <i>Si oui, spécifier dans « Description » page 2</i>	Mesure prise suite à l'événement: 1=dose inchangée 2=dose diminuée 3=médicament arrêté 4=dose augmentée	Evolution de l'événement 1= récupération 2= absence de récupération 3= récupération avec séquelles 4= décès (merci de joindre une copie du certificat de décès) 5= inconnue	L'EVENEMENT EST-IL GRAVE ?		Causalité Existe-t-il une relation causale raisonnable avec le médicament BI? 0 = non 1 = oui
	Date de début jj/mmm/aaaa	Heure hh:mm	Date de fin jj/mmm/aaaa <small>Si l'EI est en cours, indiquer 'cont' ici)</small>	Heure hh:mm				0 = non 1 = oui	Si oui, indiquer le(s) code(s) approprié(s) 1= décès (merci de joindre une copie du certificat de décès) 2= menace immédiate du pronostic vital 3= handicap/incapacité persistant(e) ou significatif(ve) 4= hospitalisation/prolongation d'hospitalisation 5= anomalie congénitale 6= autre raison médicalement comparable (spécifier dans « description »)	
1.										

2.										
3.										
4.										


Veillez envoyer ce formulaire à Boehringer Ingelheim France par Fax au 03 26 50 38 71 ou par mail sécurisé à pv_local_france@boehringer-ingelheim.com DANS UN DELAI DE 1 JOUR OUVRABLE (EI GRAVE) / 7 JOURS (EI NON GRAVE) APRES EN AVOIR PRIS CONNAISSANCE

 Boehringer Ingelheim	Rapport d'Événement Indésirable (EI) pour les Accès Précoces (AP)	N° centre: _ _ _	BI CTMS No.: <u>1305-0080</u>
		N° patient: _ _ _	Pays: <u>FRANCE</u>

Description du ou des événements indiqués ci-dessus et de toute information supplémentaire pouvant contribuer à l'évaluation du cas, y compris, mais sans s'y limiter, les résultats pertinents du diagnostic/des tests de laboratoire (avec les valeurs de référence) et les mesures thérapeutiques prises pour traiter l'événement. Le numéro de l'événement de la première page (première colonne) doit être fourni à côté de sa description.

Produit Boehringer Ingelheim utilisé dans l'AC	Formulation	Posologie	Voie d'administration	N° de lot	Date de début	Date de fin	Indication
					jj / mmm / aaaa	jj / mmm / aaaa	

Veuillez envoyer ce formulaire à Boehringer Ingelheim France par Fax au 03 26 50 38 71 ou par mail sécurisé à pv_local_france@boehringer-ingelheim.com DANS UN DELAI DE 1 JOUR OUVRABLE (EI GRAVE) / 7 JOURS (EI NON GRAVE) APRES EN AVOIR PRIS CONNAISSANCE

 Boehringer Ingelheim	Rapport d'Événement Indésirable (EI) pour les Accès Précoces (AP)	N° centre : _ _ _	BI CTMS No.: <u>1305-0080</u>
		N° patient : _ _ _	

Médicaments concomitants et antérieurs pertinents (<i>ne pas inclure les médicaments utilisés uniquement en tant que traitements correcteurs de l'EI</i>)	Formulation	Posologie	Voie d'administration	Date de début jj / mmm / aaaa	Date de fin jj / mmm / aaaa	Indication	Existe-t-il une relation causale raisonnable entre l'événement et le médicament concomitant ? 0 = non 1 = oui, si oui, indiquer le n° de l'EI
1.							
2.							
3.							
4.							

Maladies concomitantes pertinentes:

1. _____
2. _____
3. _____
4. _____

Commentaires (facteurs confondants, autre explication possible, re-challenge etc...)

Nom du médecin:

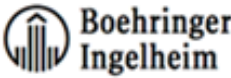
Signature

Date : ____ / ____ / ____
jj / mmm / aaaa

Cliquez ou appuyez ici pour entrer du texte.

Fiche de signalement de situations particulières

Fiche à transmettre au laboratoire

	Formulaire de suivi de grossesse pour les Accès Précoces (AP) <div style="border: 1px solid black; display: inline-block; padding: 2px;">Partie A</div>	N° centre : _ _ _ N° patient : _ _ _ BI CTMS No.: 1305-0080 Pays FRANCE
---	---	--

▶ Ce formulaire doit être rempli par le médecin ou l'établissement pour signaler toute exposition au médicament pendant la grossesse après l'exposition au médicament. **Veillez envoyer ce formulaire à Boehringer Ingelheim France par Fax au 03 26 50 38 71 ou par mail sécurisé à pv_local_france@boehringer-ingelheim.com dans un délai de 7 jours après en avoir pris connaissance.**

▶ Si, de plus, un événement indésirable se produit, il faut également remplir le formulaire EI.

La grossesse est survenue chez	<input type="checkbox"/> une patiente participant au programme <input type="checkbox"/> une partenaire d'un patient participant au programme
--------------------------------	---

Information démographique :

Année de naissance (aaaa) : _____	Taille (cm) : _____	Poids (kg) : _____
--------------------------------------	------------------------	-----------------------

Traitements: Veuillez lister tous les traitements administrés pendant la grossesse à ce jour, si disponibles

Continuez sur une feuille séparée si nécessaire.


Médicaments	Voie d'administration	Posologie	Indication	Date de début (jj mmm aaaa)	Date de fin (jj mmm aaaa)
Médicament(s) BI utilisés dans l'AP	1.				
	2.				
	3.				
Médicaments concomitants	4.				
	5.				
	6.				

Antécédents médicaux maternels pertinents: *Tout problème de santé maternelle, maladie sous-jacente et médicaments, tabagisme, consommation de drogues et/ou d'alcool pendant la grossesse, traitement antérieur de l'infertilité, antécédents obstétricaux y compris les fausses couches antérieures et les antécédents familiaux pertinents:*

Date des dernières règles:	Date (jj mmm aaaa) : _____
Date prévue de l'accouchement:	Date (jj mmm aaaa) : _____
Nbre de semaines de grossesse au moment de l'exposition initiale (si connu):	Nbre de semaines : _____
	Si nbre de semaines non connu :
	<input type="checkbox"/> 1 ^{er} trimestre <input type="checkbox"/> 2 ^{ème} trimestre <input type="checkbox"/> 3 ^{ème} trimestre

Date (jj mmm aaaa) :

Signature du médecin :

 Boehringer Ingelheim	Formulaire de suivi de grossesse pour les Accès Compassionnels (AC) Partie B	N° centre : _ _ _ _ N° patient : _ _ _ _ BI CTMS No.: 1305-0080 Pays FRANCE

▶ Ce formulaire doit être rempli par le médecin/l'établissement après l'accouchement/l'interruption de grossesse. **Veillez envoyer ce formulaire à Boehringer Ingelheim France par Fax au 03 26 50 38 71 ou par mail sécurisé à pv_local_france@boehringer-ingelheim.com dans un délai de 7 jours après en avoir pris connaissance.**

▶ Si, de plus, un événement indésirable se produit, il faut également remplir le formulaire EI.

La grossesse est survenue chez	<input type="checkbox"/> une patiente participant au programme <input type="checkbox"/> une partenaire d'un patient participant au programme
--------------------------------	---

Information démographique :

Année de naissance (aaaa): _____	Taille (cm): _____	Poids (kg): _____
-------------------------------------	-----------------------	----------------------

Information sur la grossesse :

Evolution de la grossesse (cocher la case appropriée)		
Inconnue	<input type="checkbox"/>	
Avortement thérapeutique	<input type="checkbox"/>	Veillez remplir le formulaire EI
Enfant né vivant		
Nouveau-né normal	<input type="checkbox"/>	
Malformation/Anomalie Congénitale	<input type="checkbox"/>	Veillez remplir le formulaire EI
Avortement Spontané/Fausse Couche	<input type="checkbox"/>	Veillez remplir le formulaire EI
Enfant mort-né	<input type="checkbox"/>	Veillez remplir le formulaire EI

Grossesse multiple	non <input type="checkbox"/>	oui <input type="checkbox"/>	Indiquer l'âge gestationnel à la naissance (semaines): _____
--------------------	------------------------------	------------------------------	--

Si oui, veuillez remplir une page supplémentaire / des pages supplémentaires pour chaque nouveau-né supplémentaire

Année de naissance (aaaa): _____	Poids à la naissance (grammes): _____	Taille à la naissance (cm) _____	Score APGAR (1-10): _____	Sexe: Masc. <input type="checkbox"/> fem. <input type="checkbox"/>
-------------------------------------	--	-------------------------------------	------------------------------	---

Date (jj mmm aaaa) :

Signature du médecin :

Annexe 2. Rôle des différents acteurs

1. Rôle des professionnels de santé

1.1. Le prescripteur

L'accès précoce implique le strict respect des mentions définies dans le résumé des caractéristiques du produit notamment les indications, les contre-indications, les conditions de prescription et de délivrance, ainsi que l'information et le suivi prospectif des patients traités tels que prévus par le PUT-RD.

Avant tout traitement, le prescripteur :

- prend connaissance du RCP et du présent PUT-RD ;
- vérifie l'éligibilité de son patient aux critères d'octroi du médicament disposant d'une autorisation d'accès précoce et certifie que celui-ci remplit les critères d'éligibilité en cochant la case prévue à cet effet;
- informe, de manière orale et écrite via le document d'information disponible en [annexe 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 du bénéfice susceptible d'être apporté par le médicament ;
 - du caractère précoce et dérogatoire de la prise en charge par l'Assurance maladie du médicament prescrit dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce ;
 - 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 à caractère personnel.

Lorsque l'autorisation d'accès précoce est délivrée dans une indication pour laquelle le médicament ne dispose pas d'une autorisation de mise sur le marché (AMM), le prescripteur précise que la prescription ne s'effectue pas dans le cadre d'une AMM mais d'une autorisation d'accès précoce. Le prescripteur veille à la bonne compréhension de ces informations.

- complète la fiche d'accès au traitement, en informe la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné qui la complète à son tour et la transmet au laboratoire exploitant l'autorisation d'accès précoce.

Après réception du numéro patient d'accès précoce adressé par le laboratoire, le prescripteur informe le médecin traitant du patient.

Le prescripteur indique sur l'ordonnance l'une ou l'autre des mentions suivantes :

- « prescription hors autorisation de mise sur le marché au titre d'une autorisation d'accès précoce » (pour les accès précoces pré-AMM) ;
ou
- « prescription au titre d'une autorisation d'accès précoce » (pour les accès précoces post-AMM).

Le prescripteur est tenu de participer au recueil des données collectées dans le cadre du PUT-RD. Il transmet à l'entreprise qui assure l'exploitation du médicament les données de suivi des patients traités, selon des modalités assurant le respect du secret médical.

Lors de l'instauration du traitement, le prescripteur remplit la fiche d'instauration de traitement (J0 première administration) et planifie des visites de suivi (voir calendrier de suivi dans le PUT-RD) 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 4](#),
- remplir la fiche d'arrêt de traitement, le cas échéant.

Chaque fiche est envoyée systématiquement et sans délai à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné pour transmission au laboratoire.

1.2. 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 sous accès précoce.

Le pharmacien :

- complète la fiche d'accès au traitement ainsi que les fiches préalablement remplies par le prescripteur lors de chaque visite (lorsqu'elles existent), et les transmet au laboratoire exploitant l'autorisation d'accès précoce ;
- commande le médicament auprès du laboratoire ;
- 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.

Le pharmacien est tenu de participer au recueil des données collectées dans le cadre du PUT-RD.

Des personnels des établissements participant à la prise en charge du patient, autres que les pharmaciens et les prescripteurs, peuvent participer à la collecte des données sous la responsabilité de ceux-ci et selon les modalités d'organisation propres à chaque établissement de santé.

2. 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](#)) ;
- remplit le questionnaire de qualité de vie, handicap, fonctionnement, symptômes..., si applicable ;
- informe les professionnels de santé de tout effet indésirable ou le déclare lui-même sur le portail : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>.

3. Rôle du laboratoire

L'entreprise qui assure l'exploitation du médicament :

- réceptionne les fiches d'accès au traitement, d'instauration et de suivi, et intègre les données dans sa base de suivi de l'accès précoce ;
- adresse, au prescripteur et à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné, le numéro patient d'accès précoce, après avoir vérifié que le prescripteur ait certifié que le patient remplissait les critères d'éligibilité à l'accès précoce;
- est responsable de traitement au sens du règlement général sur la protection des données (RGPD) ;
- collecte et analyse toutes les informations recueillies dans le cadre du PUT-RD, notamment les données d'efficacité et de pharmacovigilance . Il établit selon la périodicité définie en 1^{er} page, le rapport de synthèse accompagné d'un projet de résumé qu'il transmet à la HAS , à l'ANSM et au CRPV en charge du suivi de l'accès précoce, puis transmet le résumé de ce rapport, publié par la HAS et l'ANSM, aux médecins, aux pharmacies à usage intérieur concernées ainsi qu'à l'ensemble des CRPV et Centres antipoison ;
- 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 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 accès précoce (médecins, pharmaciens, patients), conformément aux GVP Module IX (*Emergent Safety Issues*) ;
- finance le recueil des données dans le cadre de l'accès précoce, s'assure de l'assurance qualité et de la collecte rigoureuse exhaustive des données ;
- s'assure du bon usage du médicament dans le cadre de l'accès précoce ;
- approvisionne en conséquence la PUI et assure le suivi de lots ;
- assure la continuité des traitements initiés dans le cadre de l'accès précoce dans les conditions visées à l'article L. 162-16-5-4 du Code de la Sécurité sociale.

4. Rôle des agences de santé (ANSM et HAS)

La HAS prend la décision d'autorisation d'accès précoce.

Lorsque le médicament, dans l'indication considérée, ne bénéficie pas encore d'une autorisation de mise sur le marché, cette décision est rendue après avis conforme de l'ANSM attestant de la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament dans l'indication concernée par l'accès précoce. L'avis conforme de l'ANSM, auxquels sont joints les RCP, notice et étiquetage, est annexé à la décision de la HAS.

Le PUT-RD, élaboré avec l'ANSM sur proposition du laboratoire, est annexé à la décision de la HAS.

La HAS et l'ANSM diffusent sur leurs sites internet leurs décisions et avis, le RCP, la notice, l'étiquetage et le PUT-RD ainsi que les résumés des rapports de synthèse.

À la suite de la délivrance de l'autorisation d'accès précoce :

- la HAS et l'ANSM prennent connaissance des informations transmises par le laboratoire ainsi que par le CRPV en charge du suivi de l'accès précoce et prennent toute mesure utile de manière à assurer la sécurité des patients et le bon usage du médicament ;
- elles évaluent en collaboration avec le CRPV en charge du suivi les rapports périodiques de synthèse et publient le résumé de ces rapports établis par le laboratoire ;
- l'ANSM informe sans délai le laboratoire et le CRPV en charge du suivi en cas de signal émergent de sécurité qui lui aurait été notifié ou déclaré directement qui pourrait remettre en cause l'accès précoce ;
- la HAS peut être amenée à modifier le PUT-RD ou retirer/suspendre la décision d'accès précoce selon les données disponibles ;
- en cas d'urgence, l'ANSM peut également suspendre temporairement la décision d'accès précoce pré-AMM pour des motifs de santé publique.

5. Rôle du CRPV en charge du suivi de l'accès précoce

Le centre régional de pharmacovigilance (CRPV) désigné en 1^{er} page assure le suivi de pharmacovigilance de l'accès précoce au niveau national. Il est destinataire (via le laboratoire) des rapports périodiques de synthèse et des résumés. 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, des médecins prescripteurs et des pharmaciens avant toute prescription d'un médicament en accès précoce : JASCAYD (nérandomilast)

Cette annexe comprend :

- un document d'information sur le dispositif d'accès précoce [avant autorisation de mise sur le marché](#) ;
- une [note d'information aux patients sur le traitement des données à caractère personnel](#) ;
- une note d'information aux médecins prescripteurs et aux pharmaciens sur le traitements des données à caractère personnel.

Accès précoce à un médicament avant autorisation de mise sur le marché

Ce document est destiné aux patients (ou aux parents d'un enfant mineur ou au(x) titulaire(s) de l'autorité parentale le cas échéant, pour un traitement indiqué chez l'enfant).

Votre médecin vous a proposé / a proposé pour votre enfant, mineur, un traitement par JASCAYD (nérandomilast) du laboratoire pharmaceutique Boehringer Ingelheim dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce à un médicament.

Ce document a pour objectif de vous informer sur cette prescription et ce à quoi elle vous engage / vous engage vous et votre enfant. 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 précoce à un médicament avant autorisation de mise sur le marché ?

Des premières recherches jusqu'à la commercialisation, tout nouveau médicament doit franchir plusieurs étapes durant lesquelles il est évalué, dans une indication³ donnée, pour savoir s'il est sûr et s'il apporte un réel bénéfice aux personnes malades.

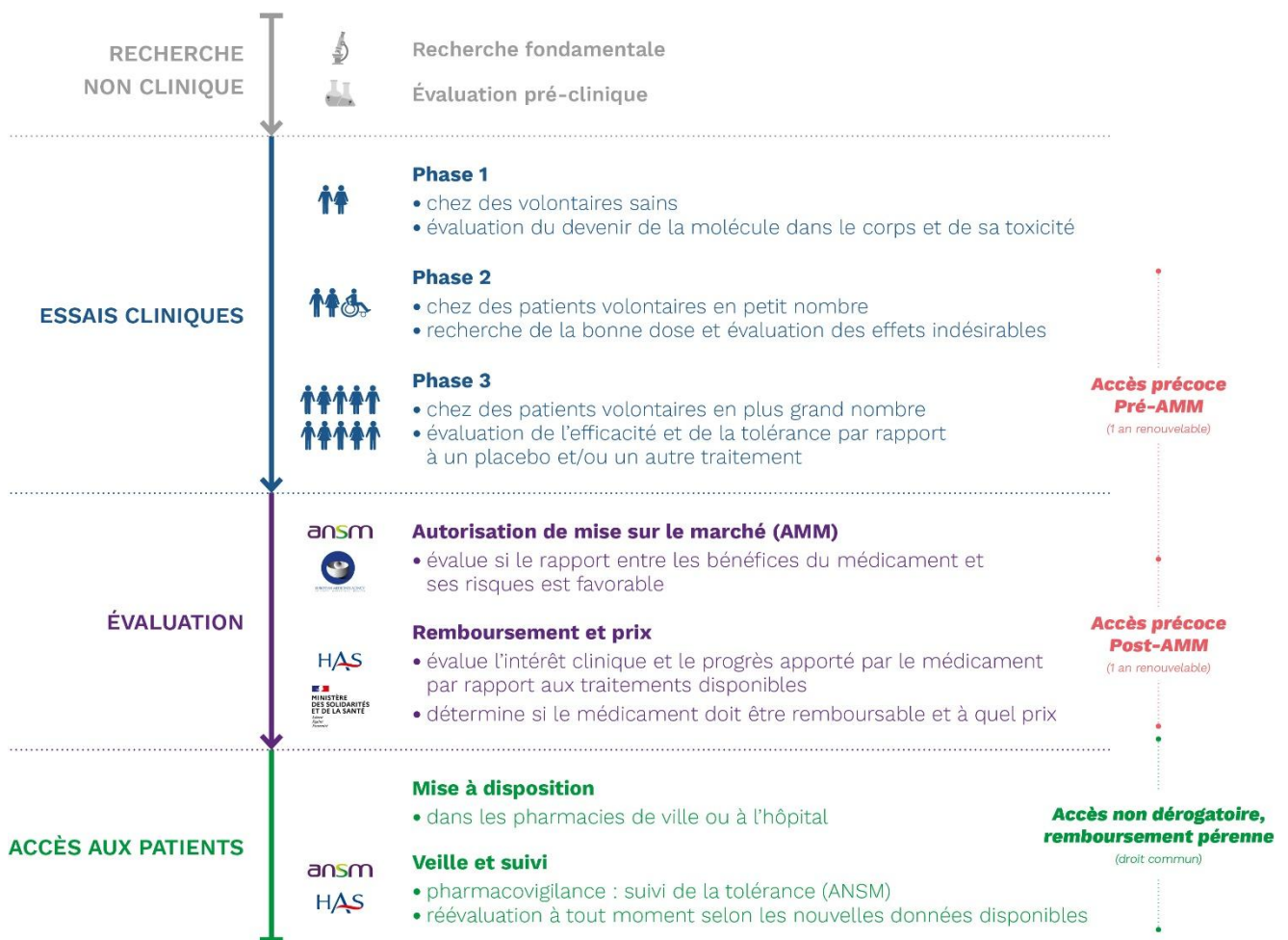
Ce parcours, depuis le début de la recherche fondamentale jusqu'à l'autorisation de mise sur le marché et la décision de remboursement et de prix, prend plusieurs années (voir schéma ci-dessous).

Une autorisation d'accès précoce permet à des personnes qui en ont un besoin urgent de prendre un médicament sans attendre qu'il ait franchi les dernières étapes.

C'est une solution pour qu'une personne qui a une maladie grave, rare ou invalidante reçoive rapidement un médicament lorsqu'il n'existe pas d'autre traitement approprié pour elle et que son état de santé ne permet pas d'attendre.

Les médicaments prescrits en accès précoce sont présumés innovants, ils sont susceptibles d'apporter un changement positif important aux personnes qui le prennent. Il s'agit par exemple du premier médicament disponible pour soigner cette maladie ou d'une nouvelle façon de prendre un traitement (par exemple des comprimés plutôt qu'une perfusion).

³ Une « indication » est la maladie ou les symptômes que le médicament est capable de traiter.



Cette prescription en accès précoce est dite *dérogatoire*, ce qui veut dire que c'est une autorisation exceptionnelle accordée en dehors des règles habituelles qui s'appliquent aux médicaments en général.

L'accès précoce va de pair avec le recueil obligatoire de données pour s'assurer que le médicament est sûr et efficace en conditions réelles d'utilisation. Ces données sont recueillies par le laboratoire pharmaceutique auprès des médecins qui prescrivent le médicament, des pharmaciens qui le dispensent et des patients qui le prennent ou des enfants qui le prennent ou de leurs proches. Elles sont transmises de manière anonyme aux autorités de santé pour évaluer le médicament pendant l'accès précoce en vue de son autorisation de mise sur le marché et de son remboursement.

Les médicaments mis à disposition dans ce cadre sont intégralement pris en charge par l'Assurance maladie, sans avance de frais de votre part. Pour connaître les conditions de prise en charge d'éventuels autres frais, comme les déplacements et les hébergements, renseignez-vous auprès de l'équipe médicale qui vous suit / qui suit votre enfant.

Le médicament que l'on vous propose / que l'on propose à votre enfant est-il sûr ? Est-ce que vous courez / est-ce qu'il court des risques en le prenant ?

Même si ce traitement n'a pas encore été totalement évalué et que l'étape des essais cliniques est encore en cours, les premiers résultats des recherches⁴ ont conduit à estimer que l'efficacité et la sécurité de ce médicament étaient fortement présumées dans l'indication considérée.

Un médicament est efficace quand il a des effets bénéfiques pour les personnes qui le prennent.

Un médicament est sûr lorsqu'il est bien toléré et n'a pas d'effets indésirables trop importants. Les effets indésirables sont les conséquences inattendues et désagréables du traitement (douleurs, nausées, diarrhée, etc.).

Ainsi, il est très probable que les effets indésirables de ce médicament ne soient pas trop importants par rapport au bénéfice attendu.

Cependant, dans le cas d'un médicament disposant d'une autorisation d'accès précoce, on ne sait pas encore tout sur les effets indésirables et l'efficacité du médicament dans l'indication considérée. Par conséquent, les risques pris par le patient sont plus grands pour ce médicament que pour les médicaments déjà commercialisés.

Vous pouvez en parler avec votre médecin / le médecin qui suit votre enfant. N'hésitez pas à poser toutes vos questions. Il vous donnera des informations sur les bénéfices et effets attendus de ce médicament dans votre situation / la situation de votre enfant, sur ses avantages, mais aussi sur les risques, les incertitudes ou les inconvénients (effets secondaires, contraintes de prise, etc.).

Pour les patients mineurs : Votre enfant, en outre, a le droit d'être informé d'une manière adaptée. Le médecin et l'équipe ont le devoir de créer les meilleures conditions pour ce dialogue et de répondre à toutes les questions de votre enfant souhaite poser.

Vous pouvez aussi, en complément de ces informations, prendre connaissance de la notice du médicament dans sa boîte s'il y en a une ou sur le site internet de l'Agence nationale du médicament et des produits de santé (ANSM) - <https://ansm.sante.fr>

Vous pouvez noter ici ce qui est important pour vous / pour votre enfant et pour vous (les questions que vous voulez poser à votre médecin, ce que vous ne voulez pas oublier de lui dire, etc.).

Voici les questions que certaines personnes ont posées à leur médecin :

- Que signifie être obligé de recueillir des données ? (voir plus loin, paragraphe « A quoi cela vous engage-t-il ») ;
- Existe-t-il d'autres traitements disponibles pour moi / pour mon enfant ?
- Quelle différence avec un essai clinique ?

⁴ Il s'agit de recherches impliquant la personne humaine à des fins commerciales auxquelles il a été procédé en vue de la demande d'autorisation de mise sur le marché.

Vous êtes libre d'accepter ou de refuser la prescription de ce médicament. Votre enfant doit avoir été informé de façon adaptée.

Après avoir échangé avec votre médecin / le médecin qui suit votre enfant et avec votre enfant, c'est à vous de décider. Vous pouvez prendre le temps de réfléchir et faire appel si besoin à la personne de confiance que vous avez désignée. À tout moment, vous avez le droit de changer d'avis et de demander à ne plus prendre ce médicament / que votre enfant ne prenne plus ce médicament. Il faut alors en informer votre médecin / le médecin qui suit votre enfant le plus tôt possible.

L'équipe qui vous suit / qui suit votre enfant doit vous apporter / lui apporter la même qualité de soins, quelle que soit votre décision. Vous ne serez pas pénalisé / votre enfant ne sera pas pénalisé en aucun cas.

En pratique, comment allez-vous recevoir ce médicament / comment votre enfant va-t-il recevoir ce médicament ?

La présentation d'un médicament et son utilisation varient d'un médicament à l'autre : en perfusion, en gélules ou comprimés à avaler, en injection, en inhalations, etc. Demandez des précisions à votre médecin / au médecin qui suit votre enfant ou reportez-vous à la notice du médicament dans sa boîte s'il y en a une ou sur le site de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) - <https://ansm.sante.fr>.

L'utilisation de ce médicament est très encadrée, très précise. Si vous prenez / votre enfant prend ce médicament à domicile, il est important :

- de respecter les préconisations qui vous ont été données pour le prendre et le conserver (certains médicaments doivent être conservés au réfrigérateur, sont à prendre à distance des repas, etc.) ;
- de demander des précisions sur le lieu où vous pourrez le trouver. Les médicaments en accès précoce ne sont pas disponibles dans les pharmacies de ville, mais seulement dans des hôpitaux. Au besoin, demandez à l'équipe qui vous suit / qui suit votre enfant si le médicament peut être disponible dans un hôpital près de chez vous.

JASCAYD (BI 1015550) 9 mg, comprimés pelliculés

Comprimés pelliculés jaune clair, de forme ovale, biconvexe (d'environ 9,5 x 4,6 mm de longueur et de largeur) portant le logo de l'entreprise Boehringer Ingelheim sur une face et la mention gravée « F9 » sur l'autre face.

JASCAYD (BI 1015550) 18 mg, comprimés pelliculés

Comprimés pelliculés rouge clair, de forme ovale, biconvexe (d'environ 12 x 5,9 mm de longueur et de largeur) portant le logo de l'entreprise Boehringer Ingelheim sur une face et la mention gravée « F18 » sur l'autre face.

Chaque kit contient 56 comprimés pelliculés.

Tenir hors de la vue et de la portée des enfants.

A conserver dans l'emballage d'origine.

Ce médicament ne nécessite pas de précautions particulières de conservation concernant la température.

À quoi cela engage-t-il ? Quelles seront les contraintes ?

Comme il y a peu de recul sur le médicament qui vous est proposé / qui est proposé à votre enfant, son utilisation précoce est observée avec attention pour mieux l'évaluer et le connaître. Cette surveillance est décrite en détail dans le protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD) disponible sur le site internet de la Haute Autorité de santé (HAS), de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) et du ministère chargé de la Santé (voir les adresses des sites dans la partie « Pour en savoir plus »).

Votre retour / celui de votre enfant sur ce traitement est essentiel. C'est pourquoi votre avis sur ce médicament et les effets qu'il a sur vous / sur votre enfant sera recueilli de deux façons : à chaque visite avec votre médecin / le médecin qui suit votre enfant et entre les visites.

À chaque consultation

- ➔ Votre médecin / le médecin qui suit votre enfant va vous poser des questions sur la façon dont vous vous prenez ce médicament / dont votre enfant prend ce médicament et rassembler des données à caractère personnel sur votre / sa santé et vos / ses habitudes de vie. Pour plus de détails sur les données à caractère personnel recueillies et vos droits, vous pouvez lire le document intitulé « Accès précoce à un médicament - Traitement des données à caractère personnel » (voir en fin de document la rubrique « Pour en savoir plus »).

Chez vous, entre les consultations

- ➔ La qualité de vie en général avec le médicament est une information également très importante. Vous devrez remplir un questionnaire, en ligne ou sous format papier, qui porte sur votre qualité de vie avec le médicament : vos impressions sur le traitement, comment vous vous sentez, ce que le traitement vous apporte comme changement, etc. La forme du questionnaire, le rythme et les conseils pratiques pour le remplir vous seront transmis par l'équipe de soins. Pour les patients mineurs : les impacts de la situation de santé avec le traitement sont-ils sensibles sur des domaines tels que la vie scolaire, familiale, les activités possibles, etc. ? Ces retours sont importants, vous ou votre enfant pouvez à tout moment les rapporter au médecin.

Par ailleurs, il est important que vous déclariez les effets indésirables du médicament, c'est-à-dire les conséquences inattendues et désagréables du traitement que vous pourriez ressentir / que votre enfant pourrait ressentir (douleurs, nausées, diarrhées, etc.).

En pratique

Si vous ne vous sentez pas comme d'habitude / si votre enfant ne se sent pas comme d'habitude ou en cas de symptôme nouveau ou inhabituel : parlez-en à votre médecin / le médecin qui le suit, 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 accès précoce, directement via le système national de déclaration - site internet : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>.

Partager l'expérience de ce traitement, permet de faire avancer les connaissances sur ce médicament, ce qui sera très utile dans la perspective de sa commercialisation éventuelle.

Lorsque l'on vous prescrit / lorsque l'on prescrit à votre enfant un médicament dans le cadre d'un accès précoce, vous n'entrez pas / votre enfant n'entre pas dans un essai clinique. L'objectif principal est de vous / le soigner et non de tester le médicament.

Il n'y aura donc pas à faire d'examen supplémentaires en plus de ceux prévus dans la prise en charge habituelle.

Combien de temps dure une autorisation d'accès précoce à un médicament ?

Une autorisation d'accès précoce est toujours temporaire, dans l'attente que le médicament puisse être commercialisé et remboursé.

L'autorisation d'accès précoce à un médicament avant son autorisation de mise sur le marché est délivrée pour une durée d'un an, renouvelable tous les ans jusqu'à sa prise en charge financière pérenne par l'Assurance maladie.

Elle peut être retirée ou suspendue dans des cas très particuliers, en fonction des nouvelles données, à la demande du laboratoire pharmaceutique ou des autorités de santé (pour plus d'informations sur ces retraits ou suspensions, reportez-vous au [guide intitulé « Accès précoce des médicaments : accompagnement des laboratoires » disponible sur le site de la Haute Autorité de santé](#)).

Que se passe-t-il si l'autorisation est suspendue ou retirée ?

Dans le cas où l'autorisation d'accès précoce de votre médicament / du médicament de votre enfant serait retirée ou suspendue alors qu'il vous / lui apporte des bénéfices, votre médecin / son médecin pourra quand même continuer à vous le prescrire / à le lui prescrire, si vous le souhaitez, pendant un an maximum à compter de la date de l'arrêté du ministre des Solidarités et de la Santé qui acte la fin de sa prise en charge financière par l'Assurance maladie.

Toutefois, ceci n'est pas possible si de nouvelles informations montrent que le médicament n'est pas assez sûr.

Traitement des données à caractère personnel

Le traitement par un médicament prescrit dans le cadre d'un accès précoce implique le recueil de données à caractère personnel concernant votre santé / la santé de votre enfant.

Vous trouverez des informations complémentaires relatives à vos droits / ceux de votre enfant dans la rubrique suivante : [« Accès précoce à un médicament – Traitement des données à caractère personnel »](#).

Pour en savoir plus

- ➔ Notice du médicament que vous allez prendre ([à consulter sur le site de l'ANSM](#))
- ➔ Décision de la HAS sur cette autorisation d'accès précoce ([disponible sur le site de la HAS](#))
- ➔ Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données de votre médicament (en annexe de la décision de la HAS)
- ➔ [Informations générales sur les autorisations en accès précoce des médicaments](#)
- ➔ [Infographie sur le dispositif de l'accès précoce aux médicaments](#)

Des associations de patients impliquées dans la maladie qui vous concerne / qui concerne votre enfant peuvent vous apporter aide et soutien. Renseignez-vous auprès de l'équipe médicale qui vous suit / qui suit votre enfant.

L'industriel peut ici préciser des noms d'associations s'il en a connaissance.

- Association Fibroses Pulmonaires France (AFPF)
- Association des Sclérodermiques de France (ASF)
- Association Française des Polyarthritiques et des rhumatismes inflammatoires chroniques (AFPric)
- Association nationale de défense contre la polyarthrite rhumatoïde (Andar)

Ce document a été élaboré par la Haute Autorité de santé et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé, en collaboration avec des membres d'associations de patients, membres de France Assos Santé, France Lymphome Espoir, le TRT5-CHV et Eurordis ; il a été relu par des associations de patients & d'usagers, des professionnels de santé et des entreprises du médicament concernées par l'accès précoce aux médicaments

Note d'information à destination des patients sur le traitement des données à caractère personnel

La conformité de la présente note d'information à la réglementation applicable en matière de protection des données à caractère personnel⁵ relève de la responsabilité du laboratoire Boehringer Ingelheim France.

Un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce vous a été prescrit / a été prescrit à votre enfant. Ceci implique un traitement de données à caractère personnel sur votre santé / sur la santé de votre enfant. Ces données à caractère personnel sont des informations qui portent sur vous / votre enfant, votre / sa santé, vos / ses habitudes de vie.

Ce document vous informe sur les données à caractère personnel qui sont recueillies et leur traitement, c'est-à-dire l'utilisation qui en sera faite. Le responsable du traitement des données est Boehringer Ingelheim France, laboratoire pharmaceutique titulaire de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament JASCAYD (nérandomilast).

Boehringer Ingelheim France s'engage à assurer la sécurité et la confidentialité de vos données à caractère personnel.

À quoi vont servir ces données ?

Pour pouvoir obtenir une autorisation d'accès précoce, un médicament doit remplir plusieurs critères : présenter plus de bénéfices que de risques, être présumé innovant, etc⁶. Vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant et en particulier les informations sur votre / sa qualité de vie avec le traitement, permettront d'évaluer en continu si ces critères sont toujours remplis.

À terme, elles permettront aussi d'évaluer le médicament en vue de sa prise en charge par l'Assurance maladie.

Vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant pourront-elles être réutilisées par la suite ?

Vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant pourront également être utilisées ensuite pour faire de la recherche, dans le cadre d'études ou de l'évaluation dans le domaine de la santé.

Le cas échéant, vous en serez informé et vous avez la possibilité de vous opposer à cette réutilisation de vos données à caractère personnel / des données à caractère personnel de votre enfant et cela, à tout moment.

⁵ Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données (RGPD) et de la loi n°78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés (loi « Informatique et Libertés ») modifiée.

⁶ Pour en savoir plus sur ces critères, voir le [site de la HAS](#).

Cette recherche se fera dans les conditions autorisées par le Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données (RGPD) et la loi n°78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés modifiée dite loi « informatique et libertés » et après accomplissement des formalités nécessaires auprès de la CNIL. Dans ce cadre, elles pourront être utilisées de manière complémentaire avec d'autres données vous concernant / concernant votre enfant. Cela signifie que vos / ses données à caractère personnel collectées au titre de l'accès précoce 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 / votre enfant peut s'opposer à cette réutilisation à des fins de recherche auprès du médecin prescripteur du médicament en accès précoce.

Les informations relatives à une nouvelle recherche à partir de vos / ses données seront publiées sur le portail de transparence du laboratoire à l'adresse suivante : <https://www.boehringer-ingelheim.com/fr/propos/ethique-et-compliance/registre-des-recherches-avec-traitement-de-donnees-personnelles>.

Ces informations seront également disponibles sur le site de la Plateforme des données de santé qui publie, sur demande du laboratoire Boehringer Ingelheim, un résumé du protocole de recherche pour tous les projets qui lui sont soumis : <https://www.health-data-hub.fr/projets>. Cela étant dit, les projets de recherche ne sont pas toujours publiés sur la Plateforme des données de santé.

Sur quelle loi se fonde le traitement des données ?

Ce traitement de données est fondé sur une obligation légale à la charge du laboratoire, responsable du traitement, (article 6.1.c du [RGPD](#)) telle que prévue aux articles [L. 5121-12 et suivants du Code de la santé publique](#) relatifs au dispositif d'accès précoce aux médicaments.

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 / le médecin qui suit votre enfant et le pharmacien qui vous / lui a donné le médicament seront amenés à collecter les données à caractère personnel suivantes autant que de besoin aux fins de transmission au laboratoire pharmaceutique :

- votre identification / l'identification de votre enfant : numéro, les trois premières lettres de votre / son nom et les deux premières lettres de votre / son prénom, sexe, poids, taille, âge ou année et mois de naissance / date de naissance complète dans un contexte pédiatrique ;
- les informations relatives à votre / son état de santé : notamment l'histoire de votre / sa maladie, vos / ses antécédents personnels ou familiaux, vos / ses autres maladies ou traitements ;
- les informations relatives aux conditions d'utilisation du médicament impliquant notamment : l'identification des professionnels de santé vous / le prenant en charge (médecins prescripteurs et pharmaciens dispensateurs, etc.), vos autres traitements / les autres traitements de votre enfant, 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 inattendues et désagréables du traitement que vous pourriez / votre enfant pourrait ressentir : douleur, nausées, diarrhées, etc.) ;
- les motifs des éventuels arrêts de traitement.

Sont également collectées :

- la consommation de tabac.

Pour certains traitements, des données pourront être collectées auprès de vos proches (partenaire, ascendance, descendance, etc.) / des proches de votre enfant (parents, etc.), par exemple l'efficacité et la tolérance du traitement ou la qualité de vie de l'aidant.

Vous pourrez également être invité à compléter vous-même des questionnaires relatifs à votre qualité de vie / à la qualité de vie de votre enfant.

Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités de Boehringer Ingelheim France et ses éventuels sous-traitants⁷ sous une forme pseudonymisée. Vous ne serez / votre enfant ne sera identifié que par les trois premières lettres de votre / son nom et les deux premières lettres de votre / son prénom, ainsi que par votre / son âge.

Vos / ses données pourront également être transmises au personnel habilité des autres sociétés du groupe Boehringer Ingelheim auquel appartient Boehringer Ingelheim France.

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 Boehringer Ingelheim France à la HAS, aux ministres chargés de la Santé et de la Sécurité sociale et à l'Agence nationale de la sécurité des médicaments ainsi qu'au centre régional de pharmacovigilance désigné pour assurer au niveau national le suivi de l'accès précoce.

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 / d'identifier votre enfant.

⁷ Ces sous-traitants peuvent être des prestataires de services informatiques (hébergement, maintenance,...), des intégrateurs de logiciels, des sociétés de sécurité informatique, des entreprises de service du numérique ou anciennement sociétés de services et d'ingénierie en informatique (SSII) qui ont accès aux données, des agences de marketing ou de communication qui traitent des données personnelles pour le compte de clients et plus généralement, tout organisme offrant un service ou une prestation impliquant un traitement de données à caractère personnel pour le compte d'un autre organisme, un organisme public ou une association peut également constituer un sous-traitant.

Où vos données / les données de votre enfant sont-elles conservées ?

Aux fins d'obtenir l'autorisation d'accès précoce pour le médicament JASCAYD (nérandomilast), le laboratoire Boehringer Ingelheim France pourra conserver vos données / les données de votre enfant.

Ces données peuvent être conservées dans un entrepôt de données de santé. Les entrepôts de données de santé sont des bases de données destinées à être utilisées notamment à des fins de recherches, d'études ou d'évaluations dans le domaine de la santé.

Dans l'hypothèse où vos / ses données sont conservées dans un entrepôt de données de santé, le laboratoire Boehringer Ingelheim France vous en informera explicitement et vous indiquera le lien vers le portail de transparence dédié.

Le laboratoire conservera vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant dans l'union européenne.

Combien de temps sont conservées les données ?

Vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant sont conservées pendant une durée de deux ans pour une utilisation active, c'est-à-dire le temps que le laboratoire obtienne l'autorisation de mise sur le marché, le cas échéant. Les données seront ensuite archivées durant toute la durée de l'autorisation de mise sur le marché du produit et jusqu'à 10 ans après la date d'expiration de l'autorisation. À l'issue de ces délais, vos données / les données de votre enfant seront supprimées ou anonymisées.

Les données seront-elles publiées ?

La Haute Autorité de santé et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé publient sur leur 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 / d'identifier votre enfant.

Quels sont vos droits et vos recours possibles / les droits et les recours possibles de votre enfant ?

Le médecin qui vous a prescrit / Le médecin qui a prescrit à votre enfant le médicament en accès précoce est votre premier interlocuteur pour faire valoir vos droits sur vos données à caractère personnel.

Vous ou votre enfant pouvez demander à ce médecin :

- à consulter les données à caractère personnel ;
- à les modifier ;
- à limiter le traitement de certaines données.

Si vous acceptez / votre enfant accepte d'être traité par un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce, vous ne pouvez pas vous opposer / votre enfant ne peut pas s'opposer à la transmission des données listées ci-dessus ou demander leur suppression. Le droit à la portabilité n'est pas non plus applicable à ce traitement.

Vous ou votre enfant pouvez cependant vous opposer à la réutilisation de vos données pour de la recherche.

Vous ou votre enfant pouvez contacter directement votre médecin / le médecin de votre enfant pour exercer ces droits.

Vous ou votre enfant pouvez, par ailleurs, contacter le délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire à l'adresse suivante protection_donnees@boehringer-ingenelheim.com pour exercer ces droits, ce qui implique la transmission de votre identité au laboratoire.

Vous ou votre enfant pouvez également faire une réclamation auprès de la Commission nationale de l'informatique et des libertés (CNIL) notamment sur son site internet www.cnil.fr.

Note d'information à destination des médecins prescripteurs et des pharmaciens sur le traitement des données à caractère personnel

La conformité de la présente note d'information à la réglementation applicable en matière de protection des données à caractère personnel⁸ relève de la responsabilité du laboratoire Boehringer Ingelheim France.

Ce document vous informe sur la collecte et le traitement (c'est-à-dire l'utilisation) de vos données à caractère personnel recueillies lorsque vous remplissez avec le patient la fiche d'accès au traitement, la fiche d'instauration de traitement, la fiche de suivi de traitement ou la fiche d'arrêt définitif de traitement. Le responsable du traitement des données est Boehringer Ingelheim France, laboratoire pharmaceutique titulaire de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament JASCAYD.

Boehringer Ingelheim France s'engage à assurer la sécurité et la confidentialité de vos données à caractère personnel.

À quoi vont servir vos données ?

Le traitement de vos données à caractère personnel vise à :

- assurer le suivi de la collecte des données à caractère personnel des patients dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament JASCAYD en vue de garantir une utilisation de ce médicament conforme au présent protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données ;
- recueillir des informations sur les conditions d'utilisation du médicament en accès précoce ;
- assurer la gestion des contacts avec les professionnels de santé intervenant dans le cadre du suivi des patients bénéficiant des médicaments sans accès précoce et les personnels agissant sous leur responsabilité ou autorité.

Vos données à caractère personnel pourront-elles être réutilisées par la suite ?

Vos données à caractère personnel sont susceptibles d'être réutilisées par la suite pour assurer les finalités précitées. Une telle réutilisation concerne notamment votre spécialité médicale.

Cette réutilisation se fera dans les conditions autorisées par le Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données

⁸ Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données (RGPD) et de la loi n°78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés (loi « Informatique et Libertés ») modifiée.

(RGPD) et la loi n°78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés modifiée dite loi « informatique et libertés » et après accomplissement des formalités nécessaires auprès de la CNIL, le cas échéant.

Vous pouvez vous opposer à cette réutilisation auprès de **Boehringer Ingelheim France**, titulaire de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament .

Les informations relatives à une réutilisation de vos données seront également disponibles sur le site de la Plateforme des données de santé qui publie, sur demande du laboratoire **Boehringer Ingelheim France**, un résumé du protocole de recherche pour tous les projets qui lui sont soumis : <https://www.health-data-hub.fr/projets>. Cela étant dit, les projets de recherche ne sont pas toujours publiés sur la Plateforme des données de santé.

Sur quelle loi se fonde le traitement des données ?

Ce traitement de données est fondé sur une obligation légale à la charge du laboratoire, responsable du traitement, (article 6.1.c du [RGPD](#)) telle que prévue aux articles [L. 5121-12 et suivants du Code de la santé publique](#) relatifs au dispositif d'accès précoce aux médicaments.

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 ?

Aux fins d'assurer le suivi de la collecte des données à caractère personnel des patients dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament JASCAYD, **Boehringer Ingelheim France** collectera des données permettant de vous identifier telles que votre nom, votre prénom, votre spécialité, votre numéro d'inscription au répertoire partagé des professionnels de santé (RPPS), votre numéro d'inscription au Fichier National des Établissements Sanitaires et Sociaux (FINESS) et vos coordonnées professionnelles (numéro de téléphone et email).

Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités de **Boehringer Ingelheim France** et ses éventuels sous-traitants⁹ .

Vos données pourront également être transmises au personnel habilité des autres sociétés du groupe **Boehringer Ingelheim** auquel appartient **Boehringer Ingelheim France**.

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 **Boehringer Ingelheim France** à la HAS, aux ministres chargés de la Santé et de la Sécurité sociale

⁹ Ces sous-traitants peuvent être des prestataires de services informatiques (hébergement, maintenance,...), des intégrateurs de logiciels, des sociétés de sécurité informatique, des entreprises de service du numérique ou anciennement sociétés de services et d'ingénierie en informatique (SSII) qui ont accès aux données, des agences de marketing ou de communication qui traitent des données personnelles pour le compte de clients et plus généralement, tout organisme offrant un service ou une prestation impliquant un traitement de données à caractère personnel pour le compte d'un autre organisme, un organisme public ou une association peut également constituer un sous-traitant.

et à l'Agence nationale de la sécurité des médicaments ainsi qu'au centre régional de pharmacovigilance désigné pour assurer au niveau national le suivi de l'accès précoce.

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.

Où vos données sont-elles conservées ?

Aux fins d'obtenir l'autorisation d'accès précoce pour le médicament JASCAYD, le laboratoire Boehringer Ingelheim France pourra conserver vos données pendant une durée de deux ans suivant la publication par la HAS, le cas échéant après consultation de l'ANSM, du résumé du dernier rapport de synthèse prévu à l'article R. 5121-70-1 du CSP..

Ces données peuvent être conservées dans un entrepôt de données de santé. Les entrepôts de données de santé sont des bases de données destinées à être utilisées notamment à des fins de recherches, d'études ou d'évaluations dans le domaine de la santé.

Dans l'hypothèse où vos données sont conservées dans un entrepôt de données de santé, le laboratoire Boehringer Ingelheim France vous en informera explicitement et vous indiquera le lien vers le portail de transparence dédié.

Le laboratoire conservera vos données à caractère personnel dans l'union européenne.

Combien de temps sont conservées vos données ?

Vos données à caractère personnel sont conservées pendant une durée de deux ans pour une utilisation active. Les données seront ensuite archivées durant toute la durée de l'autorisation de mise sur le marché du produit et jusqu'à 10 ans après la date d'expiration de l'autorisation. À l'issue de ces délais, vos données seront supprimées ou anonymisées.

Quels sont vos droits et vos recours possibles ?

Conformément à la réglementation applicable (en ce y compris le RGPD et la loi informatique et libertés), vous disposez, dans les cas prévus par la réglementation applicable, d'un droit d'accès à vos données à caractère personnel, d'un droit de rectification de ces données, d'un droit visant à limiter le traitement de ces données, d'un droit d'opposition au traitement de ces données et d'un droit à l'effacement.

Pour exercer l'un de ces droits, vous pouvez contacter le délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire à l'adresse suivante protection_donnees@boehringer-ingelheim.com. Cette procédure implique la transmission de votre identité au laboratoire.

Vous pouvez également introduire une réclamation auprès de 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-RD auprès du laboratoire pour les médicaments ne disposant pas d'une AMM ou directement aux CRPV dont le patient

dépend sur le plan géographique pour les médicaments disposant déjà d'une AMM, préférentiellement directement sur portail de signalement : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>, en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.

D'autres supports de déclaration peuvent être utilisés, tels qu'un courrier, un compte rendu d'hospitalisation, un fax, un courriel ou un appel téléphonique, adressés directement au CRPV du territoire duquel dépend le professionnel de santé. La liste indiquant l'adresse et les départements couverts par chaque CRPV est disponible sur le site Internet de l'ANSM.

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 portail de signalement : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/> en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.

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.