
Protocole d'Utilisation

Thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP)

Accès compassionnel –IDHIFA® 50 mg et 100 mg, comprimés pelliculés (énasidénib)

Octobre 2025 – Version 4

La demande	
Spécialité	IDHIFA® 50 mg et 100 mg, comprimés pelliculés
DCI	énasidénib
Critères d'octroi	Leucémie aiguë myéloïde de l'adulte en rechute/réfractaire présentant les critères suivants : • Rechute cytologique confirmée • Présence de la mutation IDH2 • À partir de la 3e ligne pour les patients éligibles à une chimiothérapie d'induction intensive (patients ayant reçu une 1re ligne incluant un protocole d'induction intensive à base d'anthracycline + cytarabine et une 2e ligne correspondant à un traitement de réinduction intensif ou de faible intensité) • À partir de la 2e ligne pour les patients non éligibles à une chimiothérapie d'induction intensive • Non éligible à un essai clinique • En l'absence d'alternative • Monothérapie
Périodicité des rapports de synthèse	Tous les 12 mois
Renseignements administratifs	
Contact laboratoire titulaire ou CRO	<u>Coordonnées du Laboratoire exploitant :</u> BRISTOL MYERS SQUIBB SAS Le Cristalia. 3, rue Joseph-Monier. BP 325 92506 Rueil-Malmaison France

	Contact : Cellule AAC IDHIFA® Email : aac.idhifa@alsinova.com Tel : 0 800 94 38 26 Fax : 01 81 93 91 83
Contact à l'ANSM	Guichet usager
CRPV en charge du suivi du médicament en AAC, le cas échéant	CRPV de Paris Fernand Widal
Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire	EUDPO@bms.com

Dernière date de mise à jour : 05/05/2026

Retrouvez toutes les informations sur ce médicament en AAC :

<https://ansm.sante.fr/documents/reference/referentiel-des-autorisations-dacces-compassionnel>

Glossaire

AAC : Autorisation d'Accès Compassionnel

AMM : Autorisation de Mise sur le Marché

ANSM : Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé

ATU : Autorisation Temporaire d'Utilisation

E-saturne : application de téléservice de demandes d'AAC

RCP : résumé des caractéristiques du produit

NIP : note d'information prescripteur

PUT-SP : protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients

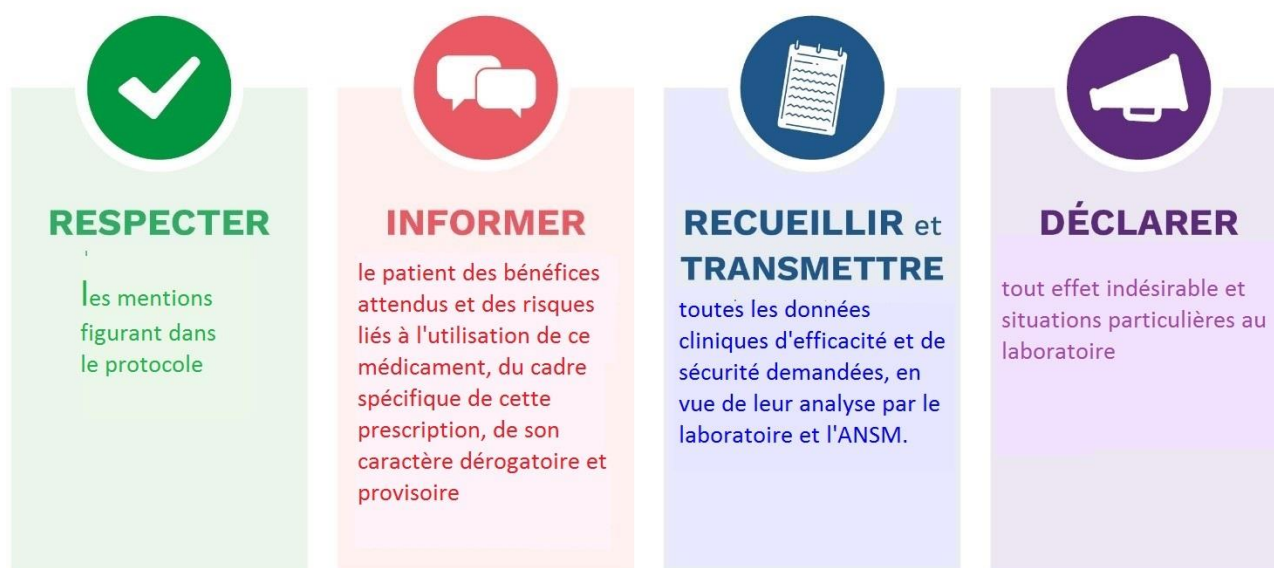
Sommaire

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur	3
Le médicament	3
Calendrier des visites	3
Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients	3
Annexes	3
Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données	3
Annexe 2. Rôle des différents acteurs	3
Annexe 3. Documents d'information à destination des patients avant toute prescription d'un médicament en autorisation d'accès compassionnel : Nom du médicament	3
Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières	3

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur

Vous souhaitez prescrire ou dispenser un médicament disponible au titre d'une autorisation d'accès compassionnel.

Cette autorisation vous engage à



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 compassionnel est toujours temporaire, délivrée pour une durée d'un an maximum et renouvelable. Elle peut être retirée ou suspendue si les conditions qui ont conduit à son octroi ne sont plus remplies ou pour des motifs de santé publique.

Le dispositif des autorisations d'accès compassionnel (AAC) remplace celui des autorisations temporaires d'utilisation (ATU) nominatives. Pour plus d'informations sur le dispositif d'accès compassionnel, veuillez consulter le site internet de l'ANSM (<https://ansm.sante.fr/vos-demarches/professionel-de-sante/demande-dautorisation-daccès-compassionnel>).

L'autorisation d'accès compassionnel est une procédure permettant l'utilisation, à titre exceptionnel, d'un médicament dans une indication précise en l'absence de demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) ou avant la délivrance d'une telle AMM pour ce médicament, dès lors que toutes les conditions suivantes sont remplies :

- la maladie est grave, rare ou invalidante ;
- il n'existe pas de traitement approprié ;
- l'efficacité et la sécurité de ce médicament, pour l'indication considérée, sont présumées favorables au regard des données cliniques disponibles (résultats des essais thérapeutiques) ;

- la mise en œuvre du traitement ne peut être différée.
- le patient ne peut participer à une recherche impliquant la personne humaine
- et, lorsque le médicament fait l'objet d'une recherche impliquant la personne humaine dans l'indication, le laboratoire s'est engagé à demander une autorisation d'accès précoce (= équivalent des anciennes ATU cohorte) auprès de la HAS et de l'ANSM.

L'AAC est subordonnée au respect d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP), présent document, dont les objectifs sont les suivants :

- Apporter aux prescripteurs et aux patients toute l'information pertinente sur le médicament et son utilisation. À cette fin, vous trouverez dans ce document :
 - une description du médicament ainsi que les conditions d'utilisation et de prescription du médicament,
 - des notes d'information que le prescripteur doit remettre au patient avant toute prescription du médicament (voir [annexe 3](#)) ;
- Organiser la surveillance des patients notamment via le recueil des effets indésirables/situations particulières auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe 1
- Recueillir également des données relatives à l'utilisation du médicament en vie réelle afin d'évaluer en continu les critères permettant le maintien du médicament dans le cadre des autorisations d'accès compassionnel. Les prescripteurs et les pharmaciens sont tenus de participer au recueil de ces informations et de les transmettre aux laboratoires via les fiches de suivi médical (cf [annexe 1](#)). Ces informations sont analysées par le laboratoire et transmises à l'ANSM sous la forme d'un rapport périodique de synthèse ; un résumé de ce rapport, validé par l'ANSM en concertation avec le Centre Régional de Pharmacovigilance (CRPV) désigné en charge du suivi national le cas échéant, qui est ensuite publié sur son site Internet et transmis par le laboratoire aux professionnels de santé concernés. Une convention entre le laboratoire et l'établissement peut définir les modalités de dédommagement de l'établissement pour le temps consacré à la collecte de données¹.

¹ Conformément au II de l'article R. 5121-74-5 du Code de la Santé Publique

Le médicament

Spécialité(s) concernée(s)

IDHIFA® 50 mg et 100mg comprimés pelliculés (énasidénib)

Caractéristiques du médicament

Enasidenib (AG-221, CC-90007) est le premier inhibiteur oral sélectif de l'enzyme IDH2 mutée, et représente une nouvelle approche ciblée pour le traitement de la LAM chez les patients présentant cette mutation.

L'inhibition directe de la hausse de l'activité fonctionnelle de la protéine IDH2 mutée dans la LAM limite la production du métabolite oncogène 2-HG et lève le blocage de différenciation des blastes en leucocytes fonctionnels normaux.

Pour plus d'information, consulter le Résumé des Caractéristiques du Produit américain, disponible sur le référentiel des médicaments en accès dérogatoire du site internet de l'ANSM (<https://ansm.sante.fr/tableau-acces-derogatoire/idhifa#>).

Statut d'autorisation de mise sur le marché :

Union Européenne

IDHIFA® n'est pas autorisé dans l'Union Européenne.

Une demande d'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) a été déposée le 1^{er} juin 2018 auprès de l'Agence Européenne du Médicament (EMA) dans la même indication. Le 6 décembre 2019, le laboratoire a retiré sa demande d'AMM ne pouvant répondre aux objections majeures soulevées par le comité des médicaments à usage humain (CHMP) pour supporter le rapport bénéfice/risque positif. Le laboratoire Celgene a informé qu'il n'y aurait pas de conséquence sur les patients inclus dans les essais cliniques ou dans les programmes d'utilisation compassionnelle.

Etats-Unis

Le 1^{er} août 2017, énasidénib a été approuvé aux Etats-Unis sous le nom commercial d'IDHIFA® pour le traitement des patients adultes atteints de la LAM récidivante ou réfractaire (R/R) avec une mutation de l'IDH2 à une dose de 100 mg par jour jusqu'à progression de la maladie ou toxicité inacceptable.

AAC (Autorisation d'Accès Compassionnel) :

IDHIFA® fait l'objet d'Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC, anciennement nommées autorisations temporaires d'utilisation (ATU)) depuis juin 2017 en France.

Le 1^{er} mai 2021, les initiations d'AAC IDHIFA® ont été arrêtées suite à l'annonce des résultats négatifs de l'étude pivotale IDHENTIFY et à l'absence d'AMM Européenne. Pour tous les patients initiés avant cette date et pour lesquels l'efficacité et la sécurité du traitement permettent de justifier sa poursuite, le traitement continue d'être fourni dans le cadre de renouvellement.

Depuis juillet 2025, des échanges ont été engagés entre l'ANSM et le laboratoire Bristol Myers Squibb dans le contexte de demandes d'accès au traitement IDHIFA® et d'un besoin médical non couvert notamment chez des patients adultes atteints de LAM, porteur de la mutation IDH2 en rechute ou réfractaire. En accord avec l'ANSM, la décision a été prise de rouvrir les initiations de traitement par IDHIFA® pour la population de patients correspondant au cadre de l'AMM américaine octroyée par la FDA.

Critères d'octroi

Leucémie aiguë myéloïde de l'adulte en rechute/réfractaire présentant les critères suivants :

- Rechute cytologique confirmée
- Présence de la mutation IDH2
- À partir de la 3e ligne pour les patients éligibles à une chimiothérapie d'induction intensive (patients ayant reçu une 1re ligne incluant un protocole d'induction intensive à base d'anthracycline + cytarabine et une 2e ligne correspondant à un traitement de réinduction intensif ou de faible intensité)
- À partir de la 2e ligne pour les patients non éligibles à une chimiothérapie d'induction intensive
- Non éligible à un essai clinique
- En l'absence d'alternative
- Monothérapie

Les patients ayant reçu un traitement par énasidénib (ou tout autre agent ciblant une mutation IDH2) et n'ayant pas présenté d'absence de réponse documentée, ni de progression sous traitement peuvent être inclus.

Pour les sujets présentant une leucémie aiguë myéloïde secondaire à un syndrome myélodysplasique de haut risque (risque intermédiaire-2 ou risque élevé selon le Revised International Prognostic Scoring System) traité avec un agent hypométhylant (par exemple, azacitidine ou décitabine), la thérapie hypométhylante peut être comptée comme une ligne s'il y a progression de la maladie vers la LAM pendant ou peu après la thérapie hypométhylante (par exemple, dans les 60 jours).

Posologie

La dose recommandée d'IDHIFA® est de 100 mg une fois par jour, jusqu'à progression de la maladie ou toxicité inacceptable.

L'administration d'IDHIFA® se fait par voie orale au cours ou en dehors des repas.

La dose doit être prise à peu près à la même heure chaque jour.

Les comprimés doivent être avalés entiers avec un verre d'eau.

Les comprimés ne doivent pas être croqués, fractionnés ou écrasés

Contre-indications

Se référer au Résumé des Caractéristiques du Produit (RCP) américain, disponible sur le référentiel des médicaments en accès dérogatoire du site internet de l'ANSM (<https://ansm.sante.fr/tableau-acces-derogatoire/idhifa>).

Mises en garde et précautions d'emploi

Se référer au Résumé des Caractéristiques du Produit (RCP) américain, disponible sur le référentiel des médicaments en accès dérogatoire du site internet de l'ANSM (<https://ansm.sante.fr/tableau-acces-derogatoire/idhifa>).

Effets indésirables

Se référer au Résumé des Caractéristiques du Produit (RCP) américain, disponible sur le référentiel des médicaments en accès dérogatoire du site internet de l'ANSM (<https://ansm.sante.fr/tableau-acces-derogatoire/idhifa>).

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.

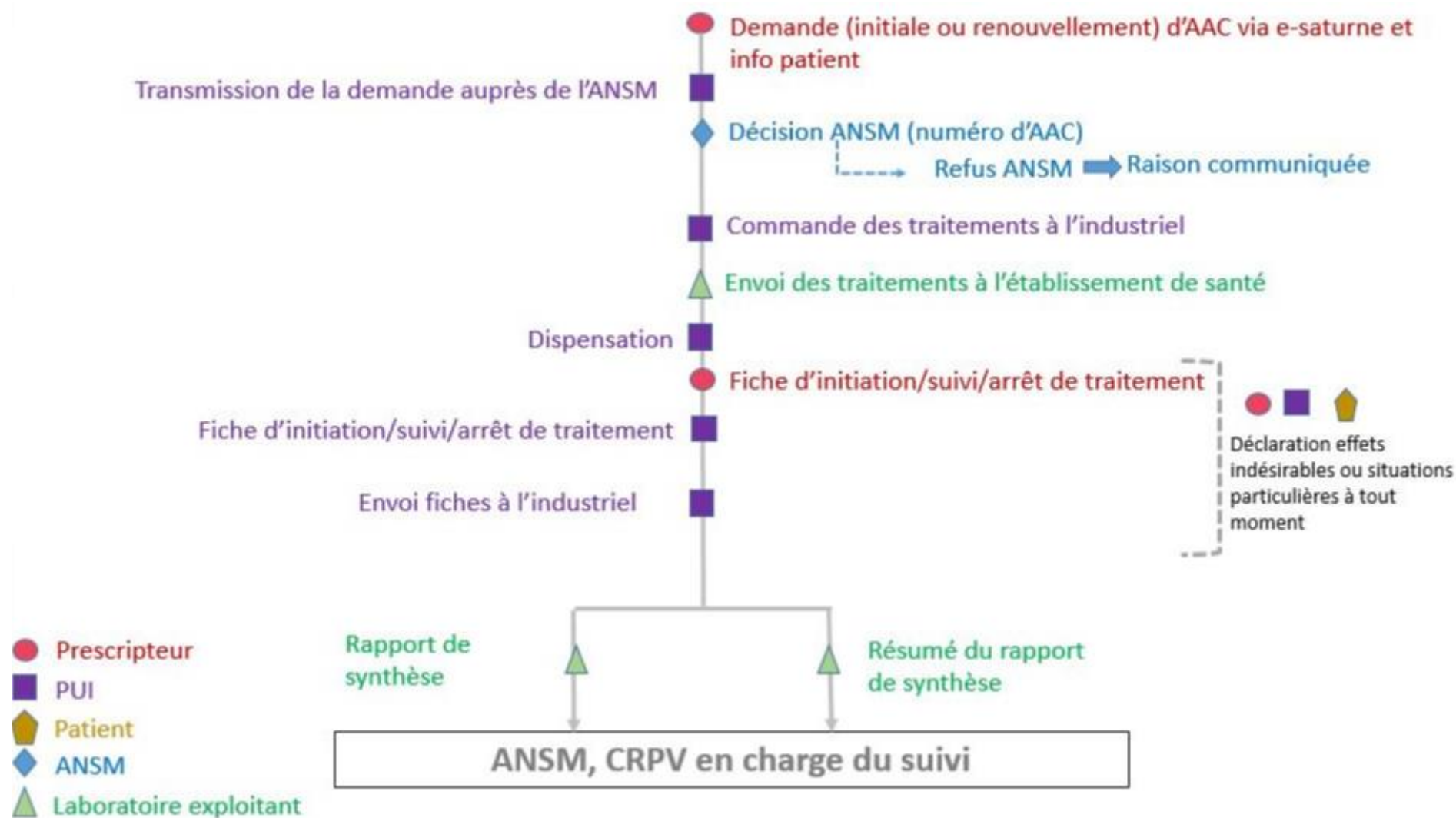
Dans le cadre de l'AAC, IDHIFA® est soumis à prescription hospitalière réservée aux spécialistes en hématologie ou aux médecins compétents en maladies du sang.

Calendrier des visites

	Demande d'autorisation auprès de l'ANSM	Fiche d'initiation de traitement	Suivi du traitement tous les mois pendant 6 mois puis annuel (Fiches de suivi)	Arrêt du traitement (Fiches d'arrêt ou de non initiation)
Remise de la note d'information destinée au patient par le médecin prescripteur	X			
Collecte de données sur les caractéristiques des patients				
Déclaration de conformité aux critères d'octroi du référentiel AAC	X			
Bilan biologique (le cas échéant)	X	X		
Antécédents de traitement et histoire de la maladie	X	X		
Traitements associés contre la leucémie aigüe myéloïde	X	X	X	X
Collecte de données sur les conditions d'utilisation				
Posologie et traitements associés	X	X	X	X
Interruption de traitement			X	X
Collecte de données d'efficacité				
Données de progression/ survie, le cas échéant			X	X
Critère d'efficacité			X	X

Collecte de données de tolérance/situations particulières				
Suivi des effets indésirables/situations particulières			X	X

Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients



Annexes

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

- [Fiche d'initiation de traitement](#)
- [Fiches de suivi de traitement](#)
- [Fiche d'arrêt définitif de traitement ou de non-initiation](#)
- [Fiche de déclaration d'effet indésirable et/ou de situations particulières](#)

La collecte des données sera réalisée au format papier, les fiches sont à transmettre par FAX à la Cellule AAC IDHIFA® au 01 81 93 91 83 ou par mail à l'adresse aac.idhifa@alsinova.com.

Fiche d'initiation de traitement

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Fiche à transmettre à la cellule AAC IDHIFA

Date de la visite :

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : ____ Prénom (2 premières lettres) : ____

N° d'AAC de l'ANSM quand disponible : _____

Numéro patient attribué par la Cellule AAC IDHIFA® : _____

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

Sexe : M ☐ F ☐

L'autorisation d'accès compassionnel ne remplace pas l'essai clinique, le prescripteur doit vérifier que le patient n'est pas éligible à un essai clinique dont les inclusions sont ouvertes en France.

<https://www.clinicaltrialsregister.eu/> ou <https://clinicaltrials.gov/>.

Dans le cas d'impossibilité d'inclure le patient dans un essai clinique en cours dans la situation qui fait l'objet de la demande d'autorisation d'accès compassionnel, précisez les motifs de non-éligibilité à l'essai clinique : _____

Maladie

☐ En lien avec les critères d'octroi

Diagnostic et état du patient

Date du diagnostic de la Leucémie Myéloïde Aiguë : __ / __ / ____

Date de la première rechute __ / __ / ____ Date de la dernière rechute __ / __ / ____

Nombre total de rechutes : | _ | _ |

Leucémie aiguë myéloïde :

- ☐ De novo
☐ Secondaire :

Si secondaire, merci de préciser :

- ☐ Syndromes myélodysplasiques ☐ Néoplasmes myéloprolifératifs
☐ Liés au traitement : ☐ Chimiothérapie ☐ Radiothérapie
☐ Autre : Préciser

Risque cytogénétique (ELN 2017) : ☐ favorable ☐ intermédiaire ☐ défavorable

Traitements antérieurs

Nombre de lignes antérieures de traitement (dont essai clinique) jusqu'à la dernière rechute* :

☐ 1 ☐ 2 ☐ 3 ☐ 4 ☐ >4

*Pour les sujets présentant une LAM secondaire à un syndrome myélodysplasique de haut risque (risque intermédiaire-2 ou risque élevé selon le Revised International Prognostic Scoring System) traité avec un agent hypométhylant (par exemple, azacitidine ou décitabine), la thérapie hypométhylante peut être comptée comme une ligne s'il y a progression de la maladie vers la LAM pendant ou peu après la thérapie hypométhylante (par exemple, dans les 60 jours).

Si le même schéma thérapeutique a été utilisé plusieurs fois, veuillez comptabiliser plusieurs lignes de traitements.

Préciser les comorbidités significatives du patient.

Biologie

Dernier prélèvement sanguin

Date d'examen : -- / -- / --

	Valeur	Unité	Normal	Anormal	Cliniquement significatif (oui/non)
Pourcentage de blastes	Numération dans le sang périphérique :%		☐	☐	☐ oui / ☐ non
	Numération dans la moelle osseuse :%		☐	☐	☐ oui / ☐ non

Avant d'initier un traitement par IDHIFA, il est recommandé de réaliser un bilan biologique comprenant une évaluation des numérations sanguines et des paramètres biochimiques afin de surveiller une éventuelle leucocytose et un risque de syndrome de lyse tumorale. Ces analyses doivent être répétées au minimum toutes les deux semaines pendant au moins les trois premiers mois du traitement pour assurer une surveillance rapprochée et une prise en charge rapide des éventuelles anomalies.

Grossesse :

En raison du risque potentiel pour le fœtus, les patientes en âge de procréer doivent réaliser un test de grossesse avant de commencer à prendre IDHIFA®. Les femmes en âge de procréer doivent utiliser un moyen de contraception efficace pendant le traitement par IDHIFA® et pendant les 2 mois suivant leur dernière dose d'IDHIFA®. IDHIFA® peut affecter le fonctionnement des contraceptifs hormonaux et les rendre moins efficaces. Une méthode contraceptive non hormonale efficace doit être utilisée pendant le traitement par IDHIFA® et pendant 2 mois après la dernière dose d'IDHIFA® si des contraceptifs hormonaux sont utilisés.

Les patients de sexe masculin doivent utiliser une méthode de contraception efficace pendant le traitement par IDHIFA® et pendant les 2 mois suivant leur dernière dose d'IDHIFA®.

Traitement par IDHIFA® 50 mg et 100 mg, comprimés pelliculés (énasidénib)

Posologie et durée envisagée

Posologie initiale proposée pour IDHIFA® :

☐ 100mg par jour ☐ Autre, veuillez préciser :

Traitements associés contre la leucémie aigüe myéloïde *

☐ Oui ☐ Non

Si oui, lesquels : _____

**Ne préciser que les traitements systémiques à visée antitumorale associés à IDHIFA®. Ne pas lister les traitements pour d'autres pathologies concomitantes, ni les prophylaxies associées.*

Concernant l'utilisation du médicament notamment les mises en garde spéciales, précautions d'emploi et contre-indications, veuillez-vous référer à la note d'information du prescripteur, le cas échéant au RCP (étranger) du médicament. Pour plus d'information, consulter le Résumé des Caractéristiques du Produit correspondant à l'indication de traitement : RCP américain pour le traitement des patients adultes atteints de leucémies aiguës myéloïdes en rechute ou réfractaire présentant une mutation IDH2. Ce document est disponible sur le référentiel des médicaments en accès dérogatoire du site internet de l'ANSM (<https://ansm.sante.fr/tableau-acces-derogatoire/idhifa#>)

Engagement du prescripteur

Critères d'octroi

Reflète des critères d'octroi du référentiel

Leucémie aiguë myéloïde de l'adulte en rechute/réfractaire présentant les critères suivants :

- ☐ Rechute cytologique confirmée
- ☐ Présence de la mutation IDH2
- ☐ À partir de la 3e ligne pour les patients éligibles à une chimiothérapie d'induction intensive (patients ayant reçu une 1re ligne incluant un protocole d'induction intensive à base d'anthracycline + cytarabine et une 2e ligne correspondant à un traitement de réinduction intensif ou de faible intensité)
- ☐ À partir de la 2e ligne pour les patients non éligibles à une chimiothérapie d'induction intensive
- ☐ Non éligible à un essai clinique
- ☐ En l'absence d'alternative
- ☐ Monothérapie

Les patients ayant reçu un traitement par énasidenib (ou tout autre agent ciblant une mutation IDH2) et n'ayant pas présenté d'absence de réponse documentée, ni de progression sous traitement peuvent être inclus.

Le prescripteur s'engage à avoir réalisé les bilans biologiques applicables décrits en rubrique « Biologie » et à avoir vérifié le statut contraceptif pour les femmes en âge de procréer ou les patients de sexe masculin.

Rappel : le prescripteur doit attester via e-saturne que la demande d'AAC est conforme aux critères d'octroi d'une AAC pour ce médicament, tels que mentionnés dans le référentiel en vigueur à la date de la présente demande (insérer le lien).

Si non conforme, justification de la demande :

Je soussigné, Dr, confirme être habilité à prescrire IDHIFA® en tant que spécialiste en hématologie ou en tant que médecin compétent en maladies du sang

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

☐ Oui ☐ Non

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom :	Nom/Prénom :
Spécialité :	N° RPPS :
N° RPPS :	
Hôpital :	Hôpital :
☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé	☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé
Numéro FINESS :	Numéro FINESS :
Tel:	Tel:
E-mail:	E-mail:
Date :	Date :
Cachet et signature du médecin :	Cachet et signature du pharmacien :

- Le médecin doit envoyer cette fiche d'initiation **au Pharmacien de l'Etablissement** pour tous les patients, ainsi que la demande d'AAC via e-Saturne.
- Le Pharmacien adresse les documents complétés à l'ANSM
- Après réponse de l'ANSM et réception de l'AAC pour ce patient, le pharmacien :
 - Ajoute le numéro d'AAC sur cette fiche d'initiation
 - Envoie par FAX ou email cette fiche d'initiation + la copie de l'AAC à :

Cellule AAC IDHIFA® Email : aac.idhifa@alsinova.com Tel : 0 800 94 38 26 / Fax : 01 81 93 91 83
--

- La Cellule AAC IDHIFA® envoie au centre un email de validation et le numéro du patient (ou un refus le cas échéant), et joint l'AAC correspondante.

- Après réception de l'e-mail de validation de la Cellule AAC IDHIFA®, le Pharmacien envoie le bon de commande (avec initiales patient et numéro du patient) à :

Service Relations Clients BRISTOL MYERS SQUIBB Email : marchefrance.pharma@bms.com ou Fax : 01 58 83 80 33

Bristol Myers Squibb, et le cas échéant ses sous-traitants, est amené à traiter des données personnelles vous concernant afin de fournir le produit sous l'AAC IDHIFA® à l'établissement dont vous dépendez.

Vous pouvez demander à accéder aux informations qui vous concernent, pour en prendre connaissance, pour les faire rectifier, modifier, supprimer, ou pour vous opposer à leur traitement. Pour exercer ces droits, vous devez en faire la demande auprès du délégué à la protection des données de Bristol-Myers Squibb SAS disponible à l'adresse EUDPO@BMS.COM. Si vous n'êtes pas satisfait de la prise en charge de votre demande ou de la décision prise, vous avez le droit de contacter l'autorité chargée de la protection des données : la Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés (CNIL), 3 Place de Fontenoy - TSA 80715 - 75334 PARIS CEDEX 07, France.

Pour plus d'information sur la manière dont BMS traite vos données personnelles, vous pouvez consulter notre notice d'information relative aux professionnels de santé à l'adresse suivante : <https://www.bms.com/fr/privacy-policy.html>

Fiche de suivi de traitement

(Visites après la première administration)

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Fiche à transmettre à la cellule AAC IDHIFA une fois par mois pendant les 6 premiers mois puis une fois par an

Date de la visite : __/__/__

Visite de suivi n° à compléter : _____

...

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : ____ Prénom (2 premières lettres) : ____

Date de naissance (mois, année) : __/__/__

Sexe : ☐ M ☐ F

N° d'AAC de l'ANSM : _____

Pour les renouvellements d'AAC, n° de l'AAC précédente : _____

Numéro patient attribué par la Cellule AAC IDHIFA® : _____

Conditions d'utilisation

Date de la première administration : __/__/__

Posologie et durée prescrite

Posologie actuelle :

☐ 100 mg par jour

☐ 50 mg par jour

Autre, veuillez préciser :

Y a-t'il eu des modifications depuis la dernière fiche transmise (initiation/suivi) ? ☐ Non ☐ Oui

Si oui, préciser la raison* : _____

* En cas d'effet indésirable et/ou de situation particulière, merci de compléter la fiche de déclaration des effets indésirables en annexe 1.

Préciser la modification du traitement :

☐ Diminution de dose

☐ Augmentation de dose

☐ Report de dose

☐ Arrêt complet du traitement par IDHIFA® (merci de compléter la fiche d'arrêt de traitement)

☐ Survenue d'un effet indésirable (merci de compléter la fiche de déclaration des effets indésirables)

☐ Situation particulière

Traitements associés contre la leucémie aigüe myéloïde*

A ne compléter que si différent de la fiche d'initiation

☐ Oui ☐ Non ;

Si oui, lesquels : _____

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

Si oui, préciser

☐ Arrêt des traitements associés contre la leucémie aigüe myéloïde

☐ Diminution de dose des traitements associés contre la leucémie aigüe myéloïde

☐ Modification des traitements associés contre la leucémie, préciser le(s) nouveau(x) traitement(s) associé(s) contre la leucémie aigüe myéloïde :

.....

**Ne préciser que les traitements systémiques à visée antitumorale associés à IDHIFA®. Ne pas lister les traitements pour d'autres pathologies concomitantes, ni les prophylaxies associées.*

Interruption/arrêt temporaire de traitement

☐ Oui

☐ Non

Arrêt temporaire/définitif du traitement*

Date d'interruption ____ / ____ / ____

Raison :

Reprise de traitement

Date de la reprise ____ / ____ / ____

Posologie :

|

**Si un arrêt définitif du traitement a eu lieu, merci de compléter la fiche d'arrêt de traitement*

Si l'arrêt est dû à un effet indésirable et/ou à une situation particulière, merci de compléter la fiche de déclaration des effets indésirables en annexe 1.

Évaluation de l'effet du traitement par IDHIFA® 50 mg et 100 mg, comprimés pelliculés (énasidénib)

EVALUATION CLINIQUE

Date d'évaluation de la réponse (JJ/MM/AAAA) : ____ / ____ / ____

Réponse (Selon les critères ELN 2017) :

- ☐ Rémission Complète (RC) sans maladie résiduelle minimale
- ☐ Rémission complète avec maladie résiduelle minimale ou non évaluée
- ☐ RC avec récupération hématologique incomplète
- ☐ Etat morphologique sans leucémie
- ☐ Rémission partielle
- ☐ Maladie stable
- ☐ Réponse non évaluée

ÉTAT DE SANTÉ GÉNÉRAL DU PATIENT

Indice de performance ECOG

Date (JJ/MM/AAAA) : ____ / ____ / ____

Résultats ☐ 0 ☐ 1 ☐ 2 ☐ 3 ☐ 4

DÉCISION THÉRAPEUTIQUE DE POURSUIVRE LE TRAITEMENT

Poursuite du traitement ☐ Oui ☐ Non*

**Si non, veuillez remplir et envoyer la fiche d'arrêt du traitement et, en cas d'effet indésirable et/ou de situation particulière, remplir la fiche de déclaration des effets indésirables en annexe 1.*

Posologie prescrite pour le renouvellement : ☐ 100 mg par jour ☐ 50 mg par jour

☐ Autre (veuillez préciser) :

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 des effets indésirables en annexe 1

Apparition d'une contre-indication au traitement prescrit ☐ Oui ☐ Non

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

Vérification du suivi de la contraception, le cas échéant.

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom _____ :
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	
Hôpital : ☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé	Hôpital : ☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé
N° FINESS : _____	N° FINESS : _____
Tél : _____	Tél : _____
E-mail : _____	E-mail : _____
Date : __/__/__	Date : __/__/__
Cachet et signature du médecin :	Cachet et signature du pharmacien :

Le médecin envoie la fiche de suivi au Pharmacien de l'Etablissement.

Une demande de renouvellement de l'AAC doit être faite auprès de l'ANSM si applicable.

Le pharmacien adresse les documents complétés à l'ANSM si applicable (i.e. si l'AAC précédente a expiré).

Après réponse de l'ANSM et réception du renouvellement de l'AAC pour ce patient (si applicable), le pharmacien ajoute le numéro d'AAC sur la fiche de suivi annuelle.

Le pharmacien envoie par fax ou email la fiche de suivi annuelle ainsi que l'AAC correspondante à la
Cellule AAC IDHIFA

Email : aac.idhifa@alsinova.com

Tél: 0 800 94 38 26

Fax : 01 81 93 91 83

En parallèle, le pharmacien envoie le bon de commande avec initiales patient et numéro du patient, ainsi que l'AAC au Service Relations Clients BRISTOL MYERS SQUIBB

Email : marchefrance.pharma@bms.com

Fax : 01 58 83 80 33.

Pour les commandes «intermédiaires» non accompagnées de fiches de suivi, le centre envoie le bon de commande avec initiales patient et numéro du patient, ainsi que l'AAC en vigueur au Service Relations Clients BRISTOL MYERS SQUIBB.

Mention destinée aux professionnels de santé

Bristol Myers Squibb, et le cas échéant ses sous-traitants, est amené à traiter des données personnelles vous concernant afin de fournir le produit sous l'AAC IDHIFA à l'établissement dont vous dépendez.

Vous pouvez demander à accéder aux informations qui vous concernent, pour en prendre connaissance, pour les faire rectifier, modifier, supprimer, ou pour vous opposer à leur traitement. Pour exercer ces droits, vous devez en faire la demande auprès du délégué à la protection des données de Bristol-Myers Squibb SAS disponible à l'adresse EUDPO@BMS.COM. Si vous n'êtes pas satisfait de la prise en charge de votre demande ou de la décision prise, vous avez le droit de contacter l'autorité chargée de la protection des

données : la Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés (CNIL), 3 Place de Fontenoy - TSA 80715 - 75334 PARIS CEDEX 07, France.

Pour plus d'information sur la manière dont BMS traite vos données personnelles, vous pouvez consulter notre notice d'information relative aux professionnels de santé à l'adresse suivante :

<https://www.bms.com/fr/privacy-policy.html>

Fiche d'arrêt définitif ou de non-initiation de traitement

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Fiche à transmettre à la cellule AAC IDHIFA

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

Identification du patient

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

Date de naissance (mois, année) : __ / __ __ __

Sexe : ☐ M ☐ F ☐

N° dernière AAC de l'ANSM : _____

Numéro patient (attribué par la Cellule AAC IDHIFA®) : _____

Posologie à l'arrêt du traitement : ☐ 100mg par jour ☐ 50 mg par jour ☐ Autre, préciser : _____

Date de la première administration : __/__/__ OU ☐ Traitement non initié

Raisons de l'arrêt du traitement

☐ Allogreffe programmée avec donneur disponible

☐ Survenue d'un effet indésirable suspecté d'être lié au traitement

Procéder à sa déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration des effets indésirables en annexe 1

☐ Survenue d'une contre-indication

| Préciser : _____

☐ Progression de la maladie

☐ Effet thérapeutique non satisfaisant

| Si considéré comme un manque d'efficacité, procéder à sa déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration des effets indésirables en annexe 1

☐ Décès

➔ Date du décès : __/__/__

➔ Raison du décès : ☐ Décès lié à un effet indésirable

| Procéder à sa déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration des effets indésirables en annexe 1

☐ Décès lié à la progression de la maladie

☐ Autre raison : _____

☐ Souhait du patient d'interrompre le traitement

☐ Patient perdu de vue, préciser la date de dernier contact : __/__/__

☐ Ne remplit plus les critères d'octroi, préciser : _____

☐ Grossesse (merci de compléter la fiche de déclaration des effets indésirables)

☐ Autre, préciser : _____

Médecin prescripteur

Pharmacien

Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	
Hôpital : _____	Hôpital : _____
☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé	☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé
N° FINESS : _____	N° FINESS : _____
Tél : _____	Tél : _____
E-mail: _____	E-mail: _____
Date : __/__/____	Date : __/__/____
Cachet et signature du médecin :	Cachet et signature du pharmacien :

Cette fiche est à adresser sans délai par fax ou email à :

Cellule AAC IDHIFA®

Email : aac.idhifa@alsinova.com

Tél: 0 800 94 38 26

Fax : 01 81 93 91 83

Mention destinée aux professionnels de santé

Bristol Myers Squibb, et le cas échéant ses sous-traitants, est amené à traiter des données personnelles vous concernant afin de fournir le produit sous l'AAC IDHIFA® à l'établissement dont vous dépendez.

Vous pouvez demander à accéder aux informations qui vous concernent, pour en prendre connaissance, pour les faire rectifier, modifier, supprimer, ou pour vous opposer à leur traitement. *Pour exercer ces droits, vous devez en faire la demande auprès du délégué à la protection des données de Bristol-Myers Squibb SAS disponible à l'adresse EUDPO@BMS.COM.* Si vous n'êtes pas satisfait de la prise en charge de votre demande ou de la décision prise, vous avez le droit de contacter l'autorité chargée de la protection des données : la Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés (CNIL), 3 Place de Fontenoy - TSA 80715 - 75334 PARIS CEDEX 07, France.

Pour plus d'information sur la manière dont BMS traite vos données personnelles, vous pouvez consulter notre notice d'information relative aux professionnels de santé à l'adresse suivante :

<https://www.bms.com/fr/privacy-policy.html>

Fiche de déclaration des effets indésirables

Fiche à transmettre à la cellule AAC IDHIFA

Cadre réservé à la Cellule AAC N° Patient :	FICHE DE DECLARATION DES EFFETS INDESIRABLES (EI) POUR L'AUTORISATION D'ACCES COMPASSIONNEL (AAC) IDHIFA®	A retourner à la Cellule AAC IDHIFA® Email : aac.idhifa@alsinova.com Fax : 0181939183	Date de réception par BMS:
--	--	---	---

NUMERO DE PROTOCOLE DE L'AAC	NOM DE L'AAC	NUMERO PATIENT DE L'AAC	PAYS DE SURVENUE DE L'EI
ATU-IDH-FRA-001	IDHIFA®		FRANCE

TYPE DE RAPPORT	
☐ RAPPORT INITIAL	☐ RAPPORT DE SUIVI

PATIENT									
INITIALES		DATE DE NAISSANCE	OU	Année de naissance	Age	☐ HOMME	TAILLE	UNITE	
				Groupe d'âge		☐ FEMME	POIDS	UNITE	

GROSSESSE / ALLAITEMENT		SI GROSSESSE, AGE GESTATIONNEL	
☐ OUI	☐ NON		UNITE

Veuillez noter qu'une fiche spécifique à compléter sera adressée par le laboratoire au Professionnel de Santé en cas de signalement d'une grossesse

DESCRIPTION DE L'EVENEMENT INDESIRABLE	☐ EVENEMENT GRAVE* <i>Merci de compléter au moins un des critères de gravité ci- dessous</i>		OU	☐ EVENEMENT NON GRAVE	
*CRITERE DE GRAVITE	☐ MISE EN JEU DU PRONOSTIC VITAL		☐ DECES		
	☐ HOSPITALISATION OU PROLONGATION D'HOSPITALISATION		DATE DU DECES		
	☐ ANOMALIE OU MALFORMATION CONGENITALE		CAUSE DU DECES		
	☐ INCAPACITE OU INVALIDITE PERMANENTE		☐ EI MEDICALEMENT SIGNIFICATIF		
DATE DE DEBUT DE L'EI			EVOLUTION DE L'EI		
			☐ RESOLU ☐ RESOLU AVEC SEQUELLE(S)		
DATE DE FIN DE L'EI			☐ EN COURS DE RESOLUTION ☐ DECES		
			☐ NON RESOLU ☐ INCONNUE		

INFORMATIONS COMPLEMENTAIRES SUR L'EI	

ANTECEDENTS MEDICAUX		☐ INCONNUS	☐ AUCUN ANTECEDENT MEDICAL

MEDICAMENT SUSPECT BMS			INDICATION			NUMERO DE LOT		DATE D'EXPIRATION
IDHIFA®								
POSOLOGIE	UNITE	VOIE D'ADMINISTRATION	FREQUENCE			DATE DE DEBUT DE TRAITEMENT		DATE DE FIN DE TRAITEMENT
ACTION PRISE AVEC LE MEDICAMENT SUSPECT BMS		☐ AUCUNE	☐ INTERRUPTION TEMPORAIRE	☐ ARRET DEFINITIF	☐ DOSE AUGMENTEE	☐ DOSE REDUITE	☐ DEBIT IV DIMINUE	☐ INCONNUE
ÉVALUATION DE LA CAUSALITÉ PAR LE NOTIFICATEUR			☐ NON RELIE AU MEDICAMENT BMS SUSPECT			☐ RELIE AU MEDICAMENT BMS SUSPECT		

AUTRE MEDICAMENT SUSPECT BMS			INDICATION			NUMERO DE LOT		DATE D'EXPIRATION
POSOLOGIE	UNITE	VOIE D'ADMINISTRATION	FREQUENCE			DATE DE DEBUT DE TRAITEMENT		DATE DE FIN DE TRAITEMENT
ACTION PRISE AVEC LE MEDICAMENT SUSPECT BMS		☐ AUCUNE	☐ INTERRUPTION TEMPORAIRE	☐ ARRET DEFINITIF	☐ DOSE AUGMENTEE	☐ DOSE REDUITE	☐ DEBIT IV DIMINUE	☐ INCONNUE
ÉVALUATION DE LA CAUSALITÉ PAR LE NOTIFICATEUR			☐ NON RELIE AU MEDICAMENT BMS SUSPECT			☐ RELIE AU MEDICAMENT BMS SUSPECT		

MÉDICAMENTS CONCOMITANTS		☐ INCONNU		☐ AUCUN			
PRODUIT	POSOLOGIE	UNITÉ	VOIE D'ADMINISTRATION	FREQUENCE	DATE DE DEBUT DE TRAITEMENT	DATE DE FIN DE TRAITEMENT	INDICATION

NOTIFICATEUR	☐ PATIENT	☐ MEDECIN	☐ INFIRMIER(E)	☐ PHARMACIEN	☐ SOIGNANT NON PROFESSIONNEL DE SANTE	☐ AUTRE, PRECISER:
	DONNEZ-VOUS VOTRE ACCORD POUR ETRE RECONTACTE PAR L'ÉQUIPE PHARMACOVIGILANCE DE BMS POUR OBTENIR DES INFORMATIONS COMPLEMENTAIRES ?				☐ OUI	☐ NON

NOTIFICATEUR			
PRENOM	NOM	ADRESSE EMAIL	
		PAYS	FRANCE
TELEPHONE		ADRESSE POSTALE	
FAX			

MEDECIN PRESCRIPTEUR (SI DIFFERENT DU NOTIFICATEUR)			
PRENOM	NOM	ADRESSE EMAIL	
		PAYS	FRANCE
TELEPHONE		ADRESSE POSTALE	
FAX			

RAPPORT PREPARE PAR	
NOM DU PRESTATAIRE	ALSINOVA
ADRESSE EMAIL DU PRESTATAIRE	safety.aac.idhifa@alsinova.com

Annexe 2. Rôle des différents acteurs

1. Rôle des professionnels de santé

1.1. Le prescripteur

L'autorisation d'accès compassionnel implique le strict respect des mentions définies figurant dans le protocole, notamment les critères d'octroi, les conditions de prescription et de délivrance, ainsi que l'information et le cas échéant le suivi prospectif des patients traités tels que prévus par le PUT-SP.

Avant tout traitement, le prescripteur :

- prend connaissance du présent PUT-SP et du RCP ou de la NIP, le cas échéant
- vérifie l'éligibilité de son patient aux critères d'octroi du médicament disposant d'une autorisation d'accès compassionnel ;
- informe, de manière orale et écrite via le document d'information disponible en [annexe 3](#), le patient, son représentant légal, s'il s'agit d'un mineur, la personne chargée de la mesure de protection juridique, s'il s'agit d'un majeur faisant l'objet d'une mesure de protection juridique avec représentation relative à la personne, ou la personne de confiance que le patient a désignée :
 - de l'absence d'alternative thérapeutique, des risques encourus, des contraintes et des bénéfices susceptibles d'être apportés par le médicament ;
 - du caractère dérogatoire de la prise en charge par l'Assurance maladie du médicament prescrit dans le cadre de l'autorisation d'accès compassionnel;
 - des modalités selon lesquelles cette prise en charge peut, le cas échéant, être interrompue,
 - de la collecte de leurs données et de leurs droits relatifs à leurs données personnelles.

Le prescripteur veille à la bonne compréhension de ces informations.

- soumet la demande d'AAC via e-saturne à l'ANSM ; En cas de demande non conforme aux critères ou en l'absence de critères, justifie sa demande.

Après réception de l'autorisation de l'ANSM, le prescripteur :

- informe le médecin traitant du patient
- remplit la fiche d'initiation de traitement, qu'il transmet à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné

Le prescripteur indique sur l'ordonnance la mention suivante : « Prescription au titre d'un accès compassionnel en dehors du cadre d'une autorisation de mise sur le marché ».

Le prescripteur est tenu de participer au recueil des données collectées dans le cadre du PUT-SP. Il transmet les données de suivi des patients traités, selon des modalités assurant le respect du secret médical au laboratoire exploitant le médicament.

Suite à l'initiation du traitement, le prescripteur planifie des visites de suivi (voir calendrier de suivi dans le PUT-SP) au cours desquelles il devra également :

- remplir la fiche de suivi correspondante,
- rechercher la survenue d'effets indésirables et situations particulières, procéder à leur déclaration, le cas échéant selon les modalités prévues en [annexe 4](#),
- remplir la fiche d'arrêt de traitement, le cas échéant.

Les fiches de suivi et d'arrêt sont envoyées systématiquement et sans délai à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné pour transmission au laboratoire selon les modalités décrites en page 9.

Si le prescripteur souhaite poursuivre le traitement, il soumet, avant la date d'échéance de l'AAC, la demande de renouvellement de l'AAC via e-saturne à l'ANSM.

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 faisant l'objet d'une AAC.

Le pharmacien :

- complète la fiche d'initiation de traitement ainsi que les fiches de suivi préalablement remplies par le prescripteur lors de chaque visite, et les transmet au laboratoire exploitant le médicament
- commande le médicament auprès du laboratoire sur la base de l'AAC ;
- assure la dispensation du médicament sur prescription du médecin
- déclare tout effet indésirable suspecté d'être lié au traitement et situations particulières qui lui seraient rapportés selon les modalités prévues en [annexe 4](#).

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

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

3. Rôle du laboratoire

L'entreprise qui assure l'exploitation du médicament :

- réceptionne les fiches d'initiation de traitement, de suivi et d'arrêt définitif, et intègre les données dans sa base de suivi
- est responsable du traitement des données au sens du règlement général sur la protection des données (RGPD) ;
- collecte et analyse toutes les informations recueillies dans le cadre du PUT-SP, notamment les données d'efficacité et de pharmacovigilance. Il établit selon la périodicité définie en 1^{ère} page, le rapport de synthèse accompagné d'un projet de résumé qu'il transmet à l'ANSM et le cas échéant au CRPV en charge du suivi de l'accès compassionnel et transmet après validation par l'ANSM le résumé de ce rapport, également publié sur le site internet de l'ANSM, aux médecins, aux pharmacies à usage intérieur concernées ainsi qu'à l'ensemble des CRPV et Centres antipoison ;
- sur demande du CRPV, lui soumet les éléments complémentaires requis,

- respecte et applique les obligations réglementaires en matière de pharmacovigilance : il enregistre, documente, et déclare via Eudravigilance tout effet indésirable suspecté d'être dû au médicament selon les conditions prévues à l'article R. 5121-166 du Code de la santé publique et aux GVP Module VI (*Collection, management and submission of reports of suspected adverse reactions to medicinal products*) ;
- contacte l'ANSM sans délai et le cas échéant le CRPV en charge du suivi en cas de signal émergent de sécurité (quels que soient le pays de survenue et le cadre d'utilisation du médicament concerné) ou de fait nouveau susceptible d'avoir un impact sur le rapport bénéfice/risque du médicament et nécessitant le cas échéant d'adresser rapidement une information aux utilisateurs du médicament en AAC (médecins, pharmaciens, patients), conformément aux GVP Module IX (*Emergent Safety Issues*) ;
- organise et finance le recueil des données dans le cadre des AAC, s'assure de l'assurance qualité et de la collecte rigoureuse et exhaustive des données ;
- s'assure du bon usage du médicament dans le cadre des AAC ;
- approvisionne en conséquence la PUI et assure le suivi de lots ;
- s'est engagé, en cas de développement en cours dans l'indication en vue d'une demande d'AMM, à demander une autorisation d'accès précoce auprès de la HAS et de l'ANSM

4. Rôle de l'ANSM

L'ANSM :

- évalue le médicament notamment les données d'efficacité, de sécurité, de fabrication et de contrôle, pour permettre son utilisation dans le cadre des AAC,
- évalue les demandes d'AAC pour chaque patient,
- valide le présent PUT-SP.

À la suite de la délivrance des AAC, l'ANSM :

- prend connaissance des informations transmises par le laboratoire ainsi que par le CRPV en charge du suivi du médicament en AAC le cas échéant et prend toute mesure utile de manière à assurer la sécurité des patients et le bon usage du médicament ;
- évalue en collaboration avec le CRPV sus cité le cas échéant les rapports périodiques de synthèse fournis par le laboratoire et publie le résumé de ces rapports ;
- informe sans délai le laboratoire et le CRPV sus cité le cas échéant en cas de signal émergent de sécurité qui lui aurait été notifié ou déclaré directement qui pourrait remettre en cause les AAC,
- modifie le PUT-SP en fonction de l'évolution des données disponibles, suspend ou retire les AAC si les conditions d'octroi ne sont plus remplies ou pour des motifs de santé publique

L'ANSM diffuse sur son site internet un référentiel des médicaments en accès dérogatoire (<https://ansm.sante.fr/documents/reference/#collapse-1>) et toutes les informations nécessaires pour un bon usage de ces médicaments, les PUT-SP correspondants ainsi que les résumés des rapports de synthèse périodiques.

5. Rôle du CRPV en charge du suivi du médicament en AAC

Le centre régional de pharmacovigilance (CRPV) désigné en 1^{ère} page le cas échéant assure le suivi de pharmacovigilance du médicament en AAC au niveau national. Il est destinataire (via le laboratoire) des rapports périodiques de synthèse et des résumés de ces rapports. Il effectue une analyse critique de ces documents afin d'identifier et d'évaluer les éventuels signaux de sécurité soulevés par le rapport de synthèse et valide le contenu du résumé. À cette fin, il peut demander au laboratoire de lui fournir toute information complémentaire nécessaire à l'évaluation.

Annexe 3. Documents d'information à destination des patients avant toute prescription d'un médicament en autorisation d'accès compassionnel :

Cette annexe comprend :

- un [document d'information sur le dispositif d'autorisation d'accès compassionnel](#)
- une [note d'information sur le traitement des données personnelles](#).

Note d'information sur l'autorisation d'accès compassionnel

Dans le cas où le patient serait dans l'incapacité de prendre connaissance de cette information, celle-ci sera donnée à son représentant légal ou, le cas échéant, à la personne de confiance qu'il a désignée

Votre médecin vous a proposé un traitement par IDHIFA dans le cadre d'une autorisation d'accès compassionnel (AAC).

Ce document a pour objectif de vous informer sur cette prescription et ce à quoi elle vous engage. Il complète les informations de votre médecin et vous aidera à prendre une décision à propos de ce traitement.

Qu'est-ce qu'une autorisation d'accès compassionnel ?

Le dispositif d'autorisation d'accès compassionnel (AAC) permet la mise à disposition dérogatoire en France de médicaments ne disposant pas d'autorisation de mise sur le marché (AMM) pour le traitement de maladies graves, rares ou invalidantes. L'efficacité et la sécurité et du médicament que vous propose votre médecin sont présumées favorables par l'ANSM au vu des données disponibles.

L'objectif est de vous permettre de bénéficier de ce traitement à titre exceptionnel en faisant l'objet d'un suivi particulier au cours duquel vos données personnelles concernant votre santé, le traitement et ses effets sur vous seront collectées. L'AAC s'accompagne d'un recueil obligatoire de données pour s'assurer que le médicament est sûr et efficace en conditions réelles d'utilisation et que les bénéfices du traitement restent présumés supérieurs aux risques potentiellement encourus au cours du temps.

Les données sont recueillies auprès des médecins et des pharmaciens par le laboratoire exploitant le médicament via la mise en place d'un Protocole d'Utilisation Thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP) validé par l'ANSM. Ces données sont transmises périodiquement et de manière anonyme par le laboratoire à l'ANSM afin d'évaluer le médicament le temps de sa mise à disposition en accès compassionnel.

Lorsqu'il vous est prescrit un médicament dans le cadre d'une AAC, vous ne participez pas dans un essai clinique. L'objectif principal est de vous soigner et non de tester le médicament. Vous n'avez donc pas à faire d'examen supplémentaires en plus de ceux prévus dans votre prise en charge habituelle.

L'AAC peut être suspendue ou retirée si les conditions initiales ci-dessus ne sont plus remplies, ou pour des motifs de santé publique.

Les médicaments mis à disposition dans ce cadre sont intégralement pris en charge par l'Assurance maladie, sans avance de frais de votre part.

Vous pouvez en parler avec votre médecin. N'hésitez pas à poser toutes vos questions. Il vous donnera des informations sur les bénéfices attendus de ce médicament dans votre situation mais aussi sur les incertitudes ou inconvénients (effets indésirables, contraintes de prise, etc.).

Vous êtes libre d'accepter ou de refuser la prescription de ce médicament.

En pratique, comment allez-vous recevoir ce médicament ?

Demandez des précisions à votre médecin ou reportez-vous à la notice du médicament dans sa boîte s'il y en a une.

L'utilisation de ce médicament est encadrée. Si vous prenez ce médicament chez vous, il est important :

- de respecter les conseils qui vous ont été donnés pour le prendre et le conserver (certains médicaments doivent être conservés au réfrigérateur, sont à prendre à distance ou pendant les repas, etc.) ;
- de demander des précisions sur le lieu où vous pourrez vous le procurer. Les médicaments en accès compassionnel ne sont généralement disponibles que dans des hôpitaux. Au besoin, demandez à l'équipe qui vous suit si votre médicament peut être disponible dans un hôpital près de chez vous.

Notice destinée au patient

IDHIFA®, comprimés pelliculés

énasidénib

- Ce médicament n'ayant pas d'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) en France, son utilisation est soumise à Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC) et à une procédure de surveillance étroite par l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des Produits de Santé (ANSM), concernant notamment les effets gênants qu'il peut provoquer.

- Lisez attentivement cette notice avant d'utiliser ce médicament : elle contient des informations importantes sur votre traitement.

- Si vous avez des questions, si vous avez un doute, demandez plus d'informations à votre médecin ou au pharmacien hospitalier qui vous a délivré IDHIFA®.

- Ce médicament vous a été personnellement prescrit. Ne le donnez jamais à quelqu'un d'autre, même en cas de symptômes identiques.

- Gardez cette notice, vous pourriez avoir besoin de la relire.

NOTICE

IDHIFA® comprimés pelliculés

(énasidénib)

Quelles sont les informations les plus importantes que je devrais connaître sur IDHIFA® ?

IDHIFA® peut provoquer des effets indésirables graves, notamment :

- **Syndrome de différenciation.** Le syndrome de différenciation est une affection qui affecte vos cellules sanguines et qui engager le pronostic vital ou entraîner le décès si elle n'est pas traitée. Le syndrome de différenciation peut survenir dans la journée et jusqu'à 5 mois après le début du traitement par IDHIFA®. Contactez immédiatement votre médecin ou rendez-vous immédiatement aux urgences de l'hôpital le plus proche si vous présentez l'un des symptômes suivants du syndrome de différenciation pendant le traitement par IDHIFA® :

- Fièvre
- Toux
- Essoufflement
- Gonflement des bras et des jambes
- Gonflement autour du cou, de l'aîne ou des aisselles
- Prise de poids rapide (plus de 10 kg en une semaine)
- Douleurs osseuses

Si vous présentez l'un de ces symptômes du syndrome de différenciation, votre médecin peut vous prescrire un médicament pris par voie orale ou par voie veineuse (intraveineuse) appelé corticostéroïdes et peut vous surveiller à l'hôpital.

Vous trouverez également des informations sur le syndrome de différenciation sur la carte patient. Il est important que vous portiez cette carte sur vous en permanence ; montrez-la à tout professionnel de santé que vous consultez si vous présentez l'un des signes et symptômes de syndrome de différenciation mentionnés ci-dessus.

Qu'est-ce qu'IDHIFA® ?

IDHIFA® est un médicament sur ordonnance utilisé pour traiter les personnes atteintes de leucémie aiguë myéloïde (LAM) avec une mutation de l'isocitrate déshydrogénase-2 (IDH2) dont la maladie est réapparue ou ne s'est pas améliorée après un ou plusieurs traitements antérieurs.

On ne connaît pas la sécurité et l'efficacité d'IDHIFA® chez les enfants.

Avant de prendre IDHIFA®, informez votre médecin de toutes vos problèmes de santé, y compris si vous :

- Êtes enceinte ou planifiez de le devenir. IDHIFA® peut nuire à votre bébé à naître s'il est pris pendant la grossesse.
 - Si vous êtes en âge de procréer, votre médecin vous fera réaliser un test de grossesse avant que vous ne commenciez à prendre IDHIFA®.
 - **Les femmes** en âge de procréer doivent utiliser un moyen de contraception efficace pendant le traitement par IDHIFA® et pendant les 2 mois suivant leur dernière dose d'IDHIFA®.
 - IDHIFA® peut affecter le fonctionnement des contraceptifs hormonaux et les rendre moins efficaces. Vous devez utiliser une méthode contraceptive non hormonale efficace pendant le traitement par IDHIFA® et pendant 2 mois après votre dernière dose d'IDHIFA® si vous utilisez des contraceptifs hormonaux.
 - Informez immédiatement votre médecin si vous tombez enceinte ou si vous pensez l'être pendant le traitement par IDHIFA®.
 - **Les hommes** qui ont des partenaires en âge de procréer doivent utiliser une méthode de contraception efficace pendant le traitement par IDHIFA® et pendant les 2 mois suivant leur dernière dose d'IDHIFA®.
 - Discutez avec votre médecin des méthodes de contraception qui pourraient vous convenir pendant le traitement par IDHIFA®.
 - IDHIFA® peut causer des problèmes de fertilité chez les femmes et les hommes, ce qui peut affecter votre capacité à avoir des enfants. Consultez votre médecin si vous avez des inquiétudes au sujet de la fertilité.
- Allaitiez ou prévoyez d'allaiter. On ne sait pas si IDHIFA® passe dans votre lait maternel. Vous ne devez pas allaiter pendant votre traitement par IDHIFA® et pendant les 2 mois suivant votre dernière dose d'IDHIFA®.

Informez votre médecin de tous les médicaments que vous prenez, y compris les médicaments sur ordonnance et en vente libre, les vitamines et les compléments à base de plantes.

Comment dois-je prendre IDHIFA® ?

- Prenez IDHIFA® exactement comme votre médecin vous l'a prescrit.
- Prenez IDHIFA® 1 fois par jour à la même heure chaque jour.

- Avalez les comprimés d'IDHIFA® en entiers. Ne pas mâcher, fendre ou écraser les comprimés d'IDHIFA®.
- Avalez IDHIFA® avec une tasse d'eau.
- IDHIFA® peut être pris pendant ou en dehors des repas.
- Si vous oubliez une dose d'IDHIFA® ou si vous vomissez après avoir pris une dose d'IDHIFA®, prenez une autre dose d'IDHIFA® dès que possible le même jour. Prenez ensuite votre prochaine dose le jour suivant à l'heure habituelle. **Ne prenez pas 2 doses en même temps** pour compenser la dose oubliée.
- Votre médecin devrait vous prescrire des analyses de sang pour vérifier votre numération formule sanguine avant de commencer le traitement par IDHIFA® et au moins toutes les 2 semaines pendant au moins les 3 premiers mois du traitement pour vérifier la présence d'effets indésirables.

Quels sont les effets indésirables possibles d'IDHIFA® ?

IDHIFA® peut provoquer des effets indésirables graves, notamment :

Voir « Quelles sont les informations les plus importantes que je devrais connaître sur IDHIFA® ? »

Les effets indésirables les plus courants d'IDHIFA® sont les suivants :

- nausée
- vomissement
- diarrhée
- jaunisse
- diminution de l'appétit

Informez votre médecin si vous constatez des changements de couleur de votre peau ou du blanc de vos yeux.

Votre médecin surveillera l'apparition d'effets indésirables pendant le traitement et pourra vous demander d'arrêter de prendre IDHIFA® si vous présentez certains effets indésirables.

Il ne s'agit pas de tous les effets indésirables possibles d'IDHIFA®. Appelez votre médecin pour obtenir des conseils médicaux sur les effets indésirables. Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin.

Déclaration des effets secondaires

Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin. Ceci s'applique aussi à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans cette notice. Vous pouvez également déclarer les effets indésirables directement (voir détail ci-dessous). En signalant les effets indésirables, vous contribuez à fournir davantage d'informations sur la sécurité du médicament.

France

Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) et réseau des Centres Régionaux de Pharmacovigilance

Site internet : <https://signalement.social-sante.gouv.fr>

Comment dois-je conserver IDHIFA® ?

- Conservez IDHIFA® à température ambiante entre 20 °C et 25 °C.
- Conservez IDHIFA® dans le contenant d'origine.
- Gardez le contenant hermétiquement fermé avec la cartouche déshydratante à l'intérieur pour protéger les comprimés de l'humidité.

Gardez IDHIFA® et tous les médicaments hors de la portée des enfants.

Informations générales sur l'utilisation sûre et efficace d'IDHIFA®

Les médicaments sont parfois prescrits à des fins autres que celles énumérées dans une notice. Ne prenez pas IDHIFA® pour des pathologies pour lesquelles il n'a pas été prescrit. Ne donnez pas IDHIFA® à d'autres personnes, même si elles présentent les mêmes symptômes que vous. Cela

peut leur nuire. Vous pouvez demander à votre pharmacien ou à votre médecin des informations sur IDHIFA®.

Quels sont les composants d'IDHIFA® ?

Substance active : énasidénib

Composants inactifs : dioxyde de silicium colloïdal, hydroxypropylcellulose, acétate d'hypermellose, succinate d'oxyde de fer, stéarate de magnésium, cellulose microcristalline, polyéthylène glycol, alcool polyvinylique, laurylsulfate de sodium, glycolate d'amidon sodique, talc et dioxyde de titane

CARTE PATIENT

IDHIFA®

énasidénib

Informations destinées au patient

Cette carte patient contient des informations importantes à propos de votre traitement.

- Portez cette carte sur vous en permanence afin d'informer les professionnels de santé de votre traitement par IDHIFA®.
- Montrez cette carte à tout professionnel de santé que vous consultez au cours du traitement par IDHIFA®.

À propos de votre traitement

- **IDHIFA® peut provoquer des effets indésirables graves, notamment un syndrome de différenciation.**
- Le **syndrome de différenciation** est une affection qui touche les cellules sanguines et qui, en l'absence de traitement, peut engager le pronostic vital ou entraîner le décès.
- Le syndrome de différenciation **peut survenir dans la journée et jusqu'à 5 mois après le début du traitement par IDHIFA®.**

Quels sont les signes et symptômes du syndrome de différenciation ?

- Essoufflement ou difficultés respiratoires, douleur thoracique, douleurs osseuses, toux, fièvre ou frissons, gonflement des bras et des jambes et prise de poids rapide.

Contactez immédiatement votre médecin prescripteur de votre traitement IDHIFA® si vous présentez l'un des signes et symptômes de syndrome de différenciation mentionnés ci-dessus pendant le traitement par IDHIFA®.

Déclaration des effets indésirables

Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin, pharmacien ou infirmier/ère. Vous pouvez également déclarer les effets indésirables directement via le portail de signalement des événements sanitaires indésirables du ministère chargé de la santé <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>.

Voir la notice d'IDHIFA® pour plus d'informations.

Informations destinées aux professionnels de santé

- Des patients traités par IDHIFA® ont présenté des symptômes de syndrome de différenciation, qui peut être d'issue fatale en l'absence de traitement.
- Les symptômes peuvent être : fièvre, dyspnée, détresse respiratoire aiguë, infiltrats pulmonaires, épanchement pleural ou péricardique, prise de poids rapide ou œdème périphérique, adénopathie, douleurs osseuses et insuffisance hépatique, rénale ou défaillance multiviscérale.
- En cas de suspicion d'un syndrome de différenciation, instaurer rapidement une corticothérapie et une surveillance hémodynamique jusqu'à la résolution des symptômes. Veuillez consulter le RCP américain pour plus d'informations sur la prise en charge de ce syndrome.
- Contactez immédiatement le médecin qui a prescrit le traitement par IDHIFA® afin de s'assurer que la prise en charge est adaptée.

Voir le Résumé des Caractéristiques du Produit Américain d'IDHIFA® disponible sur le site Internet de l'ANSM (www.ansm.sante.fr), pour plus d'informations.

Veuillez remplir cette section.

Nom du/de la patient(e) :

Date de naissance :

Date de début du traitement par IDHIFA® et dose (50 mg/100 mg) :

N° de tél. du prescripteur/de l'hôpital en cas d'urgence :

À quoi cela vous engage-t-il ? Quelles seront vos contraintes ?

Comme il existe peu de recul sur l'utilisation du médicament qui vous est proposé, son utilisation est sous surveillance et décrite en détail dans le protocole d'utilisation thérapeutique et suivi des patients (PUT-SP) disponible sur le site internet de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM).

Votre retour sur ce traitement est essentiel. C'est pourquoi votre avis sur ce médicament et les effets qu'il a sur vous sera recueilli de deux façons : à chaque consultation avec votre médecin et à tout moment entre les visites en cas d'effets indésirables.

À chaque consultation

- ➔ Votre médecin va vous poser des questions sur la façon dont vous vous sentez avec ce traitement et rassembler des données personnelles sur votre santé. Pour plus de détails sur les données personnelles recueillies et vos droits, vous pouvez lire le document intitulé « Accès compassionnel d'un médicament - Traitement des données personnelles » (voir en fin de document la rubrique « Pour en savoir plus »).

Chez vous, entre les consultations

Si vous ne vous sentez pas comme d'habitude ou en cas de symptôme nouveau ou inhabituel : parlez-en à votre médecin, à votre pharmacien ou à votre infirmier/ère.

Vous pouvez, en complément, déclarer les effets indésirables, en précisant qu'il s'agit d'un médicament en autorisation d'accès compassionnel, directement via le portail de signalement - site internet : www.signalement-sante.gouv.fr

Il est important que vous déclariez les effets indésirables du médicament, c'est-à-dire les conséquences inattendues ou désagréables du traitement que vous pourriez ressentir (douleurs, nausées, diarrhées, etc.).

Combien de temps dure une autorisation d'accès compassionnel ?

L'AAC est temporaire, dans l'attente que le médicament puisse le cas échéant disposer d'une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) et être commercialisé. La durée de validité est précisée sur l'autorisation délivrée par l'ANSM et ne peut dépasser un an. Elle peut être renouvelée sur demande du prescripteur qui jugera de la nécessité de prolonger le traitement.

Elle peut être suspendue ou retirée par l'ANSM dans des cas très particuliers, en fonction des nouvelles données, si les conditions d'octroi ne sont plus respectées ou autre motif de santé publique.

Traitement de vos données personnelles

Le traitement par un médicament prescrit dans le cadre d'une AAC implique le recueil de données personnelles concernant votre santé.

Vous trouverez des informations complémentaires relatives à vos droits dans la rubrique suivante : [« Accès compassionnel d'un médicament – Traitement des données personnelles »](#).

Pour en savoir plus

- ➔ Notice du médicament que vous allez prendre (renvoi vers site de l'ANSM, lien à venir), (à supprimer si pas de notice)
- ➔ Protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP) de votre médicament, (lien vers le référentiel des accès dérogatoires)
- ➔ Informations générales sur les autorisations d'accès compassionnel des médicaments (<https://ansm.sante.fr/vos-demarches/professionel-de-sante/demande-dautorisation-dacces-compassionnel>)

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

Ce document a été élaboré par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé, en collaboration avec le laboratoire [Bristol Myers Squibb]

Note d'information destinée au prescripteur

Pour plus d'information, consulter le Résumé des Caractéristiques du Produit américain, disponible sur le référentiel des médicaments en accès dérogatoire du site internet de l'ANSM (<https://ansm.sante.fr/vos-demarches/professionel-de-sante/demande-dautorisation-dacces-compassionnel>).

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

Un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès compassionnel (AAC) vous a été prescrit. Ceci implique un traitement de données personnelles sur votre santé, c'est à dire des informations qui portent sur vous, votre santé, vos habitudes de vie.

Ce document vous informe sur les données personnelles qui sont recueillies et leur traitement, c'est-à-dire l'utilisation qui en sera faite. Le responsable du traitement des données est Bristol Myers Squibb. Il s'agit du laboratoire exploitant le médicament en accès compassionnel.

À quoi vont servir vos données ?

Pour pouvoir relever d'une AAC un médicament doit remplir plusieurs critères : présenter plus de bénéfices que de risques et le traitement ne peut attendre que le médicament soit autorisé au titre de l'AMM. Vos données personnelles et en particulier les informations sur votre réponse au traitement, permettront d'évaluer en continu si ces critères sont toujours remplis.

Vos données personnelles pourront-elles être réutilisées par la suite ?

Vos données personnelles, pseudo-anonymisées, pourront également être utilisées ensuite pour faire de la recherche, étude ou de l'évaluation dans le domaine de la santé.

Cette recherche se fera dans les conditions autorisées par le Règlement européen général sur la protection des données (RGPD) et la loi du 6 janvier 1978 modifiée dite loi « informatique et liberté » et après accomplissement des formalités nécessaire auprès de la CNIL. Dans ce cadre, elles pourront être utilisées de manière complémentaire avec d'autres données vous concernant. Cela signifie que vos données personnelles collectées au titre de l'accès compassionnel pourront être croisées avec des données du système national des données de santé (SNDS), qui réunit plusieurs bases de données de santé (telles que les données de l'Assurance maladie et des hôpitaux).

Vous pouvez vous opposer à cette réutilisation à des fins de recherche auprès du médecin qui vous a prescrit ce médicament.

Les informations relatives à une nouvelle recherche à partir de vos données seront disponibles sur le site du *Health Data Hub* qui publie un résumé du protocole de recherche pour tous les projets qui lui sont soumis : <https://www.health-data-hub.fr/projets>

Sur quelle loi se fonde le traitement des données ?

Ce traitement de données est fondé sur une obligation légale à la charge de l'industriel, responsable du traitement, (article 6.1.c du [RGPD](#)) telle que prévue aux articles [L. 5121-12-1 et suivants du Code de la santé publique](#) relatifs au dispositif d'accès compassionnel.

La collecte de données de santé est justifiée par un intérêt public dans le domaine de la santé (article 9.2.i) du RGPD.

Quelles sont les données collectées ?

Votre médecin et le pharmacien qui vous a donné le médicament seront amenés à collecter les données personnelles suivantes autant que de besoin aux fins de transmission au laboratoire pharmaceutique :

- votre identification : numéro, les trois premières lettres de votre nom et les deux premières lettres de votre prénom, sexe, poids, taille, âge ou année et mois de naissance ou date de naissance complète si nécessaire dans un contexte pédiatrique ;
- les informations relatives à votre état de santé : notamment l'histoire de votre maladie, vos antécédents personnels ou familiaux, vos autres maladies ou traitements ;
- les informations relatives aux conditions d'utilisation du médicament impliquant notamment : l'identification des professionnels de santé vous prenant en charge (médecins prescripteurs et pharmaciens dispensateurs, etc.), vos autres traitements, les informations relatives aux modalités de prescription et d'utilisation du médicament ;
- l'efficacité du médicament ;
- la nature et la fréquence des effets indésirables du médicament (ce sont les conséquences désagréables du traitement que vous pourriez ressentir : douleur, nausées, diarrhées, etc.) ;
- les motifs des éventuels arrêts de traitement.

À conserver uniquement lorsqu'elles sont strictement nécessaires au regard du produit prescrit et de la pathologie en cause.

Sont également collectées :

- les données génétiques

Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités de Bristol Myers Squibb et ses éventuels sous-traitants (société de recherche sous contrat) sous une forme pseudo-anonymisées. Vous ne serez identifié que par les trois premières lettres de votre nom et les deux premières lettres de votre prénom, ainsi que par votre âge.

Vos données pourront également être transmises au personnel habilité des autres sociétés du groupe Bristol Myers Squibb auquel appartient Bristol-Myers Squibb..

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 Bristol Myers Squibb à l'ANSM ainsi qu'au centre régional de pharmacovigilance désigné en charge du suivi du médicament le cas échéant.

Le résumé de ces rapports est également susceptible d'être adressé aux médecins qui ont prescrit le médicament, aux pharmaciens qui l'ont délivré ainsi qu'aux centres antipoison.

Cette synthèse, ce rapport et ce résumé ne comprendront aucune information permettant de vous identifier.

Transferts hors Union européenne

Vos données pourront faire l'objet d'un transfert vers des organismes établis en dehors de l'Union européenne lorsque le transfert est strictement nécessaire à la mise en œuvre du traitement de vos données.

À cette fin, le laboratoire met en place les garanties nécessaires pour assurer la protection de vos droits en matière de protection des données personnelles, quel que soit le pays où vos données personnelles sont transférées.

Bristol Myers Squibb s'engage ainsi à garantir la protection de vos données par la signature de clauses contractuelles types établies par la Commission Européenne. De même, par le biais de ses « Binding Corporate Rules » (Code de conduite définissant la politique de Bristol-Myers Squibb en matière de transfert de données personnelles) approuvées par les autorités compétentes, Bristol Myers Squibb assure une protection appropriée et un transfert légitime des données parmi les entités du groupe et notamment à Bristol-Myers Squibb Company, sa maison mère située aux Etats-Unis.

Vous avez le droit de demander une copie de ces garanties au laboratoire pharmaceutique Bristol Myers Squibb.

Combien de temps sont conservées vos données ?

Vos données personnelles sont conservées pendant une durée de deux ans suivant l'approbation par l'ANSM du dernier rapport de synthèse pour une utilisation active. Les données seront ensuite archivées durant la durée de l'autorisation d'accès compassionnel et jusque 25 ans après expiration de cette autorisation. À l'issue de ces délais, vos données seront supprimées ou anonymisées.

Les données seront-elles publiées ?

L'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé publie sur son site internet un résumé du rapport de synthèse des informations recueillies pour l'évaluation du médicament.

Des synthèses des résultats pourront par ailleurs être publiées dans des revues scientifiques.

Aucun de ces documents publiés ne permettra de vous identifier.

Quels sont vos droits et vos recours possibles ?

Le médecin qui vous a prescrit le médicament est votre premier interlocuteur pour faire valoir vos droits sur vos données personnelles.

Vous pouvez demander à ce médecin :

- à consulter vos données personnelles ;
- à les modifier ;
- à limiter le traitement de certaines données.

Si vous acceptez d'être traité par un médicament dispensé dans le cadre d'AAC, vous ne pouvez pas vous opposer à la transmission des données listées ci-dessus ou demander leur suppression. Le droit à l'effacement et le droit à la portabilité ne sont également pas applicables à ce traitement.

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

Vous pouvez contacter directement votre médecin pour exercer ces droits.

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

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

Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières

Qui déclare ?

Tout médecin, chirurgien-dentiste, sage-femme ou pharmacien ayant eu connaissance d'un effet indésirable susceptible d'être dû au médicament doit en faire la déclaration. Les autres professionnels de santé peuvent également déclarer tout effet indésirable suspecté d'être dû au médicament, dont ils ont connaissance.

En outre, les professionnels de santé sont encouragés à déclarer toute situation particulière.

Le patient ou son représentant mandaté (personne de confiance qu'il a désignée, associations agréées sollicitées par le patient) peut déclarer les effets indésirables/situations particulières qu'il, ou son entourage, suspecte d'être liés à l'utilisation du médicament.

Que déclarer ?

Tous les effets indésirables, graves et non graves, survenant dans des conditions d'utilisation conformes ou non conformes aux termes de l'autorisation, y compris en cas de surdosage, de mésusage, d'usage détourné, d'abus, d'erreur médicamenteuse, d'exposition professionnelle, d'interaction médicamenteuse, d'un défaut de qualité d'un médicament ou de médicaments falsifiés, d'une exposition en cours de grossesse (maternelle ou via le sperme), d'une exposition paternelle (altération potentielle des spermatozoïdes), d'une exposition au cours de l'allaitement.

En outre, il convient également de déclarer toute situation particulière :

- toute erreur médicamenteuse sans effet indésirable, qu'elle soit avérée, potentielle ou latente,
- toute suspicion d'inefficacité thérapeutique (partielle ou totale), en dehors des progressions naturelles de la maladie sous-jacente (en particulier avec les vaccins, les contraceptifs, les traitements de pathologies mettant en jeu le pronostic vital, les résistances inattendues à des traitements médicamenteux ou toute autre situation jugée cliniquement pertinente),
- toute suspicion de transmission d'agents infectieux liée à un médicament ou à un produit,
- toute exposition à un médicament au cours de la grossesse ou de l'allaitement sans survenue d'effet indésirable ;
- toute situation jugée pertinente de déclarer.

Quand déclarer ?

Tous les effets indésirables/situations particulières doivent être déclarés dès que le professionnel de santé ou le patient en a connaissance.

Comment et à qui déclarer ?

Pour les professionnels de santé :

La déclaration se fait via les fiches de déclarations du PUT-SP auprès du laboratoire.

Pour les patients et/ou des associations de patients :

Le plus tôt possible, après la survenue du ou des effets indésirables / situations particulières auprès du médecin, du pharmacien ou de l'infirmier/ère. Il est également possible de déclarer les effets indésirables/situations particulières directement via le portail de signalement : www.signalement-sante.gouv.fr en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'une autorisation d'accès compassionnel.

D'autres supports de déclaration peuvent être utilisés, tels qu'un courrier, un courriel, ou un appel téléphonique, adressés directement au CRPV dont la personne ayant présenté l'effet indésirable dépend géographiquement. La liste indiquant l'adresse et les départements couverts par chaque CRPV est disponible sur le site Internet de l'ANSM.