

Compte rendu de séance

Numero unique de document : GT142018093
Date document : 31 décembre 2018
Direction : ONCOH
Pôle : Oncologie/Hématologie
Personne en charge : Lotfi BOUDALI

Groupe de travail Oncologie/Hématologie

Séance du vendredi 14 décembre 2018 de 14h00 à 18h00 en salle A012

Nom des participants	Statut (mentionner si Président, membre, /secrétaire, rédacteur, évaluateur)	Présent	Absent /excusé	Copie
Lotfi Boudali	Directeur ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Gaëlle Guyader	Directrice Adjointe ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Peggy Chocarne	Chef de pôle Hématologie ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Isabelle Sainte-Marie	Chef de pôle Thérapie cellulaire ONCOH	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Vincent Gazin	Chef de pôle Oncologie ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Nicolas Albin	Conseiller Médical et Scientifique ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Alexandre Moreau	Représentant France CHMP EMA DSSE	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Pierre Démolis	« Scientific advices » EMA Directeur adjoint stratégie Européenne DSSE	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Stéphane Vignot	Conseiller médical (DPAI)	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Annie Lorence	Référent ATU (DPAI)	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Emilie Breton	Evaluateur vigilances ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Emilie Patras	Evaluateur vigilances ONCOH			
Faustine Vidil	Evaluatrice vigilances ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Laetitia Belgodère	Evaluatrice clinique ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Liora Brunel	Evaluatrice clinique ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Céline Chu	Evaluatrice clinique Hémato	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Soizic Varet	Evaluatrice publicité	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Matthew Burgank	Evaluateur préclinique	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Aïda Bigot	Interne Hémato	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Doutreluingne Astrid	Interne ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Marie-Christine Bene	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Nelly Etienne-Selloum	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Françoise Grudé	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Valentina Guarino	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Bernard Guillot	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Jean-Baptiste Meric	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Laurent Mignot	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Dominique Plantaz	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Bruno Quesnel	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Christian Riché	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

Nom des participants	Statut (mentionner si Président, membre, /secrétaire, rédacteur, évaluateur)	Présent	Absent /excusé	Copie
Linda Sakhri	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Laurent Sutton	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Amina Taleb	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Benjamin Verrière	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Anne Mc Leer	CHU Grenoble	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Nathalie Hoog-Labouret	INCA	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Elisabeth Bermudez	INCA	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Manon Schwager	INCA	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Jade-Xoan Putzolu	Référent HAS	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Bachir Dahmani	Référent HAS	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Chloé Rebstock	Référent HAS	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Frédérique Nowak	Référent HAS	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Antoine Hommas	Référent HAS	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Henri Martin	Référent HAS	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Hanane Laouar	Référent HAS	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Camille Thomassin	Référent HAS	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

Points	Sujets abordés	Initiales évaluateur	Action : <i>mentionner</i> pour audition, information, adoption ou discussion	Avis EU nécessaire avant publication <i>Mentionner</i> Oui non	Liens DPI <i>Mentionner</i> Oui non
1.	Introduction				
1.1	Adoption du CR du GTOH n°8 du 09 novembre 2018	NAL	Adoption		
2.	Dossiers thématiques				
	Points d'actualité :				
2.1	- Points d'actualité : Retour CHMP du 15/10/2018 :	NAL	Information		
3.	Dossiers Produits – Substances (National)				
3.1	- ATUc Larotrectinib	LBR	Discussion		
3.2	- RTU/ATUc extension d'indication Olaparib suite résultats SOLO1	LBR	Adoption / discussion		
3.2	- ATUc Epjevy	CCH	Adoption / discussion		
4	Dossiers Produits – Substances (Europe)				
4.1	- - RTU Nplate	CCH	Discussion		
4.2	- Mésusage Nplate		Discussion		
5.	Tour de Table Tour de Table – Questions diverses :				
	- Information RTU en cours				

Déroulement de la séance

Nom du dossier	- ATUc Larotrectinib
Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (National)	<input checked="" type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input type="checkbox"/>
Numéro de dossier NL	
Nom de l'évaluateur <PRENOM><NOM>	Liora BRUNEL
Horaire de passage <Hh:mm à hh:mm>	

Nom, Prénom	DPI > 1 an	Type de lien	Niveau lien	Période	Traitement en séance		
					Si DPI > 1 an Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	Si niveau 1 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	Si niveau 2 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					Si DPI > 1 an Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	Si niveau 1 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	Si niveau 2 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					Si DPI > 1 an Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	Si niveau 1 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	Si niveau 2 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					Si DPI > 1 an Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	Si niveau 1 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	Si niveau 2 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>

Critères de passage	
Besoin d'une connaissance terrain sur des pratiques <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Besoin d'un avis collégial ou complémentaire / Absence de consensus interne et / ou avis complémentaire <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Caractère innovant du dossier <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Impact majeur de santé publique <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>

Références documentaires

Présentation de la problématique	
Demande d'ATU de cohorte par le laboratoire PFIZER	
Le laboratoire BAYER a soumis une demande d'ATU de cohorte pour les spécialités Larotrectinib 25 mg et 100 mg gélules, et Larotrectinib 20mg/mL solution buvable dans l'indication suivante:	
"Traitement des patients adultes et pédiatriques atteints de tumeurs solides localement avancées ou métastatiques présentant une fusion du gène NTRK (Neurotrophic Tyrosine Receptor Kinase) après traitement standard antérieur ou comme traitement initial lorsqu'il n'existe aucune option thérapeutique appropriée."	
Question posée	L'avis du groupe est sollicité sur cette demande d'ATU de cohorte de LAROTRECTINIB aux regards des critères d'éligibilité à ce dispositif dérogatoire de l'AMM : <ul style="list-style-type: none"> - critère de gravité - absence de traitement approprié - la mise en œuvre du traitement ne peut être différée - efficacité et la sécurité du médicament fortement présumées
Votes	10
Nombre de votants sur nombre global	10/
Nombre d'avis favorables	10
Nombre d'avis défavorables	0
Nombre d'abstention	0
Avis relatif à la question posée	
<i>Avis majoritaires</i>	
Au total	Le GTOH a rendu un avis favorable pour l'ATUc larotrectinib dans l'indication suivante : <ul style="list-style-type: none"> -Traitement des patients adultes et pédiatriques atteints de tumeurs solides localement avancées ou métastatiques présentant une fusion NTRK (Neurotrophic Tyrosine Receptor Kinase) réfractaires aux traitements standards ou en l'absence d'alternative thérapeutique appropriée.

Déroulement de la séance

Nom du dossier	- RTU/ATUc Olaparib (LYNPARZA)
Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (National)	<input checked="" type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input type="checkbox"/>
Numéro de dossier NL	
Nom de l'évaluateur <PRENOM><NOM>	Liora BRUNEL
Horaire de passage <Hh:mm à hh:mm>	

Nom, Prénom	DPI > 1 an	Type de lien	Niveau lien	Période	Traitement en séance		
					Si DPI > 1 an	Si niveau 1	Si niveau 2
					Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>

Critères de passage		
Besoin d'une connaissance terrain sur des pratiques <Arguments : champ texte>		<input type="checkbox"/>
Besoin d'un avis collégial ou complémentaire / Absence de consensus interne et / ou avis complémentaire <Arguments : champ texte>		<input type="checkbox"/>
Caractère innovant du dossier <Arguments : champ texte>		<input type="checkbox"/>
Impact majeur de santé publique <Arguments : champ texte>		<input type="checkbox"/>

Références documentaires

Présentation de la problématique

Demande d'ATU de cohorte par le laboratoire CELGENE

L'ANSM et l'INCA ont été alertés par les professionnels de santé sur l'intérêt thérapeutique de faire bénéficier d'un traitement par Lynparza (olaparib) en traitement d'entretien en monothérapie chez des patientes présentant une mutation BRCA1/2, ayant reçu une première ligne de chimiothérapie à base de platine, et atteintes d'un cancer de l'ovaire, de la trompe ou du péritoine primitif avancé de type séreux ou endométrioïde de haut grade de stade FIGO III et IV.

En effet, les nouvelles données issues de l'étude SOLO1 (1) montrent des résultats significatifs notamment en termes de contrôle de la maladie et de survie sans progression avec un profil de tolérance comparable à celui des autres populations. Une extension d'indication est actuellement en cours d'évaluation au CHMP en phase préliminaire de la procédure (1er tour), basée sur ces mêmes résultats.

(1) <https://www.nejm.org/doi/pdf/10.1056/NEJMoa1810858>

Question posée	Aussi, dans l'attente de la fin de la procédure d'AMM soumise par AstraZeneca en cours d'instruction au niveau Européen, et sans préjuger de son issue, l'avis du GTOH est sollicité quant à la mise en œuvre d'un accès anticipé au regard des critères ATUc/RTU	
	<ul style="list-style-type: none">- critère de gravité- absence de traitement approprié- la mise en œuvre du traitement ne peut être différée	
	efficacité et la sécurité du médicament fortement présumées	
Votes	11	
Nombre de votants sur nombre global		11/
Nombre d'avis favorables		11
Nombre d'avis défavorables		0
Nombre d'abstention		0
Avis relatif à la question posée		
<i>Avis majoritaires</i>	AVIS FAVORABLE dans l'indication : Lynparza (olaparib) en traitement d'entretien en monothérapie chez des patientes atteintes d'un cancer de l'ovaire, de la trompe ou du péritoine primitif avancé de type séreux ou endométrioïde de haut grade de stade FIGO III et IV avec mutation BRCA1/2 et ayant reçu une première ligne de chimiothérapie à base de platine.	
<i>Avis minoritaires</i>		
Proposition d'action :	Par	Échéance

Déroulement de la séance

Nom du dossier	- ATUc Epjevy
Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (National)	<input checked="" type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input type="checkbox"/>
Numéro de dossier NL	
Nom de l'évaluateur <PRENOM><NOM>	Celine CHU
Horaire de passage <Hh:mm à hh:mm>	

Nom, Prénom	DPI > 1 an	Type de lien	Niveau lien	Période	Traitement en séance		
					Si DPI > 1 an	Si niveau 1	Si niveau 2
					Sortie <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/>
					Absent <input type="checkbox"/>	Absent <input type="checkbox"/>	Absent <input type="checkbox"/>
					Présent <input type="checkbox"/>	Présent <input type="checkbox"/>	Présent <input type="checkbox"/>
					DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>		
					Si DPI > 1 an	Si niveau 1	Si niveau 2
					Sortie <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/>
					Absent <input type="checkbox"/>	Absent <input type="checkbox"/>	Absent <input type="checkbox"/>
					Présent <input type="checkbox"/>	Présent <input type="checkbox"/>	Présent <input type="checkbox"/>
					DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>		
					Si DPI > 1 an	Si niveau 1	Si niveau 2
					Sortie <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/>
					Absent <input type="checkbox"/>	Absent <input type="checkbox"/>	Absent <input type="checkbox"/>
					Présent <input type="checkbox"/>	Présent <input type="checkbox"/>	Présent <input type="checkbox"/>
					DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>		
					Si DPI > 1 an	Si niveau 1	Si niveau 2
					Sortie <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/>	Sortie <input type="checkbox"/>
					Absent <input type="checkbox"/>	Absent <input type="checkbox"/>	Absent <input type="checkbox"/>
					Présent <input type="checkbox"/>	Présent <input type="checkbox"/>	Présent <input type="checkbox"/>
					DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>		

Critères de passage	
Besoin d'une connaissance terrain sur des pratiques <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Besoin d'un avis collégial ou complémentaire / Absence de consensus interne et / ou avis complémentaire <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Caractère innovant du dossier <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Impact majeur de santé publique <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>

Références documentaires

Présentation de la problématique

Demande d'ATU de cohorte par le laboratoire CELGENE

Le laboratoire CTI a soumis une demande d'ATU de cohorte pour la spécialité Epjeyv 100bmg, gélules, dans l'indication suivante:

"Traitement de la splénomégalie ou des symptômes liés à la maladie chez l'adulte atteint de myélofibrose primitive, de myélofibrose secondaire à la maladie de Vaquez ou de myélofibrose secondaire à la thrombocytémie essentielle, présentant d'une thrombopénie inférieure ou égale 50 000 / μ l), en l'absence d'alternative appropriée."

Question posée	L'avis du groupe est sollicité sur cette demande d'ATU de cohorte de Epjeyv (pacritinib) dans cette indication au regard des critères d'octroi d'une ATUc : <ul style="list-style-type: none"> - critère de gravité - absence de traitement approprié - la mise en œuvre du traitement ne peut être différée efficacité et la sécurité du médicament fortement présumées	
Votes	11	
Nombre de votants sur nombre global		11/
Nombre d'avis favorables		0
Nombre d'avis défavorables		11
Nombre d'abstention		0
Avis relatif à la question posée		
<i>Avis majoritaires</i>	AVIS DEFAVORABLE Avis négatif du GTOH (nombre de votes contre: 11/11) concernant la demande d'ATU de cohorte du labo pour pacritinib pour les raisons suivantes: <ul style="list-style-type: none"> - Pas d'effet démontré après échec ou traitement par ruxolitinib - Pas d'effets sur les symptômes généraux - Pas d'effet important sur le volume de la rate La disponibilité du produit en ATU reste possible pour les patients en l'absence d'alternative thérapeutique.	
<i>Avis minoritaires</i>		
Proposition d'action :	Par	Échéance

Déroulement de la séance

Nom du dossier	- RTU Nplate
Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (National)	<input checked="" type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input type="checkbox"/>
Numéro de dossier NL	
Nom de l'évaluateur <PRENOM><NOM>	Celine CHU
Horaire de passage <Hh:mm à hh:mm>	

Nom, Prénom	DPI > 1 an	Type de lien	Niveau lien	Période	Traitement en séance		
					Si DPI > 1 an Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	Si niveau 1 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	Si niveau 2 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					Si DPI > 1 an Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	Si niveau 1 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	Si niveau 2 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					Si DPI > 1 an Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	Si niveau 1 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	Si niveau 2 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					Si DPI > 1 an Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	Si niveau 1 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	Si niveau 2 Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>

Critères de passage	
Besoin d'une connaissance terrain sur des pratiques <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Besoin d'un avis collégial ou complémentaire / Absence de consensus interne et / ou avis complémentaire <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Caractère innovant du dossier <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Impact majeur de santé publique <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Références documentaires	

Présentation de la problématique

Demande d'ATU de cohorte par le laboratoire CELGENE

Dans le cadre de la pharmacovigilance de routine du produit, le laboratoire a informé l'ANSM de deux usages hors-AMM du romiplostim dans les syndromes myélodysplasiques (SMD) et dans la thrombopénie chimio-induite (TCI).

Un avis du Groupe Francophone des Myélodysplasies (GFM) a été sollicité sur l'éventualité de proposer une RTU pour romiplostim dans l'indication hors AMM des SMD ayant moins de 5% de blastes médullaires. Présentation des données transmises par le GFM.

Par ailleurs, un courrier a été envoyé au laboratoire concernant l'utilisation du romiplostim dans la TCI considérée comme un mésusage et l'avis du groupe est sollicité afin d'identifier la meilleure manière de communiquer auprès des professionnels de santé (et la cible exacte) pour alerter sur ce mésusage (par exemple : information relayée par les OMEDITs et sociétés savantes)

Question posée	L'avis du GTOH est sollicité sur la mise en œuvre d'une RTU	
Votes	9	
Nombre de votants sur nombre global		9/
Nombre d'avis favorables		9
Nombre d'avis défavorables		0
Nombre d'abstention		0
Avis relatif à la question posée		
<i>Avis majoritaires</i>	Avis positif du GTOH (nombre de votes pour: 9/9) sur l'ouverture d'une RTU du Nplate chez les patients atteints de SMD de risque intermédiaire pour les raisons suivantes: - Pas de consensus dans cette indication, un besoin médical est identifié - Un risque de LAM peut être exclu, seules sont observées des augmentations transitoires de blastes dans les études et en tenant compte, des critères suivants : - Exclusion des patients avec un taux de blastes supérieur à 5% - nécessité d'une biopsie de moelle osseuse avant instauration d'un traitement par Nplate pour exclure une fibrose -CPD à restreindre aux hématologues - dosage TPO non nécessaire (non effectué en routine) La soumission de données complémentaires par le titulaire de l'AMM et l'avis de l'INCA sont attendus dans les prochaines semaines, et permettront de finaliser l'instruction de cette RTU.	
<i>Avis minoritaires</i>		
Proposition d'action :	Par	Échéance