

# Compte rendu de séance

Numero unique de document : GT142017013

Date document : 15 février 2017

Direction : ONCOH

Pôle : Oncologie/Hématologie

Personne en charge : Alexandre Moreau

## Groupe de travail Oncologie/Hématologie

Séance du vendredi 20 janvier 2017 de 14h00 à 18h00 en salle A015

Nom des participants	Statut (mentionner si Président, membre, /secrétaire, rédacteur, évaluateur)	Présent	Absent /excusé	Copie
Alexandre Moreau	Président	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Lotfi Boudali	Président	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Marc Martin	Evaluateur	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Vincent Gazin	Evaluateur	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Aurélie Chaigneau	Evaluateur	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Nicolas Albin	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Marie-Christine Bene	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" 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 type="checkbox"/>	<input checked="" 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 type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Christian Riché	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Laurent Sutton	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Benjamin Verrière	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Nathalie Hoog-Labouret	INCA	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Elisabeth Bermudez	INCA	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Sophie Negellen	INCA	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Ghislain Grosjean	INCA	<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
<b>1.</b>	<b>Introduction</b>				
1.1	Adoption de l'ordre du jour	AMO	Adoption		
<b>2.</b>	<b>Dossiers thématiques</b>				
2.1					
<b>3.</b>	<b>Dossiers Produits – Substances (National)</b>				
3.1	AMM Daunoxome (Daunorubicine) – GALEN LIMITED	MMA	Discussion		
3.2	ATUc Midostaurine (PKC412) – NOVARTIS PHARMA S.A.S.	ACH	Discussion		
<b>4.</b>	<b>Dossiers Produits – Substances (Europe)</b>				
4.1					
<b>5.</b>	<b>Tour de Table</b>				

## Déroulement de la séance

<b>Nom du dossier</b>	AMM Daunoxome (Daunorubicine) – GALEN LIMITED
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>	Marc MARTIN
Horaire de passage <Hh:mm à hh:mm>	

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

<b>Présentation de la problématique</b>		
Daunoxome, préparation liposomale de Daunorubicine, est actuellement en arrêt de commercialisation. Le laboratoire souhaite même une abrogation de l'autorisation de mise sur le marché de ce produit. Or, nous avons eu des remontés des besoins non couverts par l'AMM de ce médicament en pédiatrie, notamment par le biais de demandes d'importation.		
<b>Question posée</b>	Un avis du GTOH est demandé sur l'intérêt d'utilisation du Daunoxome en pédiatrie, de manière à évaluer la nécessité de prendre des mesures pour assurer la disponibilité de ce produit.	
<b>Votes</b>	<b>6</b>	
Nombre de votants sur nombre global	<b>6/6</b>	
Nombre d'avis favorables	<b>6</b>	
Nombre d'avis défavorables		
Nombre d'abstention		
<b>Avis relatif à la question posée</b>		
<i>Avis majoritaires</i>	<p><b>AVIS FAVORABLE</b></p> <p>La spécialité Daunoxome dispose d'une AMM dans le traitement du sarcome de Kaposi cutanéomuqueux extensif ou viscéral. Cependant, elle n'est plus disponible en dehors des essais cliniques sur le territoire. Depuis septembre 2016, son utilisation est permise de façon très exceptionnelle au moyen d'importation dans un cadre nominatif dans la Leucémie aiguë Myéloïde (LAM) en rechute.</p> <p>Daunoxome est utilisé dans certains pays européens en première ligne de la LAM de l'enfant. Les données cliniques disponibles suggèrent que le risque de cardiotoxicité associé aux anthracyclines serait inférieur avec Daunoxome qu'avec les autres spécialités d'anthracyclines. Les données reposent sur un essai de phase 3 mené en Allemagne dans la LAM en première ligne. Cependant, la sécurité à long terme n'est pas connue et des données cliniques supplémentaires seraient nécessaires pour confirmer la moindre toxicité du daunoxome à long terme et son intérêt dans la population pédiatrique déjà exposée à une anthracycline. L'essai Myechild pourrait répondre à cette question.</p> <p>Le GTOH ne voit pas d'élément en faveur d'une abrogation de l'AMM. Bien que le besoin thérapeutique ne soit pas soutenu par des demandes d'utilisation dans cette indication depuis l'arrêt de commercialisation du Daunoxome, et en absence d'information sur les alternatives thérapeutiques utilisés en absence de Daunoxome, le GTOH se prononce à la majorité en faveur du maintien de daunoxome à disposition des patients pédiatriques atteints de LAM déjà exposés aux anthracyclines.</p>	
<i>Avis minoritaires</i>		
<b>Proposition d'action :</b>	<b>Par</b>	<b>Échéance</b>

## Déroulement de la séance

<b>Nom du dossier</b>	ATUc Midostaurine (PKC412) – NOVARTIS PHARMA S.A.S.
Dossier thématique	
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>	Aurélie CHAIGNEAU
Horaire de passage <Hh:mm à hh:mm>	

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

<b>Présentation de la problématique</b>		
Midostaurine (PKC412) est un inhibiteur oral de plusieurs tyrosines kinases incluant la protéine kinase C, FLT-3, c-KIT, VEGFR, PDGFR-alpha, et FGFR.		
Le laboratoire soumet un dossier pour la mise à disposition précoce de Midostaurine aux patients adultes présentant une leucémie aigüe myéloïde (LAM) nouvellement diagnostiquée avec une mutation FLT3, en association avec une chimiothérapie standard d'induction et de consolidation suivi d'un traitement d'entretien en monothérapie dans le cadre d'une ATU de cohorte.		
<b>Question posée</b>	Un avis du GTOH est demandé sur l'opportunité de mettre Midostaurine à disposition des patients présentant une leucémie aigüe myéloïde (LAM) nouvellement diagnostiquée avec une mutation FLT3, dans le cadre d'ATU de cohorte.	
<b>Votes</b>	<b>6</b>	
Nombre de votants sur nombre global	<b>6/6</b>	
Nombre d'avis favorables	<b>6</b>	
Nombre d'avis défavorables		
Nombre d'abstention		
<b>Avis relatif à la question posée</b>		
<i>Avis majoritaires</i>	<p><b>AVIS FAVORABLE</b></p> <p>L'avis du groupe sur cette demande d'ATU de cohorte de Midostaurine (PKC412) dans l'indication : « La Midostaurine est indiquée en association avec une chimiothérapie standard d'induction et de consolidation suivi d'un traitement d'entretien en monothérapie chez les patients adultes présentant une leucémie aigüe myéloïde (LAM) nouvellement diagnostiquée avec un mutation FLT3 et pour lesquels il n'existe pas d'alternative thérapeutique appropriée. » est favorable.</p> <p>Néanmoins, des clarifications relatives à la technique/méthode employée pour le diagnostic de la mutation FLT3+, et sur les taux d'infections liées au dispositif médical observées avec Midostaurine, sont à apportées.</p> <p>De plus, l'avis doit être consolidé par une discussion complémentaire avec avis d'hématologues sur le taux de greffes obtenu avec Midostaurine, et le contour de la population bénéficiant du traitement.</p>	
<i>Avis minoritaires</i>		
<b>Proposition d'action :</b>	<b>Par :</b>	<b>Échéance</b>

