

Numero unique de document : GT302013033

Date document : 17/12/2013

Direction : INFHEP

Pôle : Dermatologie, hépato-gastroentérologie et maladies métaboliques rares

Personne en charge : Nathalie DUMARCET

## GT30 Médicaments d'hépatogastroentérologie et des maladies métaboliques rares – n°3

Séance du 12/12/2013 de 14:00 à 16:00 en salle 2B

Nom des participants	Statut (mentionner si Président, membre, /secrétaire, rédacteur, évaluateur)	Présent	Absent /excusé	Copie
ARMENGAUD Didier	membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
BARDOU Marc	membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
BIOUR Michel	membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
De CALAN Loïk	membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
De KORWIN Jean Dominique	membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
PELLETIER Gilles	membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
SILVESTRE Patrick	membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
DE LIGNIVILLE Laure	Evaluateur GASTRO	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
DHANANI Alban	Directeur adjoint INFHEP	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
DOP Cécile	Evaluateur GASTRO	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
DUMARCET Nathalie	Présidente/chef de pôle GASTRO	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
GUYADER Gaëlle	Evaluateur GASTRO	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
KAMAL Oussama	Evaluateur GASTRO	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
MONIER Christine	Evaluateur GASTRO	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
SCHURTZ Camille	Evaluateur GASTRO	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
SEMAILLE Caroline	Directrice INFHEP	<input type="checkbox"/>	<input checked="" 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	AD	Pour adoption	non	non
1.2	Adoption du CR de GT 30 Médicaments d'hépatogastroentérologie–N° 2	AD	Pour adoption	non	
<b>2.</b>	<b>Dossiers thématiques</b>				

2.1					
<b>3.</b>	<b>Dossiers Produits – Substances (National)</b>				
3.1	BI 655066	Evaluateur ANSM	Pour discussion	non	non
<b>4.</b>	<b>Dossiers Produits – Substances (Europe)</b>				
4.1	AKYNZEO	Evaluateur ANSM	Pour discussion	Oui	
4.2	REVESTIVE	Evaluateur ANSM	Pour discussion	non	
<b>5.</b>	<b>Tour de Table</b>				

### Déroulement de la séance

<b>Nom du dossier</b>	AKYNZEO
Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>
Numéro de dossier NL	
Horaire de passage	14:10 – 15:00

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"/>		

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

Références documentaires
EMA pre-submission meeting
Scientific advice

### Présentation de la problématique

L'ANSM est en charge d'une future demande d'AMM centralisée pour la spécialité AKYNZEO dans la prévention des nausées et vomissements chimio-induits. Il s'agit d'une association fixe de deux principes actifs : le palonosétron et le netupitant, ce dernier étant une nouvelle substance active.

La France est co-rapporteur pour cette demande dont la soumission est prévue début janvier 2014.

La firme a fourni dans le cadre d'une pré-soumission des éléments préliminaires relatifs au dossier et des problématiques sont soulevées en amont de cette demande d'AMM nécessitant l'avis des experts du Groupe.

<b>Question posée</b>	1. Le programme des études réalisées tel que présenté est-il adéquat pour soutenir la demande d'AMM ?	
<b>Votes</b>	Le dossier a été discuté sans qu'un avis soit rendu en l'absence de quorum	
	Nombre de votants sur nombre global	
	Nombre d'avis favorables	
	Nombre d'avis défavorables	
	Nombre d'abstention	
<b>Avis relatif à la question posée</b>		
<i>Avis majoritaires</i>	Ce dossier préliminaire présente des insuffisances notables	
<i>Avis minoritaires</i>		
<b>Proposition d'action :</b>	<b>Par</b>	<b>Échéance</b>

<b>Question posée</b>	2. L'efficacité et la légitimité du netupitant est-elle suffisamment établie (vs autres anti-NK1)?	
<b>Votes</b>	Le dossier a été discuté sans qu'un avis soit rendu en l'absence de quorum	
	Nombre de votants sur nombre global	
	Nombre d'avis favorables	
	Nombre d'avis défavorables	
	Nombre d'abstention	
<b>Avis relatif à la question posée</b>		
<i>Avis majoritaires</i>	L'intérêt du netupitant n'apparaît pas suffisamment établi au vu des données disponibles	
<i>Avis minoritaires</i>		
<b>Proposition d'action :</b>	<b>Par</b>	<b>Échéance</b>

<b>Question posée</b>	3. La fréquence majorée des effets secondaires et l'incidence des décès chez les patients traités par l'association netupitant+palonosetron doivent-elles être discutées ?	
<b>Votes</b>	Le dossier a été discuté sans qu'un avis soit rendu en l'absence de quorum.	
	Nombre de votants sur nombre global	
	Nombre d'avis favorables	
	Nombre d'avis défavorables	
	Nombre d'abstention	
<b>Avis relatif à la question posée</b>		
	<i>Avis majoritaires</i>	Une attention particulière sera portée à l'hépatotoxicité du médicament ainsi qu'au risque d'allongement du QT
	<i>Avis minoritaires</i>	
<b>Proposition d'action :</b>	<b>Par</b>	<b>Échéance</b>

## Déroulement de la séance

<b>Nom du dossier</b>	REVESTIVE (téduglutide)
Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>
Numéro de dossier NL	
Horaire de passage	

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"/>		

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

### Références documentaires

RCP

### Présentation de la problématique

Revestive est utilisé pour le traitement du syndrome de l'intestin court chez l'adulte.

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Revestive le 30 août 2012.

Etant donné le faible nombre de patients touchés par le syndrome de l'intestin court, la maladie est dite « rare » et Revestive a été désigné comme étant un « médicament orphelin ».

Concernant les **conditions de prescription et de délivrance** et compte-tenu de l'indication et de la nécessité de coloscopies lors de l'instauration du traitement et de sa surveillance par un médecin expérimenté dans le traitement du syndrome de l'intestin court, il a été envisagé de proposer que la prescription soit réservée aux seuls gastro-entérologues hospitaliers (prescription initiale et renouvellement).

Toutefois, au vu des pratiques existantes, la question se pose de laisser également la possibilité de prescription aux anesthésistes-réanimateurs.

<b>Question posée</b>	1. Les conditions de prescription de Revestive telles que prévues (gastro-entérologues hospitaliers) sont-elles adéquates ?	
<b>Votes</b>	Le dossier a été discuté sans qu'un avis soit rendu en l'absence de quorum.	
	Nombre de votants sur nombre global	
	Nombre d'avis favorables	
	Nombre d'avis défavorables	
	Nombre d'abstention	
<b>Avis relatif à la question posée</b>		
	<i>Avis majoritaires</i>	
	<i>Avis minoritaires</i>	
<b>Proposition d'action :</b>	<b>Par</b>	<b>Échéance</b>

### Déroulement de la séance

<b>Nom du dossier</b>	BI 655066
Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (National)	<input checked="" type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input type="checkbox"/>
Numéro de dossier NL	
Horaire de passage	

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"/>		

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

<b>Références documentaires</b>
Protocole
Brochure Investigateur

<b>Présentation de la problématique</b>
L'ANSM est en charge d'une demande d'autorisation d'essai clinique concernant un nouveau médicament expérimental (BI 655066) dans la maladie de Crohn développé en phase II.

<b>Question posée</b>	1. Les pré-requis (précliniques et cliniques) sont-ils suffisants, notamment concernant le choix des doses administrées ?	
<b>Votes</b>	Le dossier a été discuté sans qu'un avis soit rendu en l'absence de quorum.	
	Nombre de votants sur nombre global	
	Nombre d'avis favorables	
	Nombre d'avis défavorables	
	Nombre d'abstention	
<b>Avis relatif à la question posée</b>		
	<i>Avis majoritaires</i>	
	<i>Avis minoritaires</i>	
<b>Proposition d'action :</b>	<b>Par</b>	<b>Échéance</b>

<b>Question posée</b>	2. Le risque de toxicité cardiaque (inhérent à la classe pharmacologique) est-il correctement anticipé ?	
<b>Votes</b>	Le dossier a été discuté sans qu'un avis soit rendu en l'absence de quorum.	
	Nombre de votants sur nombre global	
	Nombre d'avis favorables	
	Nombre d'avis défavorables	
	Nombre d'abstention	
<b>Avis relatif à la question posée</b>		
	<i>Avis majoritaires</i>	
	<i>Avis minoritaires</i>	
<b>Proposition d'action :</b>	<b>Par</b>	<b>Échéance</b>