

**Commission d'évaluation initiale du rapport entre les
bénéfices et les risques des produits de santé**

Séance du 13 novembre 2014

**Retour sur la séance de la Commission d'évaluation initiale du rapport
bénéfice/risque des produits de santé du 13 novembre 2014**

**Bilan 2013/2014 des dossiers d'Autorisation temporaire d'utilisation de cohorte (ATUc) discutés en
Commission**

Un bilan des dossiers d'autorisation temporaire d'utilisation de cohorte (ATUc) discutés en séance de Commission d'évaluation initiale du rapport bénéfice/risque des produits de santé, depuis sa création en mars 2013, a été présenté aux membres.

Les indicateurs montrent que 30 dossiers de demandes d'ATUc ont ainsi été présentés à la commission, les 2/3 concernant les domaines de l'hématologie, la cancérologie, la neurologie et l'infectiologie. Parmi ces demandes, 26 ont fait l'objet d'un avis favorable. Au 30 septembre 2014, plus de 7000 patients ont ainsi pu avoir accès précocement aux médicaments mis à disposition dans le cadre de ces ATUc.

Autorisation temporaire d'utilisation de cohorte – Cerdelga® (éliglustat)

La Commission a rendu un **avis favorable**, par dix voix pour et une abstention, à l'utilisation de Cerdelga® (éliglustat) dans le cadre d'une ATU de cohorte dans le « *Traitement à long terme des patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1 (MG1), qui sont des métaboliseurs intermédiaires (MI) ou des métaboliseurs rapides (MR) du cytochrome 2D6 (CYP2D6) et lorsqu'il existe, avec les traitements spécifiques actuellement disponibles, une contre-indication, une intolérance, une impossibilité majeure (ex : abord veineux) ou une inobservance avec échappement thérapeutique* ».

Recommandation temporaire d'utilisation – Circadin® (mélatonine)

La commission a rendu un **avis favorable** à l'unanimité pour la mise en place d'une Recommandation temporaire d'utilisation (RTU) de la **spécialité Circadin®** per os dans le traitement du trouble du rythme veille-sommeil chez l'enfant de plus de 6 ans associé à un syndrome de Rett, à l'une des maladies neurodégénératives suivantes (syndrome de Smith Magenis, syndrome d'Angelman, sclérose tubéreuse de Bourneville), ou à un trouble neurodéveloppemental envahissant (trouble du spectre autistique), après échec des mesure non pharmacologiques et pharmacologiques disponibles et aux modalités de suivi des patients telles que proposées.

La posologie recommandée de Circadin® dans le cadre de cette RTU sera de 4 à 6 mg par jour, conformément aux données de la littérature dans cette indication et chez ces populations.

A la demande de l'ANSM, un projet de protocole de suivi dans le cadre de cette RTU a été proposé par le laboratoire afin d'assurer :

- le suivi et la surveillance des patients qui bénéficieront de ce traitement,
- le recueil des modalités effectives d'utilisation du médicament,
- le recueil des données d'efficacité et de pharmacovigilance et de toute information pertinente sur l'utilisation de ce médicament afin d'en assurer un meilleur usage.

Des fiches de suivi synthétiques ont été élaborées à cet effet. Elles sont fondées principalement sur l'évaluation clinique des patients et la surveillance des effets indésirables.

Les avis rendus par les Commissions consultatives de l'ANSM constituent un des éléments pris en compte pour la décision du Directeur général de l'ANSM. Les avis des commissions ne préjugent pas des décisions de l'ANSM. Ce texte est un relevé des principales conclusions des dossiers inscrits à l'ordre du jour et ne constitue pas le compte-rendu de la séance qui sera publié prochainement.