

AUTORISATION TEMPORAIRE D'UTILISATION DE COHORTE
RESUME DU RAPPORT DE SYNTHESE N°1
ADV7103
Période du 10-Janvier-2020 au 09-Juillet-2020

1. Introduction

ADV7103 (citrate de potassium et bicarbonate de potassium 8 mEq et 24 mEq, granulés à libération prolongée) bénéficie d'une Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU) de cohorte depuis le 10 Janvier-2020 encadrée par un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations (PUT) dans l'indication suivante (pour ATU de cohorte) :

• « *Traitement de l'Acidose Tubulaire Rénale distale (ATRd) chez les patients âgés de 6 mois et plus* ».
Le PUT a été mis à jour durant la période considérée (en Juillet 2020) pour une entrée en vigueur le 04-Août-2020 (soit après la fin de période couverte par ce 1^{er} rapport) suite à la dématérialisation de l'ATUc.

L'ATUc a été initiée le 28-Fév-2020.

ADV7103 contient deux agents alcalinisants : citrate de potassium et bicarbonate de potassium.

Le citrate de potassium fournit une charge alcaline, augmente la citraturie et agit comme un agent chélateur, augmente la kaliémie et prévient la néphrocalcinose, la néphrolithiase et l'insuffisance rénale.

Le bicarbonate de potassium garantit un effet alcalinisant prolongé, et augmente la kaliémie et la citraturie en raison de la modification du transport rénal du citrate.

L'effet combiné du citrate de potassium et du bicarbonate de potassium améliore les résultats cliniques, compense le retard de croissance et réduit le risque de troubles osseux, comme le rachitisme chez les enfants et l'ostéomalacie chez les adultes.

2. Données recueillies dans le cadre de l'ATU de cohorte protocolisée

2.1. Données cliniques et démographiques recueillies

a. sur la période considérée

Au 09-Juillet-2020, trente-quatre (34) patients ont été inclus dans l'ATUc, trente-deux (32) ont été traités et vingt-quatre (24) ont été exposés. Aucun patient n'a arrêté le traitement. Les données concernant les caractéristiques des patients traités ainsi que les réponses au traitement ne sont pas disponibles. Ces données seront fournies lors du prochain rapport couvrant la période du 10- Juillet-2020 au 09-Jan-2021.

b. en cumulé

La date de début du rapport (10-Janvier-2020) correspond à la date de début de l'utilisation de l'ADV7103 en ATU de cohorte. Par conséquent, les données recueillies sur la période correspondent aux données cumulées.

2.2. Données de pharmacovigilance sur la période et en cumulé

a. sur la période considérée

Entre le 10-Janvier-2020 au 09-Juillet-2020, un (1) seul cas non-grave de pharmacovigilance, survenu chez un (1) patient, a été reçu pour le produit ADV7103 en ATUc. Ce cas est survenu en France. Aucun cas de pharmacovigilance grave ni aucun d'évolution fatale n'a été enregistré. Aucun cas de pharmacovigilance ayant conduit à une modification, interruption ou arrêt du traitement n'a été enregistré.

Aucun signal de sécurité n'a été identifié dans le cadre de l'ATU durant la période considérée.

b. en cumulé

La date de début du rapport (10-Janvier-2020) correspond à la date de début de l'utilisation de l'ADV7103 en ATU de cohorte. Par conséquent, les données recueillies sur la période correspondent aux données cumulées.

3. Conclusion

L'évaluation globale de la sécurité du produit ADV7103, sur la base des données collectées lors de essais cliniques, de l'usage compassionnel (dont l'ATUn), lors de l'ATUc et dans la littérature scientifique, ne fait pas apparaître d'autres informations importantes à notifier sur le profil d'innocuité du médicament expérimental.

ADV7103 est bien toléré dans son indication.

Sur la base des données collectées, aucune mise à jour du PUT, de la note d'information au prescripteur et/ou de la note d'information au patient n'est jugée nécessaire sur la base de données de sécurité et/ou d'efficacité disponibles à la date de clôture de ce rapport.

Le prochain rapport couvrira la période du 10-Juillet-2020 au 09-Jan-2021 et sera soumis le 09-Mar-2021.