

Décision n 2022.0351/DC/SEM du 13 octobre 2022 du collège de la Haute Autorité de santé portant renouvellement de l'autorisation d'accès précoce de la spécialité LIBMELDY

Le collège de la Haute Autorité de santé ayant valablement délibéré en sa séance du 13 octobre 2022 ;

Vu le code de la sécurité sociale, notamment les articles L. 161-37 et R. 161-78-1 et suivants ;
Vu le code de la santé publique, notamment les articles L. 5121-12 et R. 5121-68 et suivants ;
Vu le règlement intérieur du collège ;
Vu le règlement intérieur de la commission de la transparence ;
Vu la décision d'autorisation d'accès précoce de la Haute Autorité de santé n° 2022-0228 du 26 octobre 2021 ;
Vu la demande de renouvellement d'autorisation d'accès précoce présentée par le laboratoire PHARMA BLUE reçue le 15 juillet 2022 ;
Vu l'accusé d'enregistrement de demande complète notifié le 22 juillet 2022 au demandeur ;
Vu la demande d'informations complémentaires adressée par la HAS le 2 août 2022 au demandeur ;
Vu les informations complémentaires reçues le 5 août 2022 ;
Vu l'avis de la commission de la transparence du 5 octobre 2022 ;

DÉCIDE :

Article 1^{er}

L'autorisation d'accès précoce, délivrée le 26 octobre 2021 à la spécialité LIBMELDY du laboratoire PHARMA BLUE dans l'indication « Traitement de la leucodystrophie métachromatique caractérisée par des mutations bialléliques du gène de l'ARSA entraînant une réduction de l'activité enzymatique de l'ARSA chez les enfants asymptomatiques, sans manifestation clinique de la maladie, que ce soit en termes d'atteinte motrice, cognitive et/ou comportementale, atteints de la forme infantile tardive (se manifestant avant 30 mois) ou juvénile précoce (se manifestant entre 30 mois et 6 ans inclus) » est renouvelée pour une durée de 12 mois à compter de la notification de la présente décision.

Le collège rappelle que dans la doctrine d'évaluation de la HAS sur les autorisations d'accès précoce, il est précisé qu'il est attendu moins de 10 % de données manquantes.

Article 2

La directrice générale de la Haute Autorité de santé est chargée de l'exécution de la présente décision qui sera publiée au Bulletin officiel de la Haute Autorité de santé.

Fait le 13 octobre 2022

Pour le collège :
La présidente de la Haute Autorité de santé,
Pr Dominique LE GULUDEC
Signé

**AVIS SUR LES
MÉDICAMENTS****Atidarsagène autotemcel
LIBMELDY, 2-10 x 10⁶
cellules/mL,****dispersion pour perfusion****Renouvellement de l'autorisation d'accès précoce post-AMM****Adopté par la Commission de la transparence le 5 octobre 2022**

- Maladie rare
- Secteur : hôpital

Ce document est un avis rendu par la Commission de la Transparence, la décision de renouveler ou non l'autorisation d'accès précoce revient au Collège de la HAS.

L'essentiel

Avis favorable au renouvellement de l'autorisation d'accès précoce dans l'indication suivante :
« Traitement de la leucodystrophie métachromatique (LDM) caractérisée par des mutations bialléliques du gène de l'arylsulfatase A (ARSA) entraînant une réduction de l'activité enzymatique de l'ARSA chez les enfants **asymptomatiques**, sans manifestation clinique de la maladie, que ce soit en termes d'atteinte motrice, cognitive et/ou comportementale, **atteints de la forme infantile tardive (se manifestant avant 30 mois) ou juvénile précoce (se manifestant entre 30 mois et 6 ans inclus)**. »

Motif de l'examen	Renouvellement de l'autorisation d'accès précoce post-AMM
Indications concernées	LIBMELDY est indiqué dans le traitement de la leucodystrophie mé-tachromatique (LDM) caractérisée par des mutations bialléliques du gène de l'arylsulfatase A (ARSA) entraînant une réduction de l'activité enzymatique de l'ARSA : Chez les enfants asymptomatiques, sans manifestation clinique de la maladie, que ce soit en termes d'atteinte motrice, cognitive et/ou comportementale, atteints de la forme infantile tardive (se manifestant avant 30 mois) ou juvénile précoce (se manifestant entre 30 mois et 6 ans inclus).
Critères d'éligibilité à l'accès précoce	
Gravité ou rareté ou caractère invalidant de la maladie	« Sans changement depuis la dernière décision »
Traitement approprié	« Sans changement depuis la dernière décision »
Mise en œuvre du traitement	« Depuis l'octroi de l'accès précoce, 1 patient a été traité et aucun effet indésirable n'a été rapporté. »
Caractère présumé innovant de la spécialité	« Sans changement depuis la dernière décision »

Sommaire

1.	Contexte	4
2.	Indications	4
3.	Posologie et mode d'administration	4
4.	Données issues du PUT-RD	5
5.	Appréciation des critères prévus à l'article L.5121-12 du code de la sante publique	6
5.1	Gravité ou rareté ou caractère invalidant de la maladie que la spécialité est destinée à traiter	6
5.2	Existence de traitements appropriés	6
5.3	Mise en œuvre du traitement	7
5.4	Efficacité et sécurité fortement présumées de la spécialité	7
5.5	Caractère présumé innovant de la spécialité, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent	7
6.	Conclusions de la Commission	10
7.	Recommandation de la Commission	11
8.	Informations administratives et réglementaires	12

1. Contexte

2. Indications

→ Indications concernées par la demande de renouvellement d'autorisation d'accès précoce

La demande d'autorisation accès précoce concerne un périmètre restreint de l'indication AMM de LIBEMDLY : « Traitement de la leucodystrophie métachromatique (LDM) caractérisée par des mutations bialléliques du gène de l'arylsulfatase A (ARSA) entraînant une réduction de l'activité enzymatique de l'ARSA chez les enfants **asymptomatiques**, sans manifestation clinique de la maladie, que ce soit en termes d'atteinte motrice, cognitive et/ou comportementale, **atteints de la forme infantile tardive (se manifestant avant 30 mois) ou juvénile précoce (se manifestant entre 30 mois et 6 ans inclus)**. »

Cette demande est alignée avec le périmètre de remboursement pour lequel la HAS a rendu un avis favorable le 21 avril 2021¹ et avec le périmètre de l'autorisation d'accès précoce délivrée le 26 octobre 2021.

→ Autre indication ayant l'AMM non concernée par la demande de renouvellement d'autorisation d'accès précoce

« LIBEMDLY est indiqué dans le traitement de la leucodystrophie métachromatique (LDM) caractérisée par des mutations bialléliques du gène de l'arylsulfatase A (ARSA) entraînant une réduction de l'activité enzymatique de l'ARSA :

- Chez les enfants atteints de la **forme juvénile précoce, présentant des manifestations cliniques précoces de la maladie**, qui ont conservé la capacité de marcher indépendamment et avant l'apparition du déclin cognitif. »

3. Posologie et mode d'administration

Cf. RCP

4. Données issues du PUT-RD

Ce résumé couvre la période du 16 Novembre 2022 au 16 juin 2022.

Au cours de la période couverte par ce rapport, 2 patients ont été inclus dont 1 patient ayant reçu le traitement le 31 janvier 2022. Le second patient a reçu le traitement le 25 juillet 2022, sans données de suivi fournies pour celui-ci à la date du présent avis. Les données d'efficacité et de tolérance porteront donc uniquement sur le premier patient pour lequel la durée de suivi a été de 3 mois.

Caractéristiques des patients et prescripteurs

L'âge des deux patients inclus à la date de demande de l'accès précoce était respectivement de 10 mois (premier patient) et 6 ans (second patient), tous deux de sexe féminin. Le poids et la taille étaient respectivement de 8 kg et 69 cm pour le premier patient traité et 20 kg et 118 cm pour le second patient inclus. Le diagnostic a été posé dans le même temps que l'inclusion dans l'accès précoce. Le premier patient traité en janvier 2022 a reçu le traitement à l'âge de 12 mois environ.

L'activité ARSA dans le sang périphérique était de 0,1 μ kat/kg de protéine et la sulfatidurie était de 555,3 nmol/h/ml pour le premier patient traité.

Le score PEDS:DM³ à l'inclusion était de 0 pour le premier patient traité et le score GMFC-MDL⁴ était également de 0 pour le second patient inclus.

Concernant les caractéristiques des prescripteurs, les deux demandes de traitement ont été faites dans le même centre par le même spécialiste hématologue.

Données d'efficacité

L'efficacité a été évaluée selon l'âge du patient soit par le score PEDS:DM³ (pour les enfants < 18 mois) soit par le score GMFC-MLD⁴ (pour les enfants $\geq$ 18 mois).

Les données relatives à l'efficacité portent uniquement sur le premier patient traité pour lequel des données de suivi disponibles.

Concernant le premier patient traité, âgé de 12 mois lors du traitement, le score PEDS:DM évalué 3 mois après le traitement (soit à 15 mois) était compris entre 11 et 13 mois pour la dimension de motricité et entre 14 et 16 mois pour la dimension de langage.

En termes de données biologiques à 3 mois :

- le nombre de jours d'aplasie (numération absolue des neutrophiles (NAN) <0,5 G/L) a été de 18 jours
- le nombre de jours nécessaire à la greffe de plaquette⁵ a été de 40 jours.

³ Le score PEDS-DM est une échelle d'évaluation du retard de développement chez les enfants de la naissance à l'âge de 7 ans dans 6 à 8 domaines cognitifs (et 6-8 items associés) selon le rang d'âge évalué : motricité fine, motricité globale, langage réceptif, langage expressif, comportements adaptatifs, social/émotionnel, mathématiques, lecture/pré-lecture

⁴ Le GMFC-MLD est un outil développé et validé pour mesurer les capacités et limitations fonctionnelles des enfants de moins de 12 ans et plus de 18 mois (pour avoir atteint la capacité à marcher de manière indépendante), atteints de paralysie cérébrale. Il fournit une évaluation standardisée de tous les stades cliniquement pertinents de la maladie : du stade normal (GMFC-MLD niveau 0) à la perte de toute fonction motrice (GMFC-MLD niveau 6).

⁵ défini comme le premier de 3 jours consécutifs avec des niveaux de plaquettes $\geq$ 20 G/L en l'absence de support transfusionnel

Données de tolérance

Aucun effet indésirable n'a été rapporté au moment de l'administration du traitement et durant la période de déclaration du PUT-RD pour le premier patient.

Au total, les nouvelles données issues du PUT-RD ne sont pas susceptibles de modifier les conclusions précédentes (décision de la HAS du 26 octobre 2021).

5. Appréciation des critères prévus à l'article L.5121-12 du code de la sante publique

5.1 Gravité ou rareté ou caractère invalidant de la maladie que la spécialité est destinée à traiter

Aucune nouvelle donnée n'est susceptible de modifier les conclusions précédentes (décision de la HAS du 26 octobre 2021).

La spécialité est destinée à traiter une maladie grave, rare et invalidante.

5.2 Existence de traitements appropriés

5.2.1 Stratégie thérapeutique

Depuis la décision de la HAS en date du 26 octobre 2021, la stratégie thérapeutique de prise en charge de la maladie, dans laquelle la spécialité LIBMELDY 2-10 x 10⁶ cellules/mL dispersion pour perfusion, (atidarsagène autotemcel) est indiquée en accès précoce, n'a pas été modifiée.

5.2.2 Comparateurs cliniquement pertinents

Depuis la décision de la HAS en date du 26 octobre 2021, les comparateurs cliniquement pertinents n'ont pas été modifiés.

→ Conclusion

Au regard des connaissances médicales avérées, dans l'indication faisant l'objet de la demande de renouvellement d'autorisation d'accès précoce :

- pour les formes infantiles tardives (se manifestant avant 30 mois) sans manifestations cliniques de la maladie que ce soit en termes d'atteinte motrice, cognitive et/ou comportementale : il n'existe pas de comparateur cliniquement pertinent.
- pour les formes juvéniles précoces (se manifestant entre 30 mois et 6 ans inclus) sans manifestations cliniques de la maladie que ce soit en termes d'atteinte motrice, cognitive et/ou comportementale : la greffe allogénique constitue un comparateur cliniquement pertinent de LIBMELDY (atidarsagène autotemcel).

5.2.3 Traitements appropriés

Depuis la décision de la HAS en date du 26 octobre 2021, la prise en charge n'a pas été modifiée.

→ Conclusion

Il n'existe pas de traitement approprié dans l'indication faisant l'objet de la demande de renouvellement d'autorisation d'accès précoce puisque la greffe de cellules souches hématopoïétiques allogénique, seule option thérapeutique possible et réservée aux formes juvéniles, ne peut être retenue compte-tenu des données d'efficacité hétérogènes rapportées à celle-ci, des complications associées, de la nécessité de la disponibilité d'un donneur compatible et d'un délai de mise en œuvre non adapté puisque le traitement doit être instauré dans les meilleurs délais.

5.3 Mise en œuvre du traitement

Depuis la décision de la HAS en date du 26 octobre 2021, l'appréciation de la mise en œuvre du traitement n'a pas été modifiée.

Dans la mesure où la maladie est grave, qu'il n'existe pas de traitement approprié, et dans un contexte où le traitement doit être instauré dans les meilleurs délais dès diagnostic de la maladie compte-tenu de son évolution rapide, la mise en œuvre du traitement ne peut pas être différée.

5.4 Efficacité et sécurité fortement présumées de la spécialité

LIBMELDY 2-10 x 10⁶ cellules/mL dispersion pour perfusion, (atidarsagène autotemcel) a obtenu, dans l'indication considérée, une autorisation de mise sur le marché, attestant de son efficacité ou de sa sécurité.

5.5 Caractère présumé innovant de la spécialité, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent

5.5.1 Modalité de prise en charge

LIBMELDY (atidarsagène autotemcel) constitue une nouvelle option thérapeutique chez les enfants asymptomatiques, sans manifestation clinique de la maladie, que ce soit en termes d'atteinte motrice, cognitive et/ou comportementale, atteints de la forme infantile tardive (se manifestant avant 30 mois) ou juvénile précoce (se manifestant entre 30 mois et 6 ans inclus) de leucodystrophie métachromatique, pour lesquels les alternatives thérapeutiques sont limitées (prise en charge à visée symptomatique/palliative uniquement et greffe allogénique dans les formes juvéniles précoces). Il représente ainsi une nouvelle modalité de prise en charge de ces patients en termes d'efficacité, de tolérance et d'impact sur le parcours de soins pour le patient, la famille et l'organisation des soins.

5.5.2 Données disponibles

Depuis la décision de la HAS en date du 26 octobre 2021, le laboratoire a fourni des nouvelles données cliniques d'efficacité et de tolérance issues du PUT-RD (données décrites dans la section 4. du présent avis).

Depuis la décision en date du 26 octobre 2021, le laboratoire a fourni des nouvelles données de tolérance issues du suivi de pharmacovigilance (cf. *infra*).

5.5.2.1 Efficacité

Etude 205756

Depuis la décision de la HAS en date du 26 octobre 2021, l'étude 205756 évaluant la forme cryoconservée de LIBMELDY (correspondant à sa forme commercialisée) **a inclus 6 patients supplémentaires (soit 10 patients au total) avec une durée de suivi post-traitement de 2,57 années** à la date d'analyse du 22 juillet 2022. Le rapport d'étude clinique relatif aux résultats pour ces nouveaux patients n'a pas été fourni. Après demande auprès du laboratoire afin de disposer de ces données actualisées, celui-ci a informé de la mise à disposition du rapport clinique actualisé de l'étude uniquement en novembre-décembre 2022. Le rapport sera transmis par le laboratoire dès mise à disposition.

Rappel des résultats de l'étude 205756 évalués par la Commission en octobre 2021⁶ (demande d'accès précoce de LIBMELDY) : Pour rappel, l'étude 205756 est une étude de phase I/II, mono-bras, prospective, monocentrique, non randomisée, en ouvert ayant évalué l'efficacité de LIBMELDY (atidarsagène autotemcel) sous forme cryoconservée (correspondant à la formulation de l'AMM) chez des enfants présentant une LDM infantile tardive ou juvénile précoce asymptomatique.

A la date d'évaluation de la demande d'autorisation d'accès précoce par la Commission (20 octobre 2021), cette étude était toujours en cours et **seules les données d'efficacité sur 4 patients inclus (à la date d'analyse du 19 mars 2019) et les données de tolérance sur 6 patients inclus (à la date d'analyse du 15 novembre 2019) étaient disponibles.**

Concernant les résultats d'efficacité sur les 4 patients concernés, il s'agissait de 2 patients ayant une forme infantile tardive asymptomatique et 2 patients ayant une forme juvénile précoce de LDM. La durée moyenne de suivi était de 0,46 ans (min-max : 0,1 – 1,0 an) soit 5,5 mois avec des durées respectives de suivi de 30 jours, 3 mois, 6 mois et 1 an pour chacun des 4 enfants. L'activité ARSA post-traitement mesurée dans les cellules mononucléaires du sang périphérique a été dans les valeurs normales ou supra-normales pour les 4 patients durant toute leur période de suivi (jusqu'à 1 an maximum pour 1 patient).

Les données préliminaires sur le score GMFM total ont été mises en perspectives avec les données transversales de 60 patients sains du même âge issues d'une publication⁷ et ont rapporté une évolution du score similaire entre les deux groupes. Cette mise en perspective a été cependant limitée par le faible effectif de patients traités par LIBMELDY (atidarsagène autotemcel) avec un recul de suivi post-traitement limité. Les résultats sur les autres critères de jugement d'efficacité (Score IRM cérébral total, vitesse de conduction nerveuse, fonction motrice globale avec le score GMFC-LDM) ont été cohérents avec ceux observés avec les études de LIBMELDY (atidarsagène autotemcel) sous forme fraîche.

⁶ HAS – Demande d'autorisation d'accès précoce pour une indication disposant d'une AMM – LIBMELDY – 20 octobre 2021. Site HAS https://www.has-sante.fr/jcms/p_3295376/fr/libmeldy-2-10-x-106-cellules/ml-dispersion-pour-perfusion-atidarsagene-autotemcel-leucodystrophie-metachromatique (consulté le 29/09/2022)

⁷ Palisano R, Rosenbaum P et al. Development and reliability of a system to classify gross motor function in children with cerebral palsy. Dev Med Child Neurol. 1997;39:214-23.

Usages à titre compassionnel à l'international

Sur la période entre l'octroi de l'AMM (17 décembre 2020) et le 23 juin 2022, le traitement a été donné à titre compassionnel nominatif à 8 patients à l'international (5 en Italie et 3 aux Etats-Unis). Les données d'efficacité clinique n'ont pas été recueillies dans le cadre de cet usage compassionnel nominatif. Les données de tolérance ont en revanche été intégrées dans les différents PBRER soumis à l'EMA (cf. rubrique « 5.5.2.2. Tolérance » ci-dessous).

5.5.2.2 Tolérance

Le laboratoire a fourni des nouvelles données de tolérance (deux PBRER couvrant respectivement la période du 17 juin au 16 décembre 2021 et la période du 17 décembre 2021 au 16 juin 2022).

Concernant l'exposition au traitement :

- Sur la période du 17 juin au 16 décembre 2021 : 44 patients ont été exposés au traitement dont 30 ayant reçu LIBMELDY dans deux études cliniques, 9 ayant reçu LIBMELDY dans le cadre de trois programmes d'accès précoce et 5 dans le cadre d'usages compassionnels nominatifs. Un total de 29 patients a reçu la formulation fraîche de LIBMELDY et 15 patients ont reçu la forme cryoconservée (correspondant à la forme commercialisée)
- Sur la période du 17 décembre 2021 au 16 juin 2022 : 49 patients ont été exposés au traitement dont 32 ayant reçu LIBMELDY dans trois études cliniques, 9 dans le cadre de trois programmes d'accès précoce et 8 dans le cadre d'usages compassionnels nominatifs. Trois patients ont reçu la forme commercialisée de LIBMELDY.

En termes de tolérance, aucun nouveau signal supplémentaire à ceux ayant déjà été identifiés avec LIBMELDY (atidarsagène autotemcel) n'a été mis en évidence durant ces deux périodes cumulées.

Pour rappel, les risques identifiés avec LIBMELDY (atidarsagène autotemcel) sont les suivants :

Risques importants identifiés	- Retard de la greffe plaquettaire
Risques importants potentiels	- Malignité due à l'oncogenèse d'insertion
	- Anticorps anti-ARSA
	- Echec de la greffe
	- Utilisation hors AMM dans les autres sous-groupes de LDM
Informations manquantes	- Données de sécurité et d'efficacité à long terme

5.5.3 Plan de développement

Depuis la décision en date du 26 octobre 2021, le plan de développement n'a pas fait l'objet de modifications.

A noter que depuis la décision en date du 26 octobre 2021, le protocole de l'étude de suivi à long-terme (15 ans) LongTERM MLD ayant pour objectif l'évaluation de la sécurité, de la durabilité de l'efficacité et de la survie après traitement avec LIBMELDY (atidarsagène autotemcel) a été approuvé par l'EMA le 19 mai 2022.

Par ailleurs, un registre européen⁸, a été mis en place par des centres experts dans la collecte des données de traitement de la LDM.

5.5.4 Conclusion

Au total, ces nouvelles données ne sont pas susceptibles de modifier le caractère présumé innovant de la spécialité LIBMELDY (atidarsagène autotemcel) dans l'indication concernée.

Critères présumant le caractère innovant

- ☒ Nouvelle modalité de prise en charge de la maladie apportant un changement substantiel aux patients en termes d'efficacité, de tolérance et de parcours de soins (impact organisationnel).
- ☒ Le médicament dispose d'un plan de développement adapté et présente des résultats cliniques étayant la présomption d'un bénéfice pour le patient dans le contexte de la stratégie thérapeutique existante.
- ☒ Le médicament comble un besoin médical non ou insuffisamment couvert.

Au regard de l'ensemble de ces éléments, LIBMELDY 2-10 x 10⁶ cellules/mL dispersion pour perfusion, (atidarsagène autotemcel) demeure présumé innovant.

6. Conclusions de la Commission

Considérant l'ensemble de ces informations et après débat et vote, la Commission estime :

- ➔ La spécialité est destinée à traiter une maladie grave, rare et invalidante.
- ➔ Il n'existe toujours pas de traitement approprié dans l'indication considérée.
- ➔ La mise en œuvre du traitement ne peut toujours pas être différée.
- ➔ LIBMELDY (atidarsagène autotemcel), dans l'indication considérée, est toujours susceptible d'être innovant

La Commission donne un avis favorable au renouvellement de l'autorisation d'accès précoce de de LIBMELDY 2-10 x 10⁶ cellules/mL dispersion pour perfusion, (atidarsagène autotemcel) dans l'indication considérée.

Ce document est un avis rendu par la Commission de la Transparence, la décision de renouveler ou non l'autorisation d'accès précoce revient au Collège de la HAS.

⁸ <https://www.mldinitiative.com/> (accédé le 29/09/2022)

7. Recommandation de la Commission

La Commission recommande le renouvellement de l'autorisation d'accès précoce pour une durée de 12 mois.

Concernant le protocole d'utilisation temporaire et de recueil de données (PUT-RD) transmis par le laboratoire, la Commission rappelle que les données collectées dans le cadre des accès précoce ne peuvent se substituer à la mise en place de registres, particulièrement important dans les maladies rares et qu'il conviendrait de mettre en œuvre des mécanismes permettant d'éviter toute double saisie.

Dès que possible, les patients traités par LIBMELDY (atidarsagène autotemcel) devront donc être inclus dans le registre demandé par la Commission de la Transparence dans son avis du 21 avril 2021 afin de recueillir des données d'efficacité et de tolérance jusqu'à 15 ans après la fin du traitement. Pour rappel, la Commission a souhaité disposer « de données permettant de décrire chez tous les patients éligibles à LIBMELDY (atidarsagène autotemcel) en France, effectivement traités ou non :

- les caractéristiques des patients éligibles à LIBMELDY (notamment forme de la maladie, âge au diagnostic, âge lors du traitement, activité ARSA résiduelle et score GMFM) ;
- les conditions d'utilisation notamment le prélèvement de cellules, le conditionnement, et le traitement avec LIBMELDY pour les patients traités hors étude cliniques,
- un suivi sur l'efficacité (notamment en termes de développement moteur et neurocognitif des enfants), la qualité de vie, les éventuels facteurs prédictifs de la réponse au traitement,
- la tolérance à court, moyen et long terme. »

8. Informations administratives et réglementaires

Calendrier d'évaluation	Date d'accusé réception de la demande de renouvellement complète : 22/07/2022 Date d'examen et d'adoption : 05/10/2022
Contributions de parties prenantes (dont associations de patients et d'usagers)	Non
Expertise externe	Non
Présentations concernées	LIBMELDY 2-10 x 10⁶ cellules/ml dispersion pour perfusion Poche pour perfusion (CIP : 34009 550 795 2 1)
Exploitant et le cas échéant mandataire	PharmaBlue
AMM	Date pour l'indication concernée (procédure centralisée) : 17/12/2020 PGR Etude demandé par l'AMM : étude de suivi à long-terme (15 ans) avec évaluation de la sécurité, de la durabilité de l'efficacité et de la survie après traitement avec LIBMELDY
Conditions de prescription et de délivrance	Médicament orphelin (13/04/2007) Médicament de prescription réservée aux spécialistes en neurologie ou en pédiatrie (PRS) Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement (SPT)
Classification ATC	A16AB21