

Résumé du rapport de Synthèse

Accès précoce [inébilizumab - DCI]

Rapport n° 1, période du 25 août 2022 au 25 janvier 2023

1- Introduction

La Haute Autorité de santé (HAS) a émis un avis favorable à la demande d'accès précoce post-AMM 25/05/2022 (AAP2) pour la spécialité UPLIZNA® (inébilizumab) en monothérapie dans le traitement des troubles du spectre de la neuro-myélite optique (TSNMO) chez les patients adultes qui sont séropositifs pour les immunoglobulines G anti-aquaporine 4 (AQP4-IgG).

La déclaration de commercialisation du médicament dans le cadre de cette autorisation d'accès précoce a commencé le 25 août 2022. ([Autorisation - Minigraphie \(sante.fr\)](#))

Ce médicament a obtenu une autorisation de mise sur le marché (AMM) par l'EMA le 25 avril 2022.

2- Données recueillies

a. Caractéristiques générales des patients/prescripteurs

En date du 25 janvier 2023, des demandes d'accès précoce (AP2) à UPLIZNA® ont été déposées pour 7 patients. Les 7 patients ont reçu au moins une dose de traitement. Aucun patient n'a arrêté le traitement.

Caractéristiques générales des patients		
Âge (années)	Moyen	54,7
	Médian	55,6
	Min.	42
	Max.	62
Sexe	Rapport Femmes/Hommes	6/1

Poids (kg)	Moyen	87,23
	Médian	88,50
	Min.	70
	Max.	110

Caractéristiques de la maladie

Les 7 patients répondaient aux critères d'éligibilité (âge d'au moins 18 ans et statut séropositif pour les immunoglobulines G anti-aquaporine 4 (AQP4-IgG)). Quatre patients faisant l'objet d'un traitement d'attaque par corticothérapie et plasmaphérèse, ils étaient considérés comme naïfs. Trois patients présentant une rechute de la maladie ont précédemment reçu des traitements biologiques ou non biologiques.

Caractéristiques des prescripteurs

6 médecins ont prescrit UPLIZNA® dans le cadre du programme d'AP2. Il s'agissait de neurologues.

b. Conditions d'utilisation du médicament

Les 7 patients ont reçu UPLIZNA® conformément au protocole (dose d'attaque de 300 mg par perfusion intraveineuse, suivie par une deuxième perfusion intraveineuse de 300 mg 2 semaines plus tard). La dose d'entretien est de 300 mg par perfusion intraveineuse tous les 6 mois. Aucun patient n'a reçu UPLIZNA® selon un schéma posologique différent.

c. Données sur l'efficacité

En accord avec le PUT validé par la Haute Autorité de Santé (HAS), aucune donnée sur l'efficacité n'est recueillie au cours de ce programme.

d. Données sur la qualité de vie

En accord avec le PUT validé par la Haute Autorité de Santé (HAS), aucune donnée sur la qualité de vie n'est recueillie au cours de ce programme.

e. Données sur la pharmacovigilance nationale

Aucun effet indésirable n'a été signalé dans le cadre du programme d'accès précoce au cours de la période de référence.

Une situation spéciale a été signalée dans le cadre du programme d'accès précoce au cours de la période de référence. Un rapport d'erreur de traitement (erreur de

température de conservation du médicament qui était trop élevée) a été reçu sans identification de patient et aucun effet indésirable n'a été signalé.

Au total, aucun effet indésirable n'a été signalé au cours du programme d'autorisation d'accès précoce.

Au total, une situation spéciale a été signalée au cours du programme d'autorisation d'accès précoce.

3- Conclusion

Il n'y avait aucune différence discernable dans les caractéristiques des patients participant au programme d'accès précoce par rapport à celles des patients participant à l'étude clinique pivot dans la même indication. Pendant la période de référence de ce rapport, aucune nouvelle information sur la sécurité d'emploi n'a été obtenue à partir du programme d'accès précoce. Aucune mise à jour du protocole du programme d'accès précoce n'est recommandée.