Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD)

Accès précoce post-AMM– IMCIVREE (setmélanotide)

La demande	
Spécialité	IMCIVREE 10mg/ml, solution injectable
DCI	Setmélanotide
Indication	IMCIVREE est indiqué dans le traitement de l'obésité et le contrôle de la faim résultant d'une altération de la voie de signalisation MC4R due à une lésion confirmée de l'hypothalamus, chez les adultes et les enfants âgés de 6 ans et plus
Date d'octroi	27/07/2023. *La mise à disposition de ce médicament sera effective dans un délai maximal de 2 mois à compter de cette date*
Périodicité des rapports de synthèse	Pour chaque renouvellement le rapport de synthèse déposé devra être le plus récent possible, en tenant compte du dépôt du dossier 3 mois avant la fin de l'autorisation et du gel de base toléré de 2 mois avant le dépôt du dossier.
Renseignements administratifs	
Contact laboratoire titulaire et/ou CRO	Cemka E-mail : imcivree@cemka.fr Plateforme électronique à destination des professionnels de santé : imcivree.essaionline.com
Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire	Mark De Leeuw , MyData-TRUST SA, Boulevard Initialis, 7 bt 3 – 7000 Mons, Belgium,Rhythm.dpr@mydata-trust.info

Dernière date de mise à jour : 19/06/2026

Retrouvez toutes les informations sur ce médicament en accès précoce sur les sites internet de l'ANSM et de la HAS.

Version du modèle de PUT-RD	*Version 2.1 (Novembre 2023)*

Sommaire

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur 4

Le médicament 6

Calendrier des visites 8

Annexes 11

Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données 11

Annexe 2. Rôle des différents acteurs 35

Annexe 3. Documents d'information à destination des patients, des médecins prescripteurs et des pharmaciens avant toute prescription d'un médicament en accès précoce : IMCIVREE (setmélanotide) 39

Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières 58

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur

Vous souhaitez prescrire ou dispenser un médicament au potentiel innovant disponible au titre d'une autorisation d'accès précoce et d'une prise en charge dérogatoire par l'Assurance maladie.

Cette autorisation vous engage à :



Participer à cette démarche, c'est permettre au patient de bénéficier du traitement dans les meilleures conditions et contribuer au développement des connaissances scientifiques.

* Une autorisation d'accès précoce est toujours temporaire, délivrée pour une durée d'un an renouvelable. Elle peut être retirée ou suspendue en fonction des nouvelles données disponibles. La poursuite du traitement est toutefois possible pour les patients en cours de traitement.

Le 27/07/2023, la Haute Autorité de santé (HAS) a délivré une autorisation d'accès précoce, pour le médicament IMCIVREE (setmélanotide) dans l'indication : traitement de l'obésité et le contrôle de la faim résultant d'une altération de la voie de signalisation MC4R due à une lésion confirmée de l'hypothalamus, chez les adultes et les enfants âgés de 6 ans et plus. Ce médicament vient d'obtenir une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) et sera prochainement examiné par la Commission de la Transparence de la Haute Autorité de santé pour déterminer le bienfondé de sa prise en charge par l'assurance maladie.

Cette décision est susceptible d'évoluer (maintien, modification ou retrait) en fonction des nouvelles données. En cas de retrait ou de suspension, un dispositif de continuité de prise en charge des patients en cours de traitement est prévu.

Ce dispositif remplace l'ancien système des autorisations temporaires d'utilisation (ATU) de cohorte et de prise en charge temporaire post-AMM (PECT). Pour plus d'informations sur le dispositif d'accès précoce, veuillez consulter le site internet de la HAS.

L'accès précoce est une procédure permettant l'utilisation, à titre exceptionnel, d'un médicament dans une indication précise soit avant la délivrance d'une AMM, soit dans l'attente de sa prise en charge par l'Assurance maladie au titre de son AMM, dès lors que toutes les conditions suivantes sont remplies :

- la maladie est grave, rare ou invalidante ;
- il n'existe pas de traitement approprié ;
- l'efficacité et la sécurité de ce médicament, pour l'indication considérée, sont fortement présumées au vu des résultats des essais thérapeutiques ou le médicament a obtenu une AMM ;
- le médicament est présumé innovant ;
- la mise en œuvre du traitement ne peut être différée.

Cette autorisation d'accès précoce est subordonnée au respect d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données (PUT-RD), présent document, dont les objectifs sont les suivants :

- Apporter aux prescripteurs et aux patients toute l'information pertinente sur le médicament et son utilisation. À cette fin vous trouverez dans ce document :
  - une description du médicament ainsi que des conditions d'utilisation et de prescription complétée par le RCP du médicament disponible sur les sites de l'ANSM et de la HAS ;
  - des notes d'information que le prescripteur doit remettre au patient avant toute prescription du médicament (voir annexe 3) ;
- Organiser la surveillance des patients notamment via le recueil des effets indésirables/situations particulières auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : https://signalement.social-sante.gouv.fr
- Recueillir également des données relatives à l'utilisation du médicament en vie réelle afin d'évaluer en continu les critères permettant le maintien de l'autorisation d'accès précoce susvisée. L'analyse de ces données permettra également, à termes, de contribuer à l'évaluation de ce médicament par la commission de la transparence en vue de sa prise en charge pérenne par l'Assurance maladie. Les prescripteurs et les pharmaciens sont tenus de participer au recueil de ces informations et de les transmettre aux laboratoires. Des personnels des établissements participant à la prise en charge des patients, autres que les pharmaciens et les prescripteurs, peuvent participer à la collecte des données sous la responsabilité de ceux-ci et selon les modalités d'organisation propres à chaque établissement de santé. **Une convention entre le titulaire et l'établissement définit les modalités de dédommagement de l'établissement pour le temps consacré à la collecte de données**[1].

[1] Conformément au II de l'article R5121-70 du Code de la Santé Publique

Le médicament

> Cette section résume les principales caractéristiques du médicament et ses conditions d'utilisation. Outre ces informations, avant que soit prescrit ou dispensé un médicament dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce, il est impératif de se référer au RCP disponible sur les sites internet de l'ANSM et de la HAS.

Spécialité(s) concernée(s)

IMCIVREE 10 mg/ml, solution injectable

Caractéristiques du médicament

Setmélanotide est un agoniste sélectif du récepteur de MC4. Les récepteurs de MC4, qui se trouvent dans le cerveau, jouent un rôle dans la régulation de la faim et de la satiété ainsi que dans la dépense énergétique. En cas de forme génétique d'obésité associée à une activation insuffisante du récepteur de MC4, setmélanotide pourrait rétablir l'activité de la voie du récepteur MC4 de manière à réduire la faim et favoriser la perte de poids par la réduction de l'apport calorique et l'augmentation de la dépense énergétique

Indication

IMCIVREE est indiqué dans le traitement de l'obésité et le contrôle de la faim résultant d'une altération de la voie de signalisation MC4R due à une lésion confirmée de l'hypothalamus, chez les adultes et les enfants âgés de 6 ans et plus.

Critères d'éligibilité

Pour être éligible à l'accès précoce, le patient doit remplir l'ensemble des critères suivants :

- Patient âgé de 6 ans et plus ;
- Patient présentant une obésité hypothalamique d'origine lésionnelle confirmée.

Critères de non-éligibilité

Le patient est non éligible à l'accès précoce s'il remplit l'un des critères ci-dessous :

- Hypersensibilité à la substance active ou à l'un des excipients mentionnés dans la section 6.1 du RCP.

Conditions de prescription et de délivrance

> En complément des conditions de prescription et de délivrance, se rapporter à l'annexe 2 pour plus d'informations sur les mentions obligatoires à porter sur l'ordonnance.

- Médicament soumis à prescriptions hospitalière.
- Prescription initiale et renouvellement réservés aux spécialistes en endocrinologie, diabétologie, nutrition et pédiatrie.
- Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement.

Calendrier des visites

	Fiche d'accès au traitement	Fiche d'instaura-tion de traitement	Visites de suivi téléphonique à chaque changement de dose	Visites M1	Visites M3, M9	Visites M6, M12, M18, M24, M30, M36…
Remise des documents d'information destinés au patient par le médecin prescripteur	X					
Evaluation de la masse graisseuse et de la dépense énergétique DEXA et calorimétrie si possible[2]		X				X
Collecte de données sur les caractéristiques des patients						
Déclaration de conformité médicale aux critères d'éligibilité et de non-éligibilité	X	X				
Diagnostic et état du patient	X					
Antécédents de traitement et histoire de la maladie	X					
Mesures de suivi nécessaires à la prise en charge sans collecte de données						
Bilan biologique		X	X		X	X

[2] à adapter selon les besoins du patient et les ressources locales

Test de grossesse (chez les femmes en âge de procréer)	X			X		
Examen cutané +/- cs dermatologique[3]		X Echelle de Fitzpatrick			X Echelle de Fitzpatrick	X Echelle de Fitzpatrick
Examen cardiaque		X		X	X	X
Troubles neuropsychologiques		X			X	X
Evaluation du risque suicidaire		X Echelle de Columbia		X	X Echelle de Columbia	X Echelle de Columbia
Collecte de données sur les conditions d'utilisation						
Posologie et traitements associés	X	X	X	X	X	X
Interruption de traitement			X	X	X	X
Collecte de données d'efficacité						
Evaluation de la diminution de l'IMC ou IMC-Z (pour les < 18 ans) score et tour de taille		X	X	X	X	X
<u>Evaluation de la variation du score de faim</u> • 6-11 ans : score en une question		X	X	X	X	X

[3] si présence de naevi et besoin de suivre l'évolution, à l'appréciation du médecin

• ≥ 12 ans : score en 4 questions						
Questionnaire de qualité de vie • Questionnaire IWQoL-Kids (patients < 18 ans) Questionnaire IWQoL-Lite (patients ≥ 18 ans Nom du questionnaire		X		X		X
Collecte de données de tolérance/situations particulières						
Suivi des effets indésirables/situation particulières : auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : https://signalement.social-sante.gouv.fr		X	X	X	X	X

Annexes

Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données

- Fiche d'accès au traitement
- Fiche d'instauration de traitement (première administration)
- Fiches de suivi de traitement
- Fiche d'arrêt de traitement
- Questionnaire de qualité de vie, handicap, fonctionnement, symptômes...)

Qui contacter concernant le recueil des données :

Cemka

Numéro de téléphone.
E-mail : imcivree@cemka.fr

Le recueil des données dans le cadre du PUT-RD se fait **via une plateforme électronique prévue à cet effet**

- **Plateforme électronique :** Site web de la plateforme au format **imcivree.essaionline.com**

Pour rappel dans le cadre de l'accès précoce aux médicaments, lorsque le recueil de données d'utilisation de ces médicaments est effectué par l'intermédiaire d'outils numériques, l'identification et l'authentification à ces outils doit se faire par l'intermédiaire du service Pasrel/Plage mis en œuvre par l'ATIH[4].

[4] NOTE D'INFORMATION N° DGOS/PF2/2022/205 du 29 août 2022 relative aux modalités d'identification et d'authentification aux outils de recueil de données utilisés dans le cadre de l'accès précoce et compassionnel aux médicaments

En cas d'impossibilité de connexion à la plateforme, les fiches peuvent être transmises par mail (imcivree@cemka.fr .

Fiche d'accès au traitement

À remplir par le prescripteur et le pharmacien

Mode de transmission

Coordonnées pour transmission fiches : fax, mail ou adresse web plateforme

Date de la demande : _ _/_ _/_ _ _ _

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : | _ | _ | _ | Prénom (2 premières lettres) : | _ | _ |

Date de naissance : _ _/_ _ (MM/AAAA) Poids (kg) : | _ | _ | _ | Taille (cm) : | _ | _ | _ |

Sexe : M ☐ F ☐

> **Si femme en âge de procréer, se référer au paragraphe 4.6 du RCP.**
> L'accès précoce ne remplace pas l'essai clinique, le prescripteur doit vérifier que le patient n'est pas éligible à un essai clinique dont les inclusions sont ouvertes en France. Pour plus d'information consulter https://www.clinicaltrialsregister.eu/ ou https://clinicaltrials.gov/ .
> S'il existe une possibilité d'inclure le patient dans un essai clinique en cours dans l'indication qui fait l'objet de l'accès précoce, le patient doit être orienté vers l'essai clinique.

Le patient a-t-il déjà débuté le traitement dans le cadre d'un accès compassionnel ou dans une autre situation? ☐ Oui ☐ Non

Maladie

Diagnostic et état du patient

Obésité hypothalamique d'origine lésionnelle : ☐ Oui ☐ Non
*Si coché, le patient ne peut être inclus

Diagnostic de l'atteinte lésionnelle : ☐ Craniopharyngiome ☐ Autres : précisez :

Date du diagnostic : Cliquez ou appuyez ici pour entrer une date.

Poids maximum	| _ | _ | _ | kg
Age au poids maximum	| _ | _ | _ | an
Taille au poids maximum	| _ | _ | _ |m
IMC max (patient≥18 ans)	| _ | _ | _ | kg/m2
IMC z-score max (patient<18 ans)	| _ | _ | _ | DS
IMC (patient≥18 ans)	| _ | _ | _ | kg/m2
IMC z-score (patient<18 ans)	| _ | _ | _ | DS

Antécédents

Traitement de l'origine de la lésion :

- Résection chirurgicale : ☐ Oui ☐ Non et Date : _ _/_ _/_ _ _ _
- Radiothérapie : ☐ Oui ☐ Non et Date : _ _/_ _/_ _ _ _
- Protonthérapie : ☐ Oui ☐ Non et Date : _ _/_ _/_ _ _ _
- Autre : précisez : _____
- Non applicable ☐

Age de début de l'obésité : | _ | _ | _ | ans
Antécédent de chirurgie bariatrique : ☐ Oui ☐ Non
↳ si oui date(s) _ _/_ _/_ _ _ _ et _ _/_ _/_ _ _ _
Diabète de type 2 : ☐ Oui ☐ Non
↳si oui date de début : Cliquez ou appuyez ici pour entrer une date.
Diabète insipide : ☐ Oui ☐ Non
↳si oui date de début : Cliquez ou appuyez ici pour entrer une date.
Antécédent de pathologie psychiatrique : ☐ Oui ☐ Non
↳ Si oui, veuillez préciser : _____

Antécédent d'épisode dépressif ? ☐ Oui ☐ Non
Antécédent de tentative de suicide : ☐ Oui ☐ Non

Traitements antérieurs et/ou concomitants (incluant les soins de support)

Produit (DCI)	Posologie	Date de début du traitement	Date de fin du traitement
_____	_____	_ _/_ _/_ _ _ _	_ _/_ _/_ _ _ _
_____	_____	_ _/_ _/_ _ _ _	_ _/_ _/_ _ _ _
_____	_____	_ _/_ _/_ _ _ _	_ _/_ _/_ _ _ _
_____	_____	_ _/_ _/_ _ _ _	_ _/_ _/_ _ _ _

Comorbidités

Le patient présente- t-il des comorbidités ? ☐ Oui ☐ Non

↳Si oui, précisez : _____

Traitement par IMCIVREE (setmélanotide)

> Concernant l'utilisation du médicament notamment la posologie, les mises en garde spéciales, précautions d'emploi et contre-indications, veuillez-vous référer au RCP disponible sur les sites de l'ANSM et de la HAS.

Posologie et durée envisagée

Date d'initiation du traitement prévue le : _ _/_ _/_ _ _ _

Posologie envisagée

Population adulte et enfants de plus de 12 ans

Semaine	Dose quotidienne	Posologie envisagée
Semaine 1	1 mg une fois par jour	☐

Population pédiatrique (enfants âgés de 6 à < 12 ans)

Semaine	Dose quotidienne	Posologie envisagée
Semaine 1	0.5 mg une fois par jour	☐

Traitements concomitants et/ou soins de support

Le patient a-t-il des traitements concomitants ? ☐ Oui* ☐ Non

↳ * Si oui, merci de compléter le tableau suivant :

Produit (DCI)	Indication	Statut

_____	_____	☐ En cours ☐ Arrêté
_____	_____	☐ En cours ☐ Arrêté
_____	_____	☐ En cours ☐ Arrêté
_____	_____	☐ En cours ☐ Arrêté
_____	_____	☐ En cours ☐ Arrêté

Engagement du prescripteur

Critères d’éligibilité

Pour être éligible à l’accès précoce, le patient doit remplir l’ensemble des critères suivants :

- Patient âgé de 6 ans et plus ;
- Patient présentant une obésité hypothalamique d’origine lésionnelle confirmée.

Critères de non-éligibilité

Le patient est non éligible à l’accès précoce s’il remplit l’un des critères ci-dessous :

- Hypersensibilité à la substance active ou à l'un des excipients mentionnés dans la rubrique 6.1 du RCP.

Je certifie que le patient remplit les critères d'éligibilité et ne remplit aucun des critères de non-éligibilité ci-dessus :

☐ Oui ☐ Non

J'ai remis les documents d'information au patient (disponibles en annexe 3) et certifie que le patient a été informé de la collecte de ses données à caractère personnel : ☐ Oui ☐ Non

Une note d'information à destination des médecins prescripteurs et des pharmaciens sur le traitement de leurs données à caractère personnel est également disponible en annexe 3.

Suivi du traitement dans le cadre de l'accès précoce

La déclaration des effets indésirables et situations particulières devra être effectuée auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : https://signalement.social-sante.gouv.fr/

Médecin prescripteur	**Pharmacien**
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	
Numéro FINESS : _____	Numéro FINESS : _____
Tél : Numéro de téléphone.	Tél : Numéro de téléphone.
E-mail : xxx@domaine.com	E-mail : xxx@domaine.com

Date : _ _/_ _/_ _ _ _ Signature du médecin :	Date : _ _/_ _/_ _ _ _ Signature du pharmacien :

Fiche d'instauration de traitement

(Première administration dans le cadre de l'accès précoce – fiche à compléter uniquement pour les instaurations dans le cadre de l'accès précoce)

À remplir par le prescripteur et le pharmacien

Mode de transmission

Coordonnées pour transmission fiches : fax, mail ou adresse web plateforme

Date de la visite : _ _/_ _/_ _ _ _

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : | _ | _ | _ | Prénom (2 premières lettres) : | _ | _ |

N° patient d'accès précoce : | _ | _ | _ |

Maladie et biologie

Des modifications majeures sont-elles survenues depuis que la fiche d'accès au traitement a été complétée ?

☐ Oui ☐ Non

Si oui, précisez lesquelles :

☐Apparition d'un critère de non-éligibilité

☐Autre, précisez : _____

Engagement du prescripteur

Je confirme que le patient remplit toujours les critères d'éligibilité à l'accès précoce : ☐ Oui ☐ Non

Je confirme avoir vérifié la mise en place d'une contraception, conformément au RCP ☐ Oui ☐ Non

Conditions d'utilisation

Date de 1ère administration ou d'instauration du traitement : _ _/_ _/_ _ _ _

Posologie et durée prescrite

Si un écart de posologie est envisagé par rapport au RCP, merci de le justifier : _____

_____

Traitements concomitants (incluant les soins de support)

> À compléter si différent de la fiche d'accès au traitement.

De nouveaux traitements concomitants ont-ils été mis en place ou arrêtés ? ☐ Oui ☐ Non Si oui, merci de compléter le tableau suivant :

Produit (DCI)	Indication	Statut
	_____	☐ En cours ☐ Arrêté
	_____	☐ En cours ☐ Arrêté
	_____	☐ En cours ☐ Arrêté
	_____	☐ En cours ☐ Arrêté

Collecte du/des critère(s) d'efficacité à l'instauration du traitement

Evaluation de la diminution de l'IMC et IMCz score

Poids du patient actuel	**|** _ **|** _ **|** _ **|** kg
Taille du patient	| _ | _ | _ | m
IMC (patients ≥ 18 ans) **IMC z-score (patients < 18 ans)**	| _ | _ | _ | **kg/m2** | _ | _ | _ | **DS**
Tour de taille	| _ | _ | _ | cm
Stade pubertaire	| _ | _ | _ |

Evaluation de la variation du score de faim

Patients de 6 à 11 ans :

- Score de faim en une question : _____

Patients âgés ≥ 12 ans :

Score de faim en 4 questions : _____

Qualité de vie (IWQoL)

> À compléter par le patient par auto-questionnaire en annexe.

Pour les enfants âgés de 6 à < 18 ans :

- Questionnaire IWQoL-Kids : Score : _____

Pour les adultes :

- Questionnaire IWQoL-Lite : Score : _____

Effet(s) indésirable(s)/ Situation(s) particulière(s)

Y a-t-il eu apparition d'effet(s) indésirable(s) immédiat(s) ou une situation particulière à déclarer ?
☐ Oui ☐ Non

Si oui, procéder à leur déclaration auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : https://signalement.social-sante.gouv.fr.

Médecin prescripteur	**Pharmacien**
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	
Numéro FINESS : _____	Numéro FINESS : _____
Tél : Numéro de téléphone. E-mail : xxx@domaine.com	Tél : Numéro de téléphone. E-mail : xxx@domaine.com
Date : _ _/_ _/_ _ _ _	Date : _ _/_ _/_ _ _ _
Signature du médecin :	Signature du pharmacien :

Fiche de suivi de traitement

(Visites après la première administration)

À remplir par le prescripteur et le pharmacien

Mode de transmission

Coordonnées pour transmission fiches : fax, mail ou adresse web plateforme

Date de la visite : _ _/_ _/_ _ _ _

Les fiches de suivi sont à compléter selon la périodicité suivante : périodicité à préciser

Visite de suivi ☐ 1 mois ☐3 mois ☐6 mois ☐ 9 mois ☐ 12 mois ☐>12 mois Précisez : Cliquez ou appuyez ici pour entrer du texte. ☐visite de suivi téléphonique (changement de dose) - Précisez la date Cliquez ou appuyez ici pour entrer une date.

Identification du patient

Nom du patient *(3 premières lettres)* : | _ | _ | _ | Prénom *(2 premières lettres)* : | _ | _ |
N° patient d'accès précoce : | _ | _ | _ |

Engagement du prescripteur

Conditions d'utilisation

Date de la 1ère administration ou d'instauration du traitement: _ _/_ _/_ _ _ _

A compléter uniquement lors de la première visite de suivi.

Posologie et durée prescrite

☐ Posologie actuelle : _____ Si un écart de posologie est envisagé par rapport au RCP, merci de le justifier : _____

☐

Interruption/arrêt temporaire de traitement ☐ Oui ☐ Non

Si oui, préciser les raisons :

Si applicable, veuillez compléter le tableau ci-dessous

☐ Interruption du traitement depuis l'initiation du traitement	☐ Oui* ☐ Non Si oui, préciser La date d'interruption : _ _/_ _/_ _ _ _ Motif d'interruption : ☐ EI* ☐ Hypersensibilité à IMCIVREE ou à l'un de

	ses excipients* ☐ Autre motif : précisez : _____ La date éventuelle de réintroduction : _ _/_ _/_ _ _ _
☐ Modification de la posologie depuis la dernière visite *	☐ **Oui** ☐ **Non** Si oui préciser la nouvelle posologie _____:
Arrêt du traitement depuis l'initiation	☐ Oui** ☐ Non

* Si l'interruption est due à un effet indésirable, procéder à la déclaration auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : https://signalement.social-sante.gouv.fr.

** Veuillez compléter la fiche d'arrêt de traitement

Décision thérapeutique

Poursuite du traitement : ☐ **Oui** ☐ **Non** *

* Veuillez compléter la fiche d'arrêt de traitement

Maladie et bilan biologique

Des modifications majeures sont-elles survenues depuis la demande d'accès précoce ?
☐ Oui ☐ Non

Si oui, précisez lesquelles :

Traitements concomitants (incluant les soins de support)

> À ne compléter que si différent de la fiche d'instauration de traitement ou de la précédente fiche de suivi le cas échéant.

Les traitements concomitants ont-ils été modifiés depuis la dernière visite ? ☐Oui* ☐Non

↳ * Si oui, merci de compléter le tableau suivant :

Produit (DCI)	Indication	Statut
_____	_____	☐ En cours ☐ Arrêté
_____	_____	☐ En cours ☐ Arrêté

_____	_____	☐ En cours ☐ Arrêté
_____	_____	☐ En cours ☐ Arrêté

Évaluation de l'effet du traitement par IMCIVREE (setmélanotide)

Evaluation de la diminution de l'IMC et IMCz score

Poids du patient actuel	**|** _ **|** _ **|** _ **|** kg
Taille du patient	| _ | _ | _ | m
IMC (patients ≥ 18 ans) **IMC z-score (patients < 18 ans)**	| _ | _ | _ | **kg/m2** | _ | _ | _ | **DS**
Tour de taille	| _ | _ | _ | cm
Stade pubertaire	| _ | _ | _ |

Evaluation de la variation du score de faim

Proposer des phrases types permettant de standardiser la collecte du ou des critères d'efficacité.

Patients de 6 à 11 ans :

- Score de faim en une question : _____

Patients âgés ≥ 12 ans :

Score de faim en 4 questions : _____

Qualité de vie (IWQoL)

> À compléter par le patient par auto-questionnaire en annexe.

Préciser le mode de recueil (sur papier, sur questionnaire électronique, …) et le rythme

Effet(s) indésirable(s)/Situation(s) particulière(s)

Y a-t-il eu apparition d'effet(s) indésirable(s) ou une situation particulière à déclarer depuis la dernière visite ? ☐ Oui ☐ Non

> **Si oui**, procéder à leur déclaration auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : https://signalement.social-sante.gouv.fr.

Médecin prescripteur	**Pharmacien**
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	Nº RPPS : _____
Nº RPPS : _____	
Nº FINESS : _____	Nº FINESS : _____
Tél : Numéro de téléphone.	Tél : Numéro de téléphone.
E-mail : xxx@domaine.com	E-mail : xxx@domaine.com
Date : _ _/_ _/_ _ _ _	Date : _ _/_ _/_ _ _ _
Signature du médecin :	Signature du pharmacien :

Fiche d'arrêt définitif de traitement

*À remplir par le prescripteur **et le** pharmacien*

Date de l'arrêt définitif de traitement : _ _/_ _/_ _ _ _

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : | _ | _ | _ | Prénom (2 premières lettres) : | _ | _ |

N° patient d'accès précoce : | _ | _ | _ |

Posologie à l'arrêt du traitement : _____

Autre traitement ultérieur envisagé ou mis en place (si applicable) : _____

Raisons de l'arrêt du traitement

☐ Fin de traitement (définie dans le RCP)

☐ Survenue d'un effet indésirable suspecté d'être lié au traitement

> Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : https://signalement.social-sante.gouv.fr.

☐ Progression de la maladie

☐ Effet thérapeutique non satisfaisant

☐ Décès

- ➔ Date du décès : _ _/_ _/_ _ _ _
- ➔ Raison du décès : ☐Décès lié à un effet indésirable

> Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : https://signalement.social-sante.gouv.fr.

☐ Décès lié à la progression de la maladie

☐ Autre raison : _____

☐ Souhait du patient d'interrompre le traitement

☐ Patient perdu de vue, préciser la date de dernier contact : _ _/_ _/_ _ _ _

☐ Ne remplit plus les critères d'éligibilité, préciser : _____

☐ Autre, préciser : _____

Médecin prescripteur	**Pharmacien**
Nom/Prénom : _____ Spécialité : _____ Nº RPPS : _____ Nº FINESS : _____ Tél : Numéro de téléphone. E-mail : xxx@domaine.com Date : _ _/_ _/_ _ _ _ Signature du médecin :	Nom/Prénom : _____ Nº RPPS : _____ Nº FINESS : _____ Tél : Numéro de téléphone. E-mail : xxx@domaine.com Date : _ _/_ _/_ _ _ _ Signature du pharmacien :

Questionnaire qualité de vie, handicap, fonctionnement, symptômes ...)

À compléter par le patient

Questionnaire IWQoL-Kids pour les < 18 ans

Impact du poids sur la qualité de vie

Pour chacune des affirmations suivantes, veuillez entourer le chiffre qui correspond le mieux à votre situation au cours des sept derniers jours. Soyez le plus sincère possible. Il n'y a pas de bonnes ou de mauvaises réponses.

Confort physique		**TOUJOURS**	**LA PLUPART DU TEMPS**	**PARFOIS**	**RAREMENT**	**JAMAIS**
1.	À cause de mon poids, j'évite autant quepossible de prendre les escaliers.	1	2	3	4	5
2.	À cause de mon poids, j'ai du mal à mepencher pour faire mes lacets ou pour ramasser quelque chose par terre.	1	2	3	4	5
3.	À cause de mon poids, j'ai du mal à medéplacer.	1	2	3	4	5
4.	À cause de mon poids, j'ai du mal à rentrer dans les sièges de certains lieux publics (par exemple les cinémas, le bus,les banquettes des restaurants).	1	2	3	4	5
5.	À cause de mon poids, j'ai mal auxgenoux ou aux chevilles.	1	2	3	4	5
6.	À cause de mon poids, j'ai du mal àcroiser les jambes.	1	2	3	4	5

Image corporelle		**TOUJOURS**	**LA PLUPART DU TEMPS**	**PARFOIS**	**RAREMENT**	**JAMAIS**
7.	À cause de mon poids, j'ai honte de moncorps.	1	2	3	4	5
8.	À cause de mon poids, je ne m'aime pasbeaucoup.	1	2	3	4	5
9.	À cause de mon poids, j'évite de me regarder dans le miroir ou sur les photos.	1	2	3	4	5
10.	À cause de mon poids, j'ai du mal à croire aux compliments qu'on me fait.	1	2	3	4	5
11.	À cause de mon poids, je manque deconfiance en moi.	1	2	3	4	5
12.	À cause de mon poids, j'évite les activités pour lesquelles il faut porter unshort ou un maillot de bain.	1	2	3	4	5
13.	À cause de mon poids, j'ai beaucoup demal à trouver des vêtements qui me vont.	1	2	3	4	5
14.	À cause de mon poids, je n'aime pas mechanger ou me déshabiller devant les autres.	1	2	3	4	5

15.	À cause de mon poids, je suis gênéquand il faut passer devant tout le monde, lors d'activités à l'école.	1	2	3	4	5

© Copyright 2002 Ronette L. Kolotkin, Ph.D., Quality of Life Consulting, Durham, NC
and Children's Hospital Medical Center, Cincinnati, OH
Tous droits réservés. Ne pas utiliser sans autorisation.
Pour demander l'autorisation d'utiliser ce questionnaire, veuillez écrire à l'adresse
rkolotkin@qualityoflifeconsulting.com, ou téléphoner au (+919) 493-9995

Vie sociale		TOUJOURS	LA PLUPART DU TEMPS	PARFOIS	RAREMENT	JAMAIS
16.	À cause de mon poids, les autres m'embêtent ou se mo-quent de moi.	1	2	3	4	5
17.	À cause de mon poids, les autresparlent de moi dans mon dos.	1	2	3	4	5
18.	À cause de mon poids, les autresm'évitent.	1	2	3	4	5
19.	À cause de mon poids, les autres mefixent du regard.	1	2	3	4	5
20.	À cause de mon poids, j'ai du mal à mefaire des amis ou à garder mes amis.	1	2	3	4	5
21.	À cause de mon poids, les autrespensent que je ne suis pas très intelligent.	1	2	3	4	5

Relations familiales		TOUJOURS	LA PLUPART DU TEMPS	PARFOIS	RAREMENT	JAMAIS
22.	À cause de mon poids, certains membres de ma famille ne me trai-tentpas comme ils traitent les autres.	1	2	3	4	5
23.	À cause de mon poids, certains membres de ma famille parlent de moidans mon dos.	1	2	3	4	5
24.	À cause de mon poids, un ou plu-sieursmembres de ma famille me rejettent.	1	2	3	4	5
25.	À cause de mon poids, mes parents nesont pas fiers de moi.	1	2	3	4	5
26.	À cause de mon poids, certains membres de ma famille se moquent demoi.	1	2	3	4	5
27.	À cause de mon poids, certains membres de ma famille ne veulent pasêtre vus avec moi.	1	2	3	4	5

© Copyright 2002 Ronette L. Kolotkin, Ph.D., Quality of Life Consulting, Durham, NC
and Children's Hospital Medical Center, Cincinnati, OH
Tous droits réservés. Ne pas utiliser sans autorisation.
Pour demander l'autorisation d'utiliser ce questionnaire, veuillez écrire à l'adresse
rkolotkin@qualityoflifeconsulting.com, ou téléphoner au (+919) 493-9995

Questionnaire IWQoL-Lite (patients ≥ 18 ans)

Questionnaire sur la qualité de vie liée à la santé (IWQOL-Lite)

Pour chacune des questions suivantes, veuillez entourer le chiffre correspondantle mieux à votre situation au cours de la dernière semaine. Répondez aussi sincèrement que possible. Il n'y a pas de réponses « justes » ou « fausses ».

Mobilité		TOUT LE TEMPS	SOUVENT	PARFOIS	RAREMENT	JAMAIS
1.	À cause de mon poids, j'ai du mal àramasser les objets.	5	4	3	2	1
2.	À cause de mon poids, j'ai du mal à lacermes chaussures.	5	4	3	2	1
3.	À cause de mon poids, j'ai du mal à merelever de ma chaise.	5	4	3	2	1
4.	À cause de mon poids, j'ai du mal àprendre les escaliers.	5	4	3	2	1
5.	À cause de mon poids, j'ai du mal àm'habiller ou à me déshabiller.	5	4	3	2	1
6.	À cause de mon poids, j'ai du mal à medéplacer.	5	4	3	2	1
7.	À cause de mon poids, j'ai du mal à croiserles jambes.	5	4	3	2	1
8.	J'ai du mal à respirer au moindre effort.	5	4	3	2	1
9.	J'ai des problèmes d'articulations raides oudouloureuses.	5	4	3	2	1
10.	J'ai les chevilles et les jambes gonflées enfin de journée.	5	4	3	2	1
11.	Je me fais du souci pour ma santé.	5	4	3	2	1
Amour-propre		TOUT LE TEMPS	SOUVENT	PARFOIS	RAREMENT	JAMAIS
1.	À cause de mon poids, j'ai des complexes.	5	4	3	2	1
2.	À cause de mon poids, je n'ai pas pour moiI'estime que je devrais avoir.	5	4	3	2	1
3.	À cause de mon poids, je manque deconfiance en moi.	5	4	3	2	1
4.	À cause de mon poids, je ne m'aime pas.	5	4	3	2	1
5.	À cause de mon poids, j'ai peur d'êtrerejeté(e) par les autres.	5	4	3	2	1
6.	À cause de mon poids, j'évite de me regarder dans la glace ou sur des photos.	5	4	3	2	1
7.	À cause de mon poids, cela me gêne d'êtrevu(e) en public.	5	4	3	2	1

© 2000. Duke University Medical Center. Envoyer toute correspondance à Ronette L. Kolotkin, Ph.D; Obesity and Quality of LifeConsulting. Email: rkolotkin@yahoo.com. Telephone: 001 919 493 9995. IWQOL-Lite – French (France)

Vie sexuelle	TOUT LE	SOUVENT	PARFOIS	RAREMENT	JAMAIS

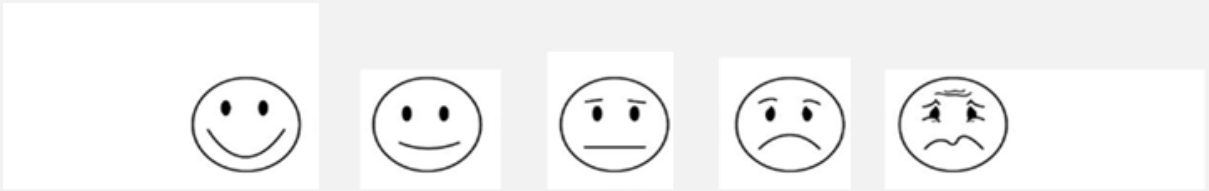
		TEMPS				
1.	À cause de mon poids, les activités sexuelles ne me procurent aucun plaisir.	5	4	3	2	1
2.	À cause de mon poids, j'éprouve peu oumême aucun désir sexuel.	5	4	3	2	1
3.	À cause de mon poids, j'ai des difficultésdans les rapports sexuels.	5	4	3	2	1
4.	À cause de mon poids, j'évite les relationssexuelles chaque fois que c'est possible.	5	4	3	2	1

Vie sociale		TOUT LE TEMPS	SOUVENT	PARFOIS	RAREMENT	JAMAIS
1.	À cause de mon poids, il m'arrive d'êtretourné(e) en ridicule, d'être l'objet de moqueries ou d'une curiosité déplacée.	5	4	3	2	1
2.	À cause de mon poids, j'ai peur de ne pastrouver un siège à ma taille dans les lieux publics (ex. : cinémas, restaurants, bus ouavions).	5	4	3	2	1
3.	À cause de mon poids, j'ai peur de ne paspouvoir passer dans des allées ou des tourniquets.	5	4	3	2	1
4.	À cause de mon poids, j'ai peur de ne pastrouver de chaises assez solides pour supporter mon poids.	5	4	3	2	1
5.	À cause de mon poids, je suis mis(e) àl'écart.	5	4	3	2	1
Travail	(Note : si vous êtes mère ou père au foyer, ou retraité(e), veuillez répondre en fonction de vos activités quotidiennes)	TOUT LE TEMPS	SOUVENT	PARFOIS	RAREMENT	JAMAIS
1.	À cause de mon poids, j'ai du mal à menerles choses à bien ou à faire face à mes responsabilités.	5	4	3	2	1
2.	À cause de mon poids, je suis moinsefficace que je pourrais l'être.	5	4	3	2	1
3.	À cause de mon poids, je ne reçois ni les augmentations de salaire, ni les promotions,ni la reconnaissance que je mérite dans mon travail.	5	4	3	2	1
4.	À cause de mon poids, j'ai peur de me présenter à des entretiens pour un emploi.	5	4	3	2	1

© 2000. Duke University Medical Center. Envoyer toute correspondance à Ronette L. Kolotkin, Ph.D., Obesity and Quality of LifeConsulting; Email: rkolotkin@yahoo.com. Telephone: 001 919 493 9995. IWQOL-Lite – French (France)

Score de faim

Patients de 6 à 11 ans :



Patients âgés ≥ 12 ans :

Veuillez encercler un chiffre pour chaque question :

1. Au cours des dernières 24 heures, en moyenne, dans quelle mesure vous êtes-vous senti(e) affamé(e) ?

0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
Pas du tout Affamé(e) — **Aussi affamé(e) que possible**

2. Au cours des dernières 24 heures, dans quelle mesure êtes-vous senti(e) affamé(e) quand vous avez eu le plus faim ?

0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
Pas du tout Affamé(e) — **Aussi affamé(e) que possible**

3. Au cours des dernières 24 heures, dans quelle mesure vous êtes-vous senti(e) affamé(e) quand vous avez eu le moins faim ?

0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
Pas du tout Affamé(e) — **Aussi affamé(e) que possible**

4. Ce matin, quand vous vous êtes réveillé(e) en début de journée, dans quelle mesure vous êtes-vous senti(e) affamé(e) ?

0	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
Pas du tout Affamé(e)										Aussi affamé(e) que possible

Annexe 2. Rôle des différents acteurs

1. Rôle des professionnels de santé

1.1. Le prescripteur

L'accès précoce implique le strict respect des mentions définies dans le résumé des caractéristiques du produit notamment les indications, les contre-indications, les conditions de prescription et de délivrance, ainsi que l'information et le suivi prospectif des patients traités tels que prévus par le PUT-RD.

Avant tout traitement, le prescripteur :

- prend connaissance du RCP et du présent PUT-RD ;
- vérifie l'éligibilité de son patient aux critères d'octroi du médicament disposant d'une autorisation d'accès précoce et certifie que celui-ci remplit les critères d'éligibilité en cochant la case prévue à cet effet;
- informe, de manière orale et écrite via le document d'information disponible en annexe 3, le patient, son représentant légal, s'il s'agit d'un mineur, la personne chargée de la mesure de protection juridique, s'il s'agit d'un majeur faisant l'objet d'une mesure de protection juridique avec représentation relative à la personne, ou la personne de confiance que le patient a désignée :
  - de l'absence d'alternative thérapeutique, des risques encourus, des contraintes et du bénéfice susceptible d'être apporté par le médicament ;
  - du caractère précoce et dérogatoire de la prise en charge par l'Assurance maladie du médicament prescrit dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce ;
  - des modalités selon lesquelles cette prise en charge peut, le cas échéant, être interrompue,
  - de la collecte de leurs données et de leurs droits relatifs à leurs données à caractère personnel.

  Lorsque l'autorisation d'accès précoce est délivrée dans une indication pour laquelle le médicament ne dispose pas d'une autorisation de mise sur le marché (AMM), le prescripteur précise que la prescription ne s'effectue pas dans le cadre d'une AMM mais d'une autorisation d'accès précoce. Le prescripteur veille à la bonne compréhension de ces informations.
- complète la fiche d'accès au traitement, en informe la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné qui la complète à son tour et la transmet au laboratoire exploitant l'autorisation d'accès précoce.

Après réception du numéro patient d'accès précoce adressé par le laboratoire, le prescripteur informe le médecin traitant du patient.

Le prescripteur indique sur l'ordonnance l'une ou l'autre des mentions suivantes :

- « prescription hors autorisation de mise sur le marché au titre d'une autorisation d'accès précoce » (pour les accès précoces pré-AMM) ;

  ou
- « prescription au titre d'une autorisation d'accès précoce » (pour les accès précoces post-AMM).

Le prescripteur est tenu de participer au recueil des données collectées dans le cadre du PUT-RD. Il transmet à l'entreprise qui assure l'exploitation du médicament les données de suivi des patients traités, selon des modalités assurant le respect du secret médical.

Lors de l'instauration du traitement, le prescripteur remplit la fiche d'instauration de traitement (J0 première administration) et planifie des visites de suivi (voir calendrier de suivi dans le PUT-RD) au cours desquelles il devra également :

- remplir la fiche de suivi correspondante,
- rechercher la survenue d'effets indésirables et situations particulières, procéder à leur déclaration, le cas échéant selon les modalités prévues en annexe 4,
- remplir la fiche d'arrêt de traitement, le cas échéant.

Chaque fiche est envoyée systématiquement et sans délai à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné pour transmission au laboratoire.

1.2. Le pharmacien

Seules les pharmacies à usage intérieur d'un établissement de santé ou les pharmaciens ayant passé convention avec un établissement de santé peuvent délivrer les médicaments sous accès précoce. Le pharmacien :

- complète la fiche d'accès au traitement ainsi que les fiches préalablement remplies par le prescripteur lors de chaque visite (lorsqu'elles existent), et les transmet au laboratoire exploitant l'autorisation d'accès précoce ;
- commande le médicament auprès du laboratoire ;
- assure la dispensation du médicament sur prescription du médecin ;
- déclare tout effet indésirable suspecté d'être lié au traitement et situations particulières qui lui seraient rapportés.

Le pharmacien est tenu de participer au recueil des données collectées dans le cadre du PUT-RD.

Des personnels des établissements participant à la prise en charge du patient, autres que les pharmaciens et les prescripteurs, peuvent participer à la collecte des données sous la responsabilité de ceux-ci et selon les modalités d'organisation propres à chaque établissement de santé.

2. Rôle du patient

Tout patient :

- prend connaissance des informations délivrées par son médecin et notamment des documents d'information sur son traitement qui lui sont remis (voir annexe 3) ;
- remplit le questionnaire de qualité de vie, handicap, fonctionnement, symptômes..., si applicable ;
- informe les professionnels de santé de tout effet indésirable ou le déclare lui-même sur le portail : https://signalement.social-sante.gouv.fr/.

3. Rôle du laboratoire

L'entreprise qui assure l'exploitation du médicament :

- réceptionne les fiches d'accès au traitement, d'instauration et de suivi, et intègre les données dans sa base de suivi de l'accès précoce ;
- adresse, au prescripteur et à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné, le numéro patient d'accès précoce, après avoir vérifié que le prescripteur ait certifié que le patient remplissait les critères d'éligibilité à l'accès précoce;
- est responsable de traitement au sens du règlement général sur la protection des données (RGPD) ;
- collecte et analyse toutes les informations recueillies dans le cadre du PUT-RD, notamment les données d'efficacité et de pharmacovigilance. Il établit selon la périodicité définie en 1er page, le rapport de synthèse accompagné d'un projet de résumé qu'il transmet à la HAS, puis transmet le résumé de ce rapport, publié par la HAS et aux médecins, aux pharmacies à usage intérieur concernées ainsi qu'à l'ensemble des CRPV et Centres antipoison ;
- respecte et applique les obligations réglementaires en matière de pharmacovigilance : il enregistre, documente, et déclare via Eudravigilance tout effet indésirable suspecté d'être dû au médicament selon les conditions prévues à l'article R. 5121-166 du Code de la santé publique et aux GVP Module VI (*Collection, management and submission of reports of suspected adverse reactions to medicinal products*) ;
- contacte l'ANSM sans délai en cas de signal émergent de sécurité (quels que soient le pays de survenue et le cadre d'utilisation du médicament concerné) ou de fait nouveau susceptible d'avoir un impact sur le rapport bénéfice/risque du médicament et nécessitant le cas échéant d'adresser rapidement une information aux utilisateurs du médicament en accès précoce (médecins, pharmaciens, patients), conformément aux GVP Module IX (*Emergent Safety Issues*) ;
- finance le recueil des données dans le cadre de l'accès précoce, s'assure de l'assurance qualité et de la collecte rigoureuse exhaustive des données ;
- s'assure du bon usage du médicament dans le cadre de l'accès précoce ;
- approvisionne en conséquence la PUI et assure le suivi de lots ;
- assure la continuité des traitements initiés dans le cadre de l'accès précoce dans les conditions visées à l'article L. 162-16-5-4 du Code de la Sécurité sociale.

4. Rôle des agences de santé (ANSM et HAS)

La HAS prend la décision d'autorisation d'accès précoce.

Lorsque le médicament, dans l'indication considérée, ne bénéficie pas encore d'une autorisation de mise sur le marché, cette décision est rendue après avis conforme de l'ANSM attestant de la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament dans l'indication concernée par l'accès précoce. L'avis conforme de l'ANSM, auxquels sont joints les RCP, notice et étiquetage, est annexé à la décision de la HAS.

Le PUT-RD, sur proposition du laboratoire, est annexé à la décision de la HAS.

La HAS diffuse sur son site internet les décisions et avis, le RCP, la notice, l'étiquetage et le PUT-RD ainsi que les résumés des rapports de synthèse.

À la suite de la délivrance de l'autorisation d'accès précoce :

- la HAS et l'ANSM prennent connaissance des informations transmises par le laboratoire et prennent toute mesure utile de manière à assurer la sécurité des patients et le bon usage du médicament ;
- La HAS évalue les rapports périodiques de synthèse et publie le résumé de ces rapports établis par le laboratoire ;
- la HAS peut être amenée à modifier le PUT-RD ou retirer/suspendre la décision d'accès précoce selon les données disponibles ;

Annexe 3. Documents d'information à destination des patients, des médecins prescripteurs et des pharmaciens avant toute prescription d'un médicament en accès précoce : IMCIVREE (setmélanotide)

Cette annexe comprend :

- un document d'information sur le dispositif d'accès précoce après autorisation de mise sur le marché ;
- une note d'information aux patients sur le traitement des données à caractère personnel ;
- une note d'information aux médecins prescripteurs et aux pharmaciens sur le traitement des données à caractère personnel.

Accès précoce à un médicament après autorisation de mise sur le marché

Ce document est destiné aux patients (ou aux parents d'un enfant mineur ou au(x) titulaire(s) de l'autorité parentale le cas échéant, pour un traitement indiqué chez l'enfant).

Votre médecin vous a proposé / a proposé pour votre enfant, mineur, un traitement par IMCIVREE (setmélanotide) du laboratoire pharmaceutique Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce à ce médicament.

Ce document a pour objectif de vous informer sur cette prescription et ce à quoi elle vous engage / vous engage vous et votre enfant. Il complète les informations de votre médecin et vous aidera à prendre une décision à propos de ce traitement.

Qu'est-ce qu'une autorisation d'accès précoce à un médicament après autorisation de mise sur le marché ?

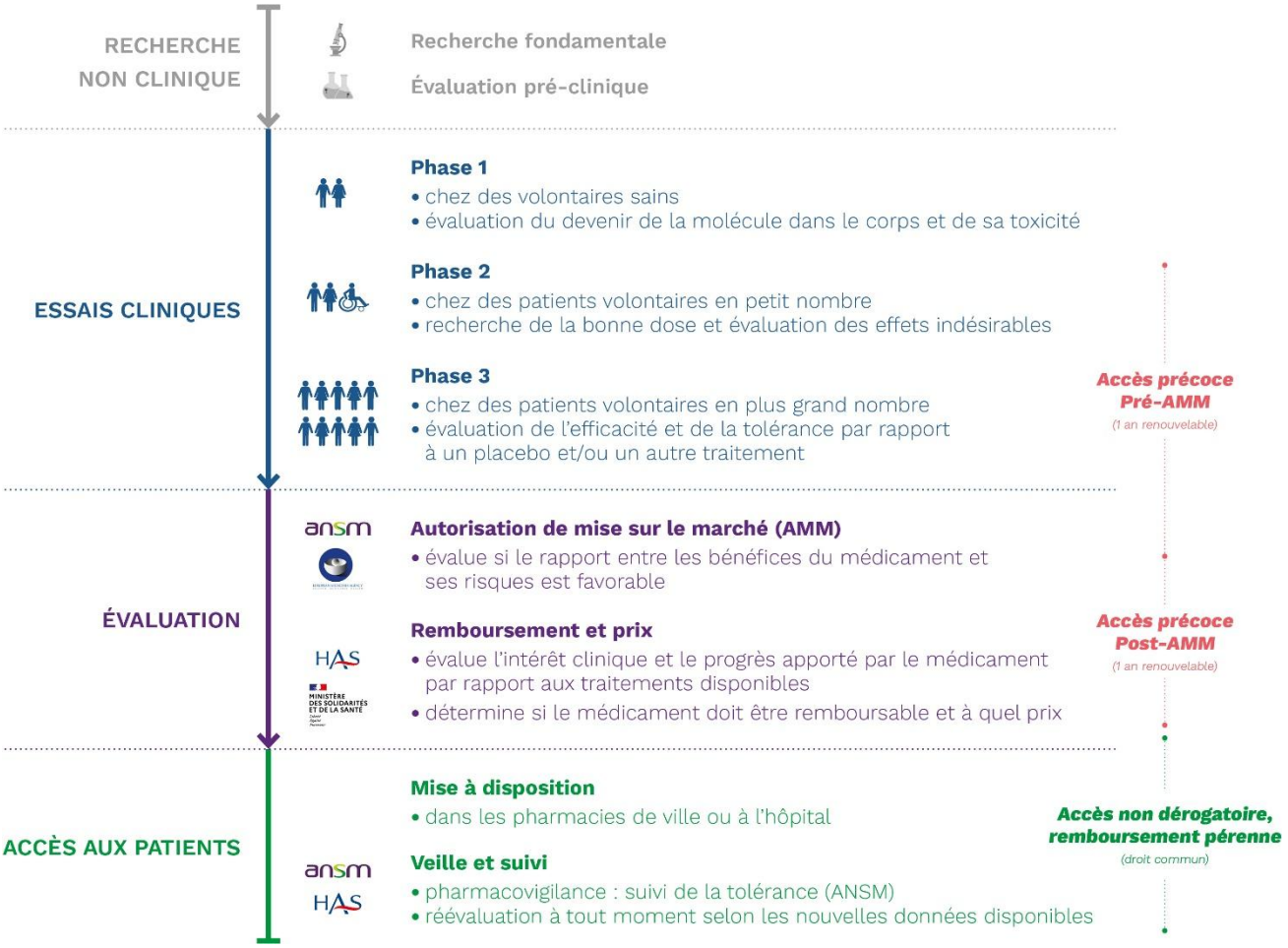
Des premières recherches jusqu'à la commercialisation, tout nouveau médicament doit franchir plusieurs étapes durant lesquelles il est évalué, dans une indication[5] donnée, pour savoir s'il est sûr et s'il apporte un réel bénéfice aux personnes malades. Ce parcours, depuis le début de la recherche fondamentale jusqu'à l'autorisation de mise sur le marché et la décision de remboursement et de prix, prend plusieurs années (voir schéma ci-dessous).

Une autorisation d'accès précoce permet à des personnes qui en ont un besoin urgent de prendre un médicament sans attendre qu'il ait franchi les dernières étapes.

C'est une solution pour qu'une personne qui a une maladie grave, rare ou invalidante reçoive rapidement un médicament lorsqu'il n'existe pas d'autre traitement approprié pour elle et que son état de santé ne permet pas d'attendre.

Les médicaments prescrits en accès précoce sont présumés innovants, ils sont susceptibles d'apporter un changement positif important aux personnes qui le prennent. Il s'agit par exemple du premier médicament disponible pour soigner cette maladie ou d'une nouvelle façon de prendre un traitement (par exemple des comprimés plutôt qu'une perfusion).

[5] Une « indication » est la maladie ou les symptômes que le médicament est capable de traiter.



Cette prescription en accès précoce est dite *dérogatoire*, ce qui veut dire que c'est une autorisation exceptionnelle accordée en dehors des règles habituelles qui s'appliquent aux médicaments en général.

Les médicaments mis à disposition dans ce cadre sont intégralement pris en charge par l'Assurance maladie, sans avance de frais de votre part. Pour connaître les conditions de prise en charge d'éventuels autres frais, comme les déplacements et les hébergements, renseignez-vous auprès de l'équipe médicale qui vous suit / qui suit votre enfant.

Le médicament que l'on vous propose / que l'on propose à votre enfant est-il sûr ? Est-ce que vous courez / est-ce qu'il court des risques en le prenant ?

Ce médicament a obtenu une « autorisation de mise sur le marché (AMM) », ce qui veut dire :

- que l'efficacité du médicament est démontrée dans l'indication considérée ;
- que sa fabrication est sûre ;
- le plus souvent, que ses effets bénéfiques pour la personne malade sont plus importants que ses conséquences désagréables. On dit qu'il a un rapport bénéfice/risque favorable (voir schéma).

Vous pouvez en parler avec votre médecin / le médecin qui suit votre enfant. N'hésitez pas à poser toutes vos questions. Il vous donnera des informations sur les bénéfices et effets attendus de ce médicament dans votre situation / la situation de votre enfant, sur ses avantages, mais aussi sur les risques, les incertitudes ou les inconvénients (effets secondaires, contraintes de prise, etc.).

Pour les patients mineurs : Votre enfant, en outre, a le droit d'être informé d'une manière adaptée. Le médecin et l'équipe ont le devoir de créer les meilleures conditions pour ce dialogue et de répondre à toutes les questions de votre enfant souhaite poser.

Vous pouvez aussi, en complément de ces informations, prendre connaissance de la notice du médicament dans sa boîte s'il y en a une ou sur la base de données publique des médicaments https://base-donnees-publique.medicaments.gouv.fr/).

Vous pouvez noter ici ce qui est important pour vous / pour votre enfant et pour vous : les questions que vous voulez poser à votre médecin, ce que vous ne voulez pas oublier de lui dire, etc..

Voici les questions que certaines personnes ont posées à leur médecin :

- Existe-t-il d'autres traitements disponibles pour moi / pour mon enfant ?
- Quelle différence avec un essai clinique ?

_____
_____
_____
_____
_____
_____

Vous êtes libre d'accepter ou de refuser la prescription de ce médicament. Votre enfant doit avoir été informé de façon adaptée.

Après avoir échangé avec votre médecin / le médecin qui suit votre enfant et avec votre enfant, c'est à vous de décider. Vous pouvez prendre le temps de réfléchir et faire appel si besoin à la personne de confiance que vous avez désignée.

À tout moment, vous avez le droit de changer d'avis et de demander à ne plus prendre ce médicament / que votre enfant ne prenne plus ce médicament. Il faut alors en informer votre médecin / le médecin qui suit votre enfant le plus tôt possible.

L'équipe qui vous suit / qui suit votre enfant doit vous apporter / lui apporter la même qualité de soins, quelle que soit votre décision. Vous ne serez pas pénalisé / votre enfant ne sera pas pénalisé en aucun cas.

En pratique, comment allez-vous recevoir ce médicament / comment votre enfant va-t-il recevoir ce médicament ?

La présentation d'un médicament et son utilisation varient d'un médicament à l'autre : en perfusion, des gélules à avaler, en inhalations, etc. Demandez des précisions à votre médecin / au médecin qui suit votre enfant ou reportez-vous à la notice du médicament (consultable sur la base de données publique des médicaments https://base-donnees-publique.medicaments.gouv.fr/).

L'utilisation de ce médicament est très encadrée, très précise. Si vous prenez / votre enfant prend ce médicament à domicile, il est important :

- de respecter les préconisations qui vous ont été données pour le prendre et le conserver (certains médicaments doivent être conservés au réfrigérateur, sont à prendre à distance des repas, etc.) ;
- de demander des précisions sur le lieu où vous pourrez le trouver. Les médicaments en accès précoce ne sont pas disponibles dans les pharmacies de ville, mais seulement dans des hôpitaux. Au besoin, demandez à l'équipe qui vous suit / qui suit votre enfant si le médicament peut être disponible dans un hôpital près de chez vous.

Mettre ici les caractéristiques du médicament, son conditionnement, les précautions d'emploi, etc.

À quoi cela engage-t-il ? Quelles seront les contraintes ?

L'utilisation précoce de ce médicament reste observée avec attention pour mieux l'évaluer et le connaître. Cette surveillance est décrite en détails dans le protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD) disponible sur le site internet de la HAS.

Votre retour / celui de votre enfant sur ce traitement est essentiel. C'est pourquoi votre avis sur ce médicament et les effets qu'il a sur vous / sur votre enfant sera recueilli à chaque visite avec votre médecin.

Votre médecin / le médecin qui suit votre enfant va vous poser des questions sur la façon dont vous prenez ce médicament / dont votre enfant prend ce médicament et rassembler des données à caractère personnel sur votre / sa santé et vos / ses habitudes de vie. Pour plus de détails sur les données à caractère personnel recueillies et vos droits, vous pouvez lire le document intitulé « Accès précoce à un médicament - Traitement des données à caractère personnel » (voir en fin de document la rubrique « Pour en savoir plus »).

Dans certains cas, vous devrez remplir par vous-même un questionnaire, en ligne ou sous format papier, qui porte sur votre qualité de vie / la qualité de vie de votre enfant avec le médicament : les impressions sur le traitement, comment vous vous sentez / comment votre enfant se sent, ce que le traitement apporte comme changement, etc. Demandez à votre médecin si vous êtes concerné / votre enfant est concerné. La qualité de vie en général avec le médicament est une information également très importante. Les impacts de la situation de santé avec le traitement sont-ils sensibles sur des domaines tels que la vie scolaire, familiale, les activités possibles, etc. ? Ces retours sont importants, vous ou votre enfant pouvez à tout moment les rapporter au médecin.

Par ailleurs, il est important que vous déclariez les effets indésirables du médicament, c'est-à-dire des conséquences inattendues et désagréables du traitement que vous pourriez ressentir / que votre enfant pourrait ressentir (maux de tête, nausées, diarrhée, etc.).

En pratique

Si vous ne vous sentez pas comme d'habitude / si votre enfant ne se sent pas comme d'habitude ou en cas de symptôme nouveau ou inhabituel : parlez-en à votre médecin / le médecin qui le suit, votre pharmacien ou à votre infirmier/ère.

Vous pouvez, en complément, déclarer les effets indésirables, en précisant qu'il s'agit d'un médicament en accès précoce, directement via le système national de déclaration - site internet : https://signalement.social-sante.gouv.fr/.

Partager l'expérience de ce traitement, permet de faire avancer les connaissances sur ce médicament, ce qui sera très utile dans la perspective de sa commercialisation éventuelle.

Lorsque l'on vous prescrit / lorsque l'on prescrit à votre enfant un médicament dans le cadre d'un accès précoce, vous n'entrez pas / votre enfant n'entre pas dans un essai clinique. L'objectif principal est de vous / le soigner et non de tester le médicament. Il n'y aura donc pas à faire d'examens supplémentaires en plus de ceux prévus dans la prise en charge habituelle.

Combien de temps dure une autorisation d'accès précoce à un médicament ?

Une autorisation d'accès précoce est toujours temporaire, dans l'attente que le médicament puisse être commercialisé et remboursé.

L'autorisation d'accès précoce à un médicament après son autorisation de mise sur le marché est délivrée pour une durée d'un an, renouvelable tous les ans jusqu'à sa prise en charge financière pérenne par l'Assurance maladie.

Elle peut être retirée ou suspendue dans des cas très particuliers, en fonction des nouvelles données, à la demande du laboratoire pharmaceutique ou des autorités de santé (pour plus d'informations sur ces retraits ou suspensions, reportez-vous au guide intitulé « Accès précoce des médicaments : accompagnement des laboratoires » disponible sur le site de la Haute Autorité de santé)

Que se passe-t-il si l'autorisation est suspendue ou retirée ?

Dans le cas où l'autorisation d'accès précoce de votre médicament / du médicament de votre enfant serait retirée ou suspendue alors qu'il vous / lui apporte des bénéfices, votre médecin / son médecin pourra quand même continuer à vous le prescrire / à le lui prescrire, si vous le souhaitez, pendant un an maximum à compter de la date de l'arrêté du ministre des Solidarités et de la Santé qui acte la fin de sa prise en charge financière par l'Assurance maladie.

Toutefois, ceci n'est pas possible si de nouvelles informations montrent que le médicament n'est pas assez sûr.

Traitement des données à caractère personnel

Le traitement par un médicament prescrit dans le cadre d'un accès précoce implique la collecte de données à caractère personnel concernant votre santé / la santé de votre enfant.

Vous trouverez des informations complémentaires relatives à vos droits / ceux de votre enfant dans la rubrique suivante : « Accès précoce à un médicament – Traitement des données à caractère personnel ».

Pour en savoir plus

- Notice du médicament que vous allez prendre : https://base-donnees-publique.medicaments.gouv.fr/
- Décision de la HAS sur cette autorisation d'accès précoce (disponible sur le site de la HAS)
- Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données de votre médicament (en annexe de la décision de la HAS)
- Informations générales sur les autorisations en accès précoce des médicaments
- Infographie sur le dispositif de l'accès précoce aux médicaments

Des associations de patients impliquées dans la maladie qui vous concerne / qui concerne votre enfant peuvent vous apporter aide et soutien. Renseignez-vous auprès de l'équipe médicale qui vous suit / qui suit votre enfant.

L'industriel peut ici préciser des noms d'associations s'il en a connaissance.

_____

_____

_____

_____

_____

_____

Ce document a été élaboré par la Haute Autorité de santé et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé, en collaboration avec des membres d'associations de patients, membres de France Assos Santé, France Lymphome Espoir, le TRT5-CHV et Eurordis ; il a été relu par des associations de patients & d'usagers, des professionnels de santé et des entreprises du médicament concernés par l'accès précoce aux médicaments.

Note d'information à destination des patients sur le traitement des données à caractère personnel

> La conformité de la présente note d'information à la réglementation applicable en matière de protection des données à caractère personnel[6] relève de la responsabilité du laboratoire Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V.

Un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce vous a été prescrit / a été prescrit à votre enfant. Ceci implique un traitement de données à caractère personnel sur votre santé / sur la santé de votre enfant. Ces données à caractère personnel sont des informations qui portent sur vous / votre enfant, votre / sa santé, vos / ses habitudes de vie.

Ce document vous informe sur les données à caractère personnel qui sont recueillies et leur traitement, c'est-à-dire l'utilisation qui en sera faite. Le responsable du traitement des données est Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V, laboratoire pharmaceutique titulaire de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament IMCIVREE (setmélanotide)

Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V s'engage à assurer la sécurité et la confidentialité de vos données à caractère personnel.

À quoi vont servir ces données ?

Pour pouvoir obtenir une autorisation d'accès précoce, un médicament doit remplir plusieurs critères : présenter plus de bénéfices que de risques, être présumé innovant, etc[7]. Vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant et en particulier les informations sur votre / sa qualité de vie avec le traitement, permettront d'évaluer en continu si ces critères sont toujours remplis.

À terme, elles permettront aussi d'évaluer le médicament en vue de sa prise en charge par l'Assurance maladie.

Vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant pourront-elles être réutilisées par la suite ?

Vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant pourront également être utilisées ensuite pour faire de la recherche, dans le cadre d'études ou de l'évaluation dans le domaine de la santé.

Le cas échéant, vous en serez informé et vous avez la possibilité de vous opposer à cette réutilisation de vos données à caractère personnel / des données à caractère personnel de votre enfant et cela, à tout moment.

[6] Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données (RGPD) et de la loi n°78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés (loi « Informatique et Libertés ») modifiée.

[7] Pour en savoir plus sur ces critères, voir le site de la HAS.

Cette recherche se fera dans les conditions autorisées par le Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données (RGPD) et la loi n°78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés modifiée dite loi « informatique et libertés » et après accomplissement des formalités nécessaire auprès de la CNIL. Dans ce cadre, elles pourront être utilisées de manière complémentaire avec d'autres données vous concernant / concernant votre enfant. Cela signifie que vos / ses données à caractère personnel collectées au titre de l'accès précoce pourront être croisées avec des données du système national des données de santé (SNDS), qui réunit plusieurs bases de données de santé (telles que les données de l'Assurance maladie et des hôpitaux).

Vous pouvez vous opposer / votre enfant peut s'opposer à cette réutilisation à des fins de recherche auprès du médecin prescripteur du médicament en accès précoce.

Ces informations seront également disponibles sur le site de la Plateforme des données de santé qui publie, sur demande du laboratoire Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V, un résumé du protocole de recherche pour tous les projets qui lui sont soumis : https://www.health-data-hub.fr/projets . Cela étant dit, les projets de recherche ne sont pas toujours publiés sur la Plateforme des données de santé.

Sur quelle loi se fonde le traitement des données ?

Ce traitement de données est fondé sur une obligation légale à la charge du laboratoire, responsable du traitement,(article 6.1.c du RGPD) telle que prévue aux articles L. 5121-12 et suivants du Code de la santé publique relatifs au dispositif d'accès précoce aux médicaments.

La collecte de données de santé est justifiée par un intérêt public dans le domaine de la santé (article 9.2.i) du RGPD).

Quelles sont les données collectées ?

Votre médecin / le médecin qui suit votre enfant et le pharmacien qui vous / lui a donné le médicament seront amenés à collecter les données à caractère personnel suivantes autant que de besoin aux fins de transmission au laboratoire pharmaceutique :

- votre identification / l'identification de votre enfant : numéro, les trois premières lettres de votre / son nom et les deux premières lettres de votre / son prénom, sexe, poids, taille, âge ou année et mois de naissance / date de naissance complète dans un contexte pédiatrique ;
- les informations relatives à votre / son état de santé : notamment l'histoire de votre / sa maladie, vos / ses antécédents personnels ou familiaux, vos / ses autres maladies ou traitements ;
- les informations relatives aux conditions d'utilisation du médicament impliquant notamment : l'identification des professionnels de santé vous / le prenant en charge (médecins prescripteurs et pharmaciens dispensateurs, etc.), vos autres traitements / les autres traitements de votre enfant, les informations relatives aux modalités de prescription et d'utilisation du médicament ;
- l'efficacité du médicament ;
- la nature et la fréquence des effets indésirables du médicament (ce sont les conséquences inattendues et désagréables du traitement que vous pourriez / votre enfant pourrait ressentir : douleur, nausées, diarrhées, etc.) ;

- les motifs des éventuels arrêts de traitement.

Pour certains traitements, des données pourront être collectées auprès de vos proches (partenaire, ascendance, descendance, etc.) / des proches de votre enfant (parents, etc.), par exemple l'efficacité et la tolérance du traitement ou la qualité de vie de l'aidant.

Vous pourrez également être invité à compléter vous-même des questionnaires relatifs à votre qualité de vie / à la qualité de vie de votre enfant.

Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités de Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V et ses éventuels sous-traitants[8] sous une forme pseudonymisée. Vous ne serez / votre enfant ne sera identifié que par les trois premières lettres de votre / son nom et les deux premières lettres de votre / son prénom, ainsi que par votre / son âge.

Vos / ses données pourront également être transmises au personnel habilité des autres sociétés du groupe Rhythm auquel RHYTHM PHARMACEUTICALS FRANCE SAS en tant que laboratoire exploitant d'IMCIVREE ainsi qu'aux prestataires respectifs de RHYTHM et de RHYTHM PHARMACEUTICALS FRANCE SAS notamment Euromed Pharma et ses sous-traitants en tant que distributeur d'IMCIVREE..

Ces informations seront traitées uniquement pour les finalités décrites ci-dessus. Un rapport de ces informations appelé rapport de synthèse ainsi qu'un résumé de ce rapport sont transmis par le laboratoire Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V à la HAS, aux ministres chargés de la Santé et de la Sécurité sociale et à l'Agence nationale de la sécurité des médicaments ainsi qu'au centre régional de pharmacovigilance désigné pour assurer au niveau national le suivi de l'accès précoce.

Le résumé de ces rapports est également susceptible d'être adressé aux médecins qui ont prescrit le médicament, aux pharmaciens qui l'ont délivré ainsi qu'aux centres antipoison.

Cette synthèse, ce rapport et ce résumé ne comprendront aucune information permettant de vous identifier / d'identifier votre enfant.

Où vos données / les données de votre enfant sont-elles conservées ?

Aux fins d'obtenir l'autorisation d'accès précoce pour le médicament IMCIVREE (setmélanotide), le laboratoire Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V pourra conserver vos données / les données de votre enfant.

[8] Ces sous-traitants peuvent être des prestataires de services informatiques (hébergement, maintenance,…), des intégrateurs de logiciels, des sociétés de sécurité informatique, des entreprises de service du numérique ou anciennement sociétés de services et d'ingénierie en informatique (SSII) qui ont accès aux données, des agences de marketing ou de communication qui traitent des données personnelles pour le compte de clients et plus généralement, tout organisme offrant un service ou une prestation impliquant un traitement de données à caractère personnel pour le compte d'un autre organisme, un organisme public ou une association peut également constituer un sous-traitant.

Ces données peuvent être conservées dans un entrepôt de données de santé. Les entrepôts de données de santé sont des bases de données destinées à être utilisées notamment à des fins de recherches, d'études ou d'évaluations dans le domaine de la santé.

Dans l'hypothèse où vos / ses données sont conservées dans un entrepôt de données de santé, le laboratoire Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V vous en informera explicitement et vous indiquera le lien vers le portail de transparence dédié.

Le laboratoire conservera vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant [indiquer le lieu de stockage des données à caractère personnel collectées dans le cadre de la demande d'autorisation d'accès précoce].

Transferts hors Union européenne

> https://www.cnil.fr/fr/transferer-des-donnees-hors-de-lue ;
> - Lignes directrices du CEPD : recommandations 01/2020, guidelines 05/2021 , guidelines 2/2018

Vos données / les données de votre enfant feront l'objet d'un transfert vers des organismes établis en dehors de l'Union européenne lorsque le transfert est strictement nécessaire à la mise en œuvre du traitement de vos données.

Lorsque les données font l'objet d'un transfert en-dehors de l'Union européenne, le laboratoire vous informe par écrit de l'identité des destinataires du transfert portant sur vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant. Le laboratoire vous indique également si le transfert s'effectue à destination d'un pays ou d'une organisation internationale reconnu par la Commission européenne comme assurant un niveau de protection adéquat. Dans cette hypothèse, le traitement ne nécessite pas d'autorisation spécifique. Dans le cas contraire, le laboratoire met en place des garanties suffisantes et appropriées pour assurer la protection de vos droits / des droits de votre enfant en matière de protection des données à caractère personnel, quel que soit le pays où vos données à caractère personnel sont transférées. Afin d'assurer une protection suffisante et appropriée de vos droits / des droits de votre enfant en matière de protection des données à caractère personnel et un traitement de celles-ci conforme à la présente notice d'information, Indiquer le nom exact de votre laboratoire a conclu avec la/les société(s) Indiquez le nom/les noms du/des destinataire(s) des données transférées un contrat régissant le transfert des données concernées en-dehors de l'Union européenne. Le contrat offre des garanties appropriées au sens de l'article 46 du RGPD au moyen de clauses contractuelles types conformes à la décision d'exécution de la Commission européenne du 4 juin 2021[9].

Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V et ses sous-traitants s'engagent à protéger la vie privée des patients, prescripteurs et clients.

[9] Décision d'exécution (UE) 2021/914 de la Commission du 4 juin 2021 relative aux clauses contractuelles types pour le transfert de données à caractère personnel vers des pays tiers en vertu du règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil.

Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V est le responsable du traitement et ses sous-traitants agissent en tant que sous-traitant de Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V concernant les informations collectées au cours du Programme.

Ces données collectées seront uniquement utilisées aux fins énoncées dans le présent avis.

Comme indiqué ces données pourront être partagées avec certains tiers, nous vous informerons alors de l'identité de ces tiers par écrit, le cas échéant. Certains de ces tiers peuvent être situés dans des zones en dehors de l'Espace économique européen (EEE) et peuvent ne pas offrir une protection adéquate des données personnelles. Cependant, nous ne partagerons les données qu'avec des garanties adéquates en place conformément au Règlement général sur la protection des données.

Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V. gardera les données personnelles strictement confidentielles et s'assurera que seules les personnes autorisées à cet effet ont accès et peuvent traiter les données personnelles et que ces personnes se sont engagées contractuellement à la confidentialité ou sont soumises à une obligation légale appropriée de confidentialité. Sur demande, Rhythm Pharmaceuticals Netherlands B.V apportera la preuve que toute personne traitant des Données Personnelles dans le cadre d'un DPA est soumise à des obligations de confidentialité appropriées.

Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V assurera la sécurité des données personnelles traitées en mettant en place et sera en mesure de documenter la mise en place de mesures techniques et organisationnelles appropriées conformément aux lois sur la protection des données et en particulier à l'article 32 du RGPD pour empêcher que les données personnelles transmises, stockées ou autrement traitées soient accidentellement ou illégalement détruits, perdus ou modifiés, divulgués ou mis à disposition sans autorisation, ou autre par Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V et ses sous-traitants en violation des lois applicables, y compris les lois sur la protection des données.

Les mesures de sécurité techniques et organisationnelles appropriées devront être mises en place par Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V et ses sous-traitants pour assurer un niveau de sécurité adapté au risque que présente le traitement des données personnelles et devront être déterminées en tenant compte de l'état de l'art actuel, le coût de leur mise en œuvre, et la nature, la portée, le contexte et les finalités du traitement des Données Personnelles ainsi que le risque de probabilité et de gravité pour les droits et libertés des personnes concernées. Cela signifie que Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V et ses sous-traitants devront effectuer une évaluation des risques et mettre en œuvre des mesures pour contrer le risque identifié.

Sur demande de votre part / de la part de votre enfant, le laboratoire pourra vous apporter la preuve du respect des garanties précitées par toutes les personnes ayant accès à vos données à caractère personnel.

En tout état de cause, il est précisé que le respect du RGPD et de la loi « informatique et libertés » en cas de transfert vers un pays situé en-dehors de l'Union européenne relève de la responsabilité du laboratoire.

Pour toute demande d'information sur le transfert de vos données en dehors de l'Union Européenne ou pour obtenir une copie des garanties mises en place par le laboratoire pharmaceutique ou pour

faire valoir vos droits / les droits de votre enfant sur vos / ses données à caractère personnel, le médecin prescripteur est votre premier interlocuteur. Vous pouvez également vous adresser / votre enfant peut également s'adresser au Délégué à la Protection des Données du laboratoire qui est une personne physique travaillant pour Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V en lui écrivant à l'adresse suivante : 222 Berkeley Street, Suite 1200, Boston, MA 02116, Rhythm.dpr@mydata-trust.info, mais cela implique la transmission au laboratoire de votre identité / de l'identité de votre enfant.

Combien de temps sont conservées les données ?

Vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant sont conservées pendant une durée de 2 ans pour une utilisation active, c'est-à-dire le temps que le laboratoire obtienne l'autorisation de mise sur le marché, le cas échéant. Les données seront ensuite archivées durant 5 ans. À l'issue de ces délais, vos données / les données de votre enfant seront supprimées ou anonymisées.

Les données seront-elles publiées ?

La Haute Autorité de santé et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé publient sur leur site internet un résumé du rapport de synthèse des informations recueillies pour l'évaluation du médicament.

Des synthèses des résultats pourront par ailleurs être publiées dans des revues scientifiques.

Aucun de ces documents publiés ne permettra de vous identifier / d'identifier votre enfant.

Quels sont vos droits et vos recours possibles / les droits et les recours possibles de votre enfant ?

Le médecin qui vous a prescrit / Le médecin qui a prescrit à votre enfant le médicament en accès précoce est votre premier interlocuteur pour faire valoir vos droits sur vos données à caractère personnel.

Vous ou votre enfant pouvez demander à ce médecin :

- à consulter les données à caractère personnel ;
- à les modifier ;
- à limiter le traitement de certaines données.

Si vous acceptez / votre enfant accepte d'être traité par un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce, vous ne pouvez pas vous opposer / votre enfant ne peut pas s'opposer à la transmission des données listées ci-dessus ou demander leur suppression. Le droit à la portabilité n'est pas non plus applicable à ce traitement.

Vous ou votre enfant pouvez cependant vous opposer à la réutilisation de vos données pour de la recherche.

Vous ou votre enfant pouvez contacter directement votre médecin / le médecin de votre enfant pour exercer ces droits.

Vous ou votre enfant pouvez, par ailleurs, contacter le délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire à l'adresse suivante MyData-TRUST SA, Boulevard Initialis, 7 bt 3 – 7000 Mons, Belgium, Rhythm.dpr@mydata-trust.info pour exercer ces droits, ce qui implique la transmission de votre identité au laboratoire.

Vous ou votre enfant pouvez également faire une réclamation auprès de la Commission nationale de l'informatique et des libertés (CNIL) notamment sur son site internet www.cnil.fr.

Note d'information à destination des médecins prescripteurs et des pharmaciens sur le traitement des données à caractère personnel

> La conformité de la présente note d'information à la réglementation applicable en matière de protection des données à caractère personnel10 relève de la responsabilité du laboratoire Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V..

Ce document vous informe sur la collecte et le traitement (c'est-à-dire l'utilisation) de vos données à caractère personnel recueillies lorsque vous remplissez avec le patient la fiche d'accès au traitement, la fiche d'instauration de traitement, la fiche de suivi de traitement ou la fiche d'arrêt définitif de traitement. Le responsable du traitement des données est Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V, laboratoire pharmaceutique titulaire de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament IMCIVREE (setmélanotide).

Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V. s'engage à assurer la sécurité et la confidentialité de vos données à caractère personnel.

À quoi vont servir vos données ?

Le traitement de vos données à caractère personnel vise à :

- assurer le suivi de la collecte des données à caractère personnel des patients dans le cadre de l' autorisation d'accès précoce pour le médicament IMCIVREE (setmélanotide) en vue de garantir une utilisation de ce médicament conforme au présent protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données ;
- recueillir des informations sur les conditions d'utilisation du médicament en accès précoce ;
- assurer la gestion des contacts avec les professionnels de santé intervenant dans le cadre du suivi des patients bénéficiant des médicaments sans accès précoce et les personnels agissant sous leur responsabilité ou autorité.

Vos données à caractère personnel pourront-elles être réutilisées par la suite ?

Vos données à caractère personnel sont susceptibles d'être réutilisées par la suite pour assurer les finalités précitées. Une telle réutilisation concerne notamment votre spécialité médicale.

Cette réutilisation se fera dans les conditions autorisées par le Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données

[10] Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données (RGPD) et de la loi n°78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés (loi « Informatique et Libertés ») modifiée.

(RGPD) et la loi n°78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés modifiée dite loi « informatique et libertés » et après accomplissement des formalités nécessaire auprès de la CNIL, le cas échéant.

Vous pouvez vous opposer à cette réutilisation auprès de Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V. , titulaire de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament .

Les informations relatives à une réutilisation de vos données seront également disponibles sur le site de la Plateforme des données de santé qui publie, sur demande du laboratoire Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V., un résumé du protocole de recherche pour tous les projets qui lui sont soumis : https ://www.health-data-hub.fr/projets . Cela étant dit, les projets de recherche ne sont pas toujours publiés sur la Plateforme des données de santé.

Sur quelle loi se fonde le traitement des données ?

Ce traitement de données est fondé sur une obligation légale à la charge du laboratoire, responsable du traitement,(article 6.1.c du RGPD) telle que prévue aux articles L. 5121-12 et suivants du Code de la santé publique relatifs au dispositif d'accès précoce aux médicaments.

La collecte de données de santé est justifiée par un intérêt public dans le domaine de la santé (article 9.2.i) du RGPD).

Quelles sont les données collectées ?

Aux fins d'assurer le suivi de la collecte des données à caractère personnel des patients dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament IMCIVREE (setmélanotide), Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V. collectera des données permettant de vous identifier telles que votre nom, votre prénom, votre spécialité, votre numéro d'inscription au répertoire partagé des professionnels de santé (RPPS), votre numéro d'inscription au Fichier National des Établissements Sanitaires et Sociaux (FINESS) et vos coordonnées professionnelles (numéro de téléphone et email).

Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités de Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V. et ses éventuels sous-traitants[11] .

Vos données pourront également être transmises au personnel habilité des autres sociétés du groupe Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V. auquel appartient RHYTHM, à CEMKA en tant que sous-traitant de Rhythm, à RHYTHM PHARMACEUTICALS FRANCE SAS en tant que laboratoire exploitant d'IMCIVREE, ainsi qu'aux prestataires respectifs de RHYTHM et de RHYTHM PHARMACEUTICALS FRANCE SAS notamment Euromed Pharma et ses sous-traitants en tant que distributeur d'IMCIVREE.

[11] Ces sous-traitants peuvent être des prestataires de services informatiques (hébergement, maintenance,…), des intégrateurs de logiciels, des sociétés de sécurité informatique, des entreprises de service du numérique ou anciennement sociétés de services et d'ingénierie en informatique (SSII) qui ont accès aux données, des agences de marketing ou de communication qui traitent des données personnelles pour le compte de clients et plus généralement, tout organisme offrant un service ou une prestation impliquant un traitement de données à caractère personnel pour le compte d'un autre organisme, un organisme public ou une association peut également constituer un sous-traitant.

Ces informations seront traitées uniquement pour les finalités décrites ci-dessus. Un rapport de ces informations appelé rapport de synthèse ainsi qu'un résumé de ce rapport sont transmis par le laboratoire Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V à la HAS, aux ministres chargés de la Santé et de la Sécurité sociale et à l'Agence nationale de la sécurité des médicaments ainsi qu'au centre régional de pharmacovigilance désigné pour assurer au niveau national le suivi de l'accès précoce.

Le résumé de ces rapports est également susceptible d'être adressé aux médecins qui ont prescrit le médicament, aux pharmaciens qui l'ont délivré ainsi qu'aux centres antipoison.

Cette synthèse, ce rapport et ce résumé ne comprendront aucune information permettant de vous identifier.

Où vos données sont-elles conservées ?

Aux fins d'obtenir l'autorisation d'accès précoce pour le médicament IMCIVREE (setméanotide), le laboratoire Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V. pourra conserver vos données pendant une durée de I pendant une durée de 2 ans après l'approbation de l'ANSM du rapport de synthèse prévu à l'article R 5121-70-1 du CSP pour une utilisation active, et archivées 5 ans après la fin de l'accès précoce..

Ces données peuvent être conservées dans un entrepôt de données de santé. Les entrepôts de données de santé sont des bases de données destinées à être utilisées notamment à des fins de recherches, d'études ou d'évaluations dans le domaine de la santé.

Dans l'hypothèse où vos données sont conservées dans un entrepôt de données de santé, le laboratoire Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V. vous en informera explicitement et vous indiquera le lien vers le portail de transparence dédié.

Le laboratoire conservera vos données à caractère personnel [chez OVH et chez Cemka pendant la phase de collecte des données puis uniquement chez Cemka pendant la phase de traitement des données.

Transferts hors Union européenne

> https://www.cnil.fr/fr/transferer-des-donnees-hors-de-lue ;
> - Lignes directrices du CEPD : recommandations 01/2020, guidelines 05/2021 , guidelines 2/2018

Vos données feront l'objet d'un transfert vers des organismes établis en dehors de l'Union européenne lorsque le transfert est strictement nécessaire à la mise en œuvre du traitement de vos données.

Lorsque vos données font l'objet d'un transfert en-dehors de l'Union européenne, le laboratoire vous informe par écrit de l'identité des destinataires du transfert portant sur vos données à caractère personnel. Le laboratoire vous indique également si le transfert s'effectue à destination d'un pays ou d'une organisation internationale reconnu par la Commission européenne comme assurant un niveau de protection adéquat. Dans cette hypothèse, le traitement ne nécessite pas d'autorisation spécifique. Dans le cas contraire, le laboratoire met en place des garanties suffisantes et appropriées pour assurer la protection de vos droits en matière de protection des données à caractère personnel, quel que soit le pays où vos données à caractère personnel sont transférées. Afin d'assurer une protection suffisante et appropriée de vos droits en matière de protection des données à caractère personnel et un traitement de celles-ci conforme à la présente notice d'information, indiquer le nom exact du laboratoire a

conclu avec la/les société(s) noms du/des destinataire(s) des données transférées un contrat régissant le transfert des données concernées en-dehors de l'Union européenne. Le contrat offre des garanties appropriées au sens de l'article 46 du RGPD au moyen de clauses contractuelles types conformes à la décision d'exécution de la Commission européenne du 4 juin 2021[12].

Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V et ses sous-traitants s'engagent à protéger la vie privée des patients, prescripteurs et clients.

Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V est le responsable du traitement et ses sous-traitants agissent en tant que sous-traitant de Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V concernant les informations collectées au cours du Programme.

Ces données collectées seront uniquement utilisées aux fins énoncées dans le présent avis.

Comme indiqué ces données pourront être partagées avec certains tiers, nous vous informerons alors de l'identité de ces tiers par écrit, le cas échéant. Certains de ces tiers peuvent être situés dans des zones en dehors de l'Espace économique européen (EEE) et peuvent ne pas offrir une protection adéquate des données personnelles. Cependant, nous ne partagerons les données qu'avec des garanties adéquates en place conformément au Règlement général sur la protection des données.

Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V. gardera les données personnelles strictement confidentielles et s'assurera que seules les personnes autorisées à cet effet ont accès et peuvent traiter les données personnelles et que ces personnes se sont engagées contractuellement à la confidentialité ou sont soumises à une obligation légale appropriée de confidentialité. Sur demande, Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V apportera la preuve que toute personne traitant des Données Personnelles dans le cadre d'un DPA est soumise à des obligations de confidentialité appropriées.

Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V assurera la sécurité des données personnelles traitées en mettant en place et sera en mesure de documenter la mise en place de mesures techniques et organisationnelles appropriées conformément aux lois sur la protection des données et en particulier à l'article 32 du RGPD pour empêcher que les données personnelles transmises, stockées ou autrement traitées soient accidentellement ou illégalement détruits, perdus ou modifiés, divulgués ou mis à disposition sans autorisation, ou autre par Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V et ses sous-traitants en violation des lois applicables, y compris les lois sur la protection des données.

Les mesures de sécurité techniques et organisationnelles appropriées devront être mises en place par Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V et ses sous-traitants pour assurer un niveau de sécurité adapté au risque que présente le traitement des données personnelles et devront être déterminées en tenant compte de l'état de l'art actuel, le coût de leur mise en œuvre, et la nature, la portée, le contexte et les finalités du traitement des Données Personnelles ainsi que le risque de probabilité et de gravité pour les droits et libertés des personnes concernées. Cela signifie que Rhythm Pharmaceuticals Netherland B.V et ses sous-traitants devront effectuer une évaluation des risques et mettre en œuvre des mesures pour contrer le risque identifié.

[12] Décision d'exécution (UE) 2021/914 de la Commission du 4 juin 2021 relative aux clauses contractuelles types pour le transfert de données à caractère personnel vers des pays tiers en vertu du règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil.

Sur demande de votre part, le laboratoire pourra vous apporter la preuve du respect des garanties précitées par toutes les personnes ayant accès à vos données à caractère personnel.

En tout état de cause, il est précisé que le respect du RGPD et de la loi « informatique et libertés » en cas de transfert vers un pays situé en-dehors de l'Union européenne relève de la responsabilité du laboratoire.

Pour toute demande d'information sur le transfert de vos données en dehors de l'Union Européenne ou pour obtenir une copie des garanties mises en place par le laboratoire pharmaceutique, vous pouvez vous adresser au Délégué à la Protection des Données qui est une personne physique travaillant pour nom du laboratoire en lui écrivant à l'adresse suivante : Rhythm.dpr@mydata-trust.info

Combien de temps sont conservées vos données ?

Vos données à caractère personnel sont conservées pendant une durée de 2 ans après l'approbation de l'ANSM du rapport de synthèse prévu à l'article R 5121-70-1 du CSP pour une utilisation active. Les données seront ensuite archivées durant 5 ans après la fin de l'accès précoce. À l'issue de ces délais, vos données seront supprimées ou anonymisées.

Quels sont vos droits et vos recours possibles ?

Conformément à la réglementation applicable (en ce y compris le RGPD et la loi informatique et libertés), vous disposez, dans les cas prévus par la réglementation applicable, d'un droit d'accès à vos données à caractère personnel, d'un droit de rectification de ces données, d'un droit visant à limiter le traitement de ces données, d'un droit d'opposition au traitement de ces données et d'un droit à l'effacement.

Pour exercer l'un de ces droits, vous pouvez contacter le délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire à l'adresse suivante MyData-TRUST SA, Boulevard Initialis, 7 bt 3 – 7000 Mons, Belgium, Rhythm.dpr@mydata-trust.info. Cette procédure implique la transmission de votre identité au laboratoire.

Vous pouvez également introduire une réclamation auprès de la Commission nationale de l'informatique et des libertés (CNIL) notamment sur son site internet www.cnil.fr.

Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières

Qui déclare ?

Tout médecin, chirurgien-dentiste, sage-femme ou pharmacien ayant eu connaissance d'un effet indésirable susceptible d'être dû au médicament doit en faire la déclaration. Les autres professionnels de santé peuvent également déclarer tout effet indésirable suspecté d'être dû au médicament, dont ils ont connaissance.

En outre, les professionnels de santé sont encouragés à déclarer toute situation particulière.

Le patient ou son représentant mandaté (personne de confiance qu'il a désignée, associations agréées sollicitées par le patient) peut déclarer les effets indésirables/situations particulières qu'il, ou son entourage, suspecte d'être liés à l'utilisation du médicament.

Que déclarer ?

Tous les effets indésirables, graves et non graves, survenant dans des conditions d'utilisation conformes ou non conformes aux termes de l'autorisation, y compris en cas de surdosage, de mésusage, d'usage détourné, d'abus, d'erreur médicamenteuse, d'exposition professionnelle, d'interaction médicamenteuse, d'un défaut de qualité d'un médicament ou de médicaments falsifiés, d'une exposition en cours de grossesse (maternelle ou via le sperme), d'une exposition paternelle (altération potentielle des spermatozoïdes), d'une exposition au cours de l'allaitement.

En outre, il convient également de déclarer toute situation particulière :

- toute erreur médicamenteuse sans effet indésirable, qu'elle soit avérée, potentielle ou latente,
- toute suspicion d'inefficacité thérapeutique (partielle ou totale), en dehors des progressions naturelles de la maladie sous-jacente (en particulier avec les vaccins, les contraceptifs, les traitements de pathologies mettant en jeu le pronostic vital, les résistances inattendues à des traitements médicamenteux ou toute autre situation jugée cliniquement pertinente),
- toute suspicion de transmission d'agents infectieux liée à un médicament ou à un produit,
- toute exposition à un médicament au cours de la grossesse ou de l'allaitement sans survenue d'effet indésirable ;
- toute situation jugée pertinente de déclarer.

Quand déclarer ?

Tous les effets indésirables/situations particulières doivent être déclarés dès que le professionnel de santé ou le patient en a connaissance.

Comment et à qui déclarer ?

Pour les professionnels de santé :

La déclaration se fait via les fiches de déclarations du PUT-RD auprès du laboratoire pour les médicaments ne disposant pas d'une AMM ou directement aux CRPV dont le patient

dépend sur le plan géographique pour les médicaments disposant déjà d'une AMM, préférentiellement directement sur portail de signalement : https://signalement.social-sante.gouv.fr/, en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.

D'autres supports de déclaration peuvent être utilisés, tels qu'un courrier, un compte rendu d'hospitalisation, un fax, un courriel ou un appel téléphonique, adressés directement au CRPV du territoire duquel dépend le professionnel de santé. La liste indiquant l'adresse et les départements couverts par chaque CRPV est disponible sur le site Internet de l'ANSM.

Pour les patients et/ou des associations de patients :

Le plus tôt possible, après la survenue du ou des effets indésirables / situations particulières auprès du médecin, du pharmacien ou de l'infirmier/ère. Il est également possible de déclarer les effets indésirables/situations particulières directement via portail de signalement : https://signalement.social-sante.gouv.fr/ en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.

D'autres supports de déclaration peuvent être utilisés, tels qu'un courrier, un courriel, ou un appel téléphonique adressés directement au CRPV dont la personne ayant présenté l'effet indésirable dépend géographiquement. La liste indiquant l'adresse et les départements couverts par chaque CRPV est disponible sur le site Internet de l'ANSM.