

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

Accès précoce – ENHERTU (trastuzumab déruxtécán)

La demande	
Spécialité	ENHERTU 100 mg poudre pour solution à diluer pour perfusion
DCI	Trastuzumab déruxtécán
Indication	<p>ENHERTU, en monothérapie, est indiqué dans le traitement de patients adultes atteintes d'un cancer du sein HER2-positif non résecable ou métastatique ayant reçu au préalable une ligne de traitement anti-HER2.</p> <p>Les patients doivent :</p> <ul style="list-style-type: none">- avoir reçu un traitement antérieur pour la maladie localement avancée ou métastatique ou- - avoir présenté une progression de la maladie pendant un traitement adjuvant ou dans les six premiers mois suivant sa fin.
Date d'octroi	<p>19/05/2022</p> <p><i>La mise à disposition de ce médicament sera effective dans un délai maximal de 2 mois à compter de cette date.</i></p>
Périodicité des rapports de synthèse	9 mois (le prochain rapport de synthèse devra être disponible dans le dossier de renouvellement d'accès précoce)
Renseignements administratifs	
Contact laboratoire titulaire ou CRO	<p>Daiichi Sankyo France SAS</p> <p>Cellule Accès Précoce T-DXd – EURAXI PHARMA</p> <p>Site web : www.ap-tdxd.fr</p> <p>Courriel : ap-tdxd@euraxipharma.fr</p>

	Tél : 0 800 000 096 - Fax : 02 46 99 03 50
Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire	dpo@daiichi-sankyo.fr – Tél 01 55 62 15 60

Dernière date de mise à jour : 20/04/2023

Retrouvez toutes les informations sur ce médicament en accès précoce sur le site de l'EMA : [RCP du médicament](#)

Sommaire

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur	4
Le médicament	6
Calendrier des visites	8
Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients	10
Annexes	11
Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données	11
Annexe 2. Rôle des différents acteurs	29
Annexe 3. Documents d'information à destination des patients avant toute prescription d'un médicament en accès précoce : ENHERTU (trastuzumab déruxtécan)	33
Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières	43

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 19/05/2022, la Haute Autorité de santé (HAS) a délivré une autorisation d'accès précoce, après avis de l'Agence Nationale de Sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) concernant le rapport bénéfice/risque présumé, pour le médicament ENHERTU (trastuzumab déruxtécan) 100 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion dans l'indication : ENHERTU, en monothérapie, est indiqué dans le traitement de patients adultes atteints d'un cancer du sein HER2-positif non résectable ou métastatique ayant reçu au préalable une ligne de traitement anti-HER2.

Les patients doivent :

- avoir reçu un traitement antérieur pour la maladie localement avancée ou métastatique ou
- avoir présenté une progression de la maladie pendant un traitement adjuvant ou dans les six premiers mois suivant sa fin.

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 ;
- 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](#) ;
 - des notes d'information que le prescripteur doit remettre au patient avant toute prescription du médicament (voir [annexe III](#)) ;
- 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. **Une convention entre le titulaire et l'établissement peut définir les modalités de dédommagement de l'établissement pour le temps consacré à la collecte de données¹.**

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 du médicament](#).

Spécialité concernée

ENHERTU (Trastuzumab déruxtécán) 100 mg poudre pour solution à diluer pour perfusion

Caractéristiques du médicament

ENHERTU, trastuzumab déruxtécán, est un anticorps conjugué ciblant le récepteur HER2. L'anticorps est une IgG1 anti-HER2 humanisée couplée au déruxtécán (DXd), un inhibiteur de la topoisomérase I, par un agent de liaison tétrapeptidique clivable. L'anticorps conjugué est stable dans le plasma. La fonction de la composante anticorps est de se lier aux récepteurs HER2 exprimés à la surface de certaines cellules tumorales. Après la liaison, le complexe trastuzumab déruxtécán est alors internalisé et l'agent de liaison est clivé dans la cellule par des enzymes lysosomales dont l'expression est régulée positivement dans les cellules cancéreuses. Une fois libéré, le DXd qui diffuse à travers la membrane provoque des lésions de l'ADN et la mort cellulaire par apoptose. Le DXd, un dérivé de l'exatécán, est environ 10 fois plus puissant que le SN-38, le métabolite actif de l'irinotécán.

Indication

ENHERTU, en monothérapie, est indiqué dans le traitement de patients adultes atteintes d'un cancer du sein HER2-positif non résecable ou métastatique ayant reçu au préalable une ligne de traitement anti-HER2.

Les patients doivent :

- avoir reçu un traitement antérieur pour la maladie localement avancée ou métastatique ou
- avoir présenté une progression de la maladie pendant un traitement adjuvant ou dans les six premiers mois suivant sa fin.

Posologie

La dose recommandée d'ENHERTU (trastuzumab déruxtécán) est de 5,4 mg/kg, administrée en perfusion intraveineuse toutes les 3 semaines (cycle de 21 jours) jusqu'à la progression de la maladie ou la survenue d'une toxicité inacceptable.

La dose initiale doit être administrée en perfusion intraveineuse de 90 minutes. Si la première perfusion a été bien tolérée, les doses suivantes d'ENHERTU peuvent être administrées en perfusion de 30 minutes. En fonction de la tolérance du patient, des antiémétiques peuvent être

administrés conformément à la pratique locale pour la prévention ou la prise en charge des nausées et vomissements.

Le débit de perfusion doit être ralenti ou la perfusion interrompue si le patient présente des symptômes liés à la perfusion. Le traitement par ENHERTU doit être arrêté définitivement en cas de réactions sévères à la perfusion.

Modifications posologiques

La prise en charge des effets indésirables peut nécessiter une interruption temporaire du traitement par ENHERTU, une réduction de la dose ou l'arrêt du traitement conformément aux recommandations présentées dans les tableaux 1 et 2 de la rubrique 4.2 du RCP.

Populations particulières

Se conformer à la rubrique 4.2 du RCP

Conditions de prescription et de délivrance

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

- Médicament réservé à l'usage hospitalier (RH)
- Prescription réservée aux spécialistes en oncologie ou aux médecins compétents en cancérologie
- Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement (SP)

Calendrier des visites

	Demande d'accès au traitement	Première administration Cycle 1	Suivi du traitement Cycle 2, Cycle 3 puis une fois tous les 3 cycles	Arrêt du traitement
Remise de la note d'information et de la carte patient destinées au patient par le médecin prescripteur	X			
Collecte de données sur les caractéristiques des patients				
Déclaration de conformité médicale aux critères d'éligibilité	X	X		
Diagnostic et état du patient	X			
Antécédents de traitement et histoire de la maladie	X			
Test de grossesse (si applicable)	X	X	X	
Mesure de suivi sans collecte de données				
Examen pulmonaire <i>Des examens d'imagerie, de préférence par tomodensitométrie (TDM), doivent être réalisés toutes les 6 semaines et/ou en cas de suspicion de PID/pneumopathie inflammatoire</i>	X		X Tous les 2 cycles	
Collecte de données sur les conditions d'utilisation				
Posologie et traitements associés	X	X	X	
Interruption temporaire /arrêt de traitement, modifications de posologie et raisons associées		X	X	

Collecte de données d'efficacité				
Temps jusqu'à arrêt de traitement ou décès			X	X
Survie globale			X	
Auto-questionnaire de qualité de vie (<i>EORTC QLQ-C30</i>)		X	X Tous les 2 cycles jusqu'au C4 puis tous les 4 cycles (3 mois)	
Collecte de données de tolérance/situations particulières via le portail national				
Suivi des effets indésirables/situations particulières		X	X	X

Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients



Annexes

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

- [Fiche de demande d'accès au traitement](#)
- Fiches d'initiation de traitement : [première administration](#)
- [Fiche de suivi de traitement](#)
- [Fiche d'arrêt de traitement](#)
- [Questionnaire de qualité de vie](#)

Lorsque le prescripteur souhaite instaurer un traitement par ENHERTU pour un patient éligible, il doit:

- Prendre connaissance du PUT-RD et du RCP de l'Accès Précoce, téléchargeables sous format PDF directement sur le site internet de l'Accès Précoce ou sur les sites internet de l'ANSM et de la HAS,
- Vérifier l'indication de l'Accès Précoce,
- Vérifier l'absence de contre-indication en se référant au RCP de l'Accès Précoce,
- Compléter la fiche de demande d'accès au traitement sur le site internet de l'accès précoce, pour cela il est nécessaire de :
 - se connecter sur le site Internet dédié à la gestion de l'Accès Précoce pour créer un compte : www.ap-tdxd.fr.
 - lors de la création de ce compte, l'adresse email du pharmacien responsable de l'Accès Précoce au sein de l'établissement de santé doit être renseignée.
 - le pharmacien reçoit un courriel afin de créer à son tour son compte.

Une fois les comptes du prescripteur et du pharmacien créés :

- le médecin prescripteur complète la fiche de demande d'accès au traitement sur le site internet de l'accès précoce
- une alerte par courriel sera alors transmise au pharmacien de l'établissement pour la validation électronique de la fiche de demande d'accès au traitement.
- pour chaque fiche renseignée, un courriel d'alerte est envoyé au pharmacien de l'établissement pour information.
- le pharmacien a accès à l'ensemble des fiches renseignées.

Le prescripteur valide l'éligibilité du patient au traitement directement dans la plateforme dédiée mise en place par le laboratoire, en respectant les critères d'éligibilité établis dans le protocole de l'Accès Précoce.

Après avoir pris connaissance de la demande, la Cellule Accès Précoce envoie par courriel, pour chaque patient, au prescripteur et au pharmacien un accord d'accès au traitement par ENHERTU, ou, le cas échéant, explique les raisons d'une impossibilité d'inclusion du patient dans la cohorte (non-respect des critères d'Accès précoce au médicament).

Un numéro est attribué à chaque patient éligible automatiquement par la plateforme dédiée. Ce numéro sera porté dans le dossier médical partagé du patient.

Un monitoring centralisé des données sera mis en place, avec l'objectif d'assurer un niveau de qualité de recueil et complétude de données adéquats, notamment sur les critères d'efficacité et de tolérance du traitement. Vous pouvez être amené à être recontacté afin de vous assurer de la complétude des fiches de demande d'accès, d'initiation, de suivi, d'arrêt et de pharmacovigilance.

Dans le cadre de cette Autorisation d'Accès Précoce, la présentation suivante est mise à la disposition des établissements de santé :

- Une boîte contenant le nombre de packs ENHERTU (flacons) nécessaires pour un cycle.
- Chaque pack d'ENHERTU contient un flacon contenant 100 mg de trastuzumab déruxtécan et une notice d'information du patient conforme à l'AMM actuelle du produit.

La notice d'information du patient disponible à l'intérieur du pack commercial **ne doit pas être remise au patient**. Elle a été maintenue dans cet emballage pour ne pas déroger au dispositif anti-effraction existant.

- La notice d'information du patient validée pour l'indication de l'accès précoce est disponible dans la boîte (à l'extérieur des packs ENHERTU). **Cette notice doit être remise au patient**. Elle sera également disponible :
 - sur les sites internet de l'ANSM et de la HAS,
 - sur la plateforme électronique dédiée à l'accès précoce,
 - dans les kits d'accès précoce qui seront transmis aux professionnels de santé,
 - sur demande auprès du service d'Information médicale : infosmed@daiichi-sankyo.fr.

Fiche de demande d'accès au traitement

À remplir par le prescripteur/pharmacien

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 ou grossesse, 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/>

Possibilité d'inclure le patient dans un essai clinique en cours dans l'indication qui fait l'objet de l'accès précoce ? Oui Non

Si oui, orienter le patient vers l'essai clinique.

Maladie

Diagnostic et état du patient

Diagnostic initial du cancer du sein	
Date de diagnostic initial du cancer du sein	__/__/____
Classification TNM au diagnostic	T _ _ / N _ _ / M _ _
Stade avancé du cancer du sein	
Histologie	_____
Statut HER2 :	<input type="checkbox"/> positif <input type="checkbox"/> négatif
o Score IHC	<input type="checkbox"/> 0 <input type="checkbox"/> 1+ <input type="checkbox"/> 2+ <input type="checkbox"/> 3+
o Statut ISH	<input type="checkbox"/> positif <input type="checkbox"/> négatif <input type="checkbox"/> NR
Expression des récepteurs hormonaux	<input type="checkbox"/> positive <input type="checkbox"/> négative
Statut actuel de la tumeur	Non résécable : <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Métastatique : <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, préciser : Date d'apparition des métastases __/__/____ Localisation(s) actuelle(s) des métastases : <input type="checkbox"/> os <input type="checkbox"/> foie <input type="checkbox"/> poumon <input type="checkbox"/> ganglions lymphatiques <input type="checkbox"/> SNC <input type="checkbox"/> autre : _____

NR : non réalisé

Traitements antérieurs

TRAITEMENTS ANTERIEURS du cancer du sein	
Chirurgie du cancer du sein primitif	Stade précoce <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, préciser la date __/__/____ Stade métastatique <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, préciser la date __/__/____
Radiothérapie	Stade précoce <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Stade métastatique <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non
Dernier traitement néoadjuvant reçu	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, préciser : <input type="checkbox"/> Epirubicine <input type="checkbox"/> Cyclophosphamide <input type="checkbox"/> Doxorubicine <input type="checkbox"/> Docétaxel <input type="checkbox"/> Paclitaxel <input type="checkbox"/> Trastuzumab <input type="checkbox"/> Pertuzumab <input type="checkbox"/> Carboplatine <input type="checkbox"/> Autre (préciser) : _____
Dernier traitement adjuvant reçu	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, préciser : <input type="checkbox"/> T-DM1 <input type="checkbox"/> Trastuzumab <input type="checkbox"/> Pertuzumab <input type="checkbox"/> Docétaxel <input type="checkbox"/> Paclitaxel <input type="checkbox"/> Cyclophosphamide <input type="checkbox"/> Carboplatine <input type="checkbox"/> Neratinib <input type="checkbox"/> Epirubicine <input type="checkbox"/> Autre (préciser) : _____
Traitement de la 1 ^{ère} ligne métastatique	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, préciser : <input type="checkbox"/> Trastuzumab + Pertuzumab + Taxane <input type="checkbox"/> Autres (préciser) : _____

Comorbidités

Préciser les comorbidités significatives du patient : _____

SITUATION CLINIQUE ACTUELLE

Indice de performance ECOG

0 1 2 3 4

Pneumopathie interstitielle diffuse (PID)/pneumopathie inflammatoire* :

Oui Non

Des cas de pneumopathie interstitielle diffuse (PID)/pneumopathie inflammatoire ont été rapportés avec ENHERTU (voir rubrique 4.8). Des issues fatales ont été observées. Les patients doivent être informés qu'ils doivent signaler immédiatement toute toux, dyspnée, fièvre et/ou toute apparition ou aggravation de symptômes respiratoires. Les patients doivent être surveillés afin que les signes et symptômes de PID/pneumopathie inflammatoire puissent être détectés. Des investigations doivent être réalisées rapidement en cas de signes de PID/pneumopathie inflammatoire. Des examens d'imagerie, de préférence par tomodensitométrie (TDM), doivent être réalisés en cas de suspicion de PID/pneumopathie inflammatoire. La consultation auprès d'un pneumologue doit être envisagée

Neutropénie* :

Oui Non

Des cas de neutropénie, y compris de neutropénie fébrile, ont été rapportés au cours des études cliniques d'ENHERTU. Les valeurs de l'hémogramme doivent être contrôlées avant l'instauration du traitement par ENHERTU et avant chaque perfusion, et lorsque le tableau clinique le justifie.

Diminution de la fraction d'éjection ventriculaire gauche* :

Oui Non

Des cas de diminution de la fraction d'éjection ventriculaire gauche (FEVG) ont été observés avec les traitements anti-HER2. Un examen standard de la fonction cardiaque (échocardiographie ou ventriculographie isotopique) doit être réalisé pour évaluer la FEVG avant l'instauration du traitement par ENHERTU et à intervalles réguliers pendant le traitement si le tableau clinique le justifie.

**Si résultat anormal cliniquement significatif, la balance bénéfique/risque est à évaluer avant d'instaurer le traitement, se référer aux rubriques 4.2 et 4.4 du RCP.*

Traitement par ENHERTU (trastuzumab déruxtécán)

Concernant l'utilisation du médicament notamment les mises en garde spéciales, précautions d'emploi et contre-indications, veuillez-vous référer au [RCP du médicament](#)

Un bilan biologique (NFS, hémoglobine, bilan rénal et hépatique) et des imageries (examen cardiaque et pulmonaire) sont à réaliser avant l'initiation du traitement dans le cadre du suivi. Se référer au RCP pour plus d'informations.

Posologie

Posologie envisagée

5.4 mg/kg autre* : |_|_| mg/kg

*Préciser la raison : _____

Dosage recommandé : 5,4 mg/kg administré en perfusion intraveineuse toutes les 3 semaines (cycle de 21 jours) jusqu'à la progression de la maladie ou la survenue d'une toxicité inacceptable.

Traitements concomitants et/ou soins de support

Prémédication : des antiémétiques peuvent être administrés conformément à la pratique locale pour la prévention ou la prise en charge des nausées et vomissements

Traitement envisagé oui non

Engagement du prescripteur

Critères d'éligibilité

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

- Patient adulte \geq 18 ans
- Cancer du sein non résécable ou métastatique
- Statut tumoral HER2-positif confirmé en histologie
- Ayant reçu au préalable une ligne de traitement par anti-HER2
- Le patient doit :
 - avoir reçu UNE ligne de traitement antérieure par anti-HER2 en situation métastatique ou localement avancé ou
 - avoir présenté une progression de la maladie pendant un traitement adjuvant à base de trastuzumab et taxanes ou dans les six mois suivant sa fin
- Examen cardiaque par échocardiographie ou scintigraphie cardiaque (MUGA) : FEVG \geq 50%
- Imagerie pulmonaire de référence normale (hors métastases pulmonaires)

Information importante : dans l'essai clinique DESTINY-Breast03, les patients avec métastases cérébrales cliniquement actives, définies comme non traitées ou symptomatiques, ou nécessitant une thérapie avec des corticostéroïdes ou des anticonvulsivants pour contrôler les symptômes associés ont été exclus. Aucune donnée n'est disponible chez ces patients (voir rubrique 5.1 du RCP).

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 à la rubrique 6.1 du RCP.
- Antécédent de réactions d'hypersensibilité sévères à d'autres anticorps monoclonaux
- Patient ayant déjà reçu et progressé sous Trastuzumab déruxtécán
- Atteinte pulmonaire cliniquement sévère résultant de maladies pulmonaires intercurrentes incluant, mais ne se limitant pas à, tout trouble pulmonaire sous-jacent (par ex. Embolie pulmonaire dans les 3 mois précédents la demande d'AAP, asthme sévère, BPCO sévère, maladie pulmonaire restrictive, épanchement pleural si non liée à la maladie et non contrôlée etc.), et tout trouble auto-immun, du tissu conjonctif ou inflammatoire avec une atteinte pulmonaire (par ex. polyarthrite rhumatoïde, syndrome de Sjogren, sarcoïdose etc.), ou pneumonectomie antérieure.

- Antécédent de pneumopathie interstitielle diffuse (PID)/pneumopathie inflammatoire (non infectieux) nécessitant des corticoïdes ou patient présentant actuellement une PID/pneumopathie inflammatoire.

Je certifie que le patient remplit les critères d'éligibilité ci-dessus :

Oui Non

J'ai remis les documents d'information au patient (disponibles en [annexe III](#)) et certifie que le patient a été informé de la collecte de ses données personnelles : Oui Non

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	
Hôpital :	Hôpital :
<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé	<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé
N° FINESS : _____	N° FINESS : _____
Tél : Numéro de téléphone.	Tél : Numéro de téléphone.
E-mail : xxx@domaine.com	E-mail : xxx@domaine.com
Date : __/__/____	Date : __/__/____
Cachet et signature du médecin :	Cachet et signature du pharmacien :

Daiichi Sankyo France SAS vous informe de la collecte de certaines données personnelles vous concernant pour les besoins de l'exécution et du suivi du programme d'accès précoce et pour les besoins du respect de la réglementation applicable. Les informations recueillies vous concernant font l'objet d'un traitement réalisé par Daiichi Sankyo France SAS, responsable du traitement, dont le Délégué à la Protection des Données (DPD) est joignable à dpo@daiichi-sankyo.fr. Daiichi Sankyo France SAS et tout prestataire mandaté à cet effet s'engagent à respecter les dispositions du Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 et de la loi n° 78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés telle que modifiée (la Réglementation sur la Protection des Données Personnelles).

Les données personnelles recueillies sont réservées à l'usage du (ou des) service(s) concerné(s) par la gestion et le suivi du programme d'accès précoce et habilité(s) de Daiichi Sankyo France SAS et toute société du groupe Daiichi Sankyo, ainsi que le Laboratoire AstraZeneca France (partenaire de Daiichi Sankyo) et leurs éventuels sous-traitants (société de recherche sous contrat notamment).

Daiichi Sankyo France SAS pourra être amené à transférer vos données personnelles hors de l'Union Européenne, lorsque cela s'avère indispensable à ses activités et notamment à des fins de sauvegarde générale des fichiers, y compris vers les pays suivants : Etats-Unis. Afin d'assurer un niveau de protection suffisant, les garanties suivantes ont été prises : des clauses contractuelles types sont en place entre Daiichi Sankyo Europe (société mère de Daiichi Sankyo France) et Daiichi Sankyo Inc. à qui les données pourront être transférées. Daiichi Sankyo France SAS mettra

également en place toutes mesures supplémentaires qui seraient nécessaires pour garantir un niveau de protection essentiellement équivalent à celui prévu dans l'Espace économique européen, et s'assurera que la législation de tout pays tiers n'empiétera pas sur ces mesures supplémentaires de manière à les priver d'effectivité.

Vos données personnelles seront conservées pendant toute la durée du programme d'accès précoce et de son suivi et aussi longtemps qu'autorisé au regard de la finalité pour laquelle elles ont été recueillies, conformément à la réglementation applicable.

Conformément à la Réglementation sur la Protection des Données Personnelles, vous bénéficiez d'un droit d'accès, de rectification, ou de portabilité des informations qui vous concernent, ainsi que d'un droit de limitation du traitement. Pour exercer l'un de ces droits, veuillez adresser votre demande à l'adresse suivante : dpo@daiichi-sankyo.fr

Vous pouvez également déposer une plainte auprès de la Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés (CNIL), directement sur son site www.cnil.fr.

Daiichi Sankyo France SAS, en sa qualité de responsable du traitement au sens de la Réglementation sur la Protection des Données Personnelles, vous informe également que dans le cadre du programme d'accès précoce, vous serez amené à collecter et traiter des données personnelles, telles que listées dans le PUT-RD, pour le compte de Daiichi Sankyo France SAS et agir ainsi en qualité de sous-traitant au sens de la Réglementation sur la Protection des Données Personnelles ; ce conformément aux modalités et conditions décrites strictement dans le PUT-RD. A ce titre, vous vous engagez à :

Collecter et traiter les données personnelles uniquement dans le strict respect des termes et conditions du PUT-RD, et à suivre les instructions écrites reçues de la part de Daiichi Sankyo France SAS le cas échéant ;

Ne pas traiter lesdites données personnelles pour tout autre objet, sauf si cela est requis par les lois et réglementations en vigueur et après information préalable de Daiichi Sankyo France SAS (sauf si les lois et réglementations applicables vous interdisent d'en informer ainsi Daiichi Sankyo France SAS) ;

A ne pas révéler ou transférer les données à caractère personnel à un quelconque tiers sans avoir préalablement obtenu l'autorisation écrite de Daiichi Sankyo France SAS, sauf si cette révélation ou transfert est requis par les lois et réglementations applicables ou par une autorité publique, et dans la mesure du possible, après information préalable et sans délai de Daiichi Sankyo France SAS par écrit, et vous devrez vous conformer à toutes les instructions de Daiichi Sankyo France SAS à cet égard ;

Respecter les mesures techniques et organisationnelles appropriées mises en place et approuvées par Daiichi Sankyo France SAS, pour empêcher tout traitement de données à caractère personnel non autorisé ou illicite, et pour empêcher toute perte fortuite, destruction ou dommage auxdites données à caractère personnel ;

Informar Daiichi Sankyo France SAS par écrit dès que possible (et, en tout état de cause, dans un délai maximum de vingt-quatre (24) heures) de toute destruction fortuite ou illicite ou de toute perte ou dommage fortuit, altération, divulgation ou accès non autorisé aux données personnelles ;

Aider Daiichi Sankyo France SAS à s'acquitter de son obligation de donner suite aux demandes d'exercice des droits des personnes concernées conformément aux termes des documents d'information figurant en annexe III ;

Assister Daiichi Sankyo France SAS pour s'assurer de la conformité avec les obligations légales de Daiichi Sankyo France SAS aux termes de la Réglementation sur la Protection des Données Personnelles, y compris, notamment, en ce qui concerne le respect des obligations de sécurité, notifications de violation, analyse d'impact et consultations des autorités de contrôle ;

Vérifier et garantir que toutes les personnes qui ont accès aux, et/ou traitent les données personnelles sont soumises à une obligation de confidentialité, et que ces personnes ont été suffisamment formées ;

Conservar des dossiers et informations complets et exactes permettant de démontrer sa conformité avec le présent engagement et permettant à Daiichi Sankyo France SAS et/ou à ses auditeurs de réaliser des audits appropriés ;

Sur instruction écrite de Daiichi Sankyo France SAS, supprimer ou rapporter toutes données à caractère personnel ainsi que toutes copies de celles-ci à Daiichi Sankyo France SAS à l'expiration de la durée de conservation prévue, sauf si les lois et réglementations en vigueur exigent de conserver de telles données.

Fiche d'initiation de traitement

(Première administration)
À remplir par le prescripteur / pharmacien

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 la demande d'accès précoce ?

Oui Non

Si oui, préciser lesquelles :

- Progression de la maladie
- Imagerie cardiaque anormal
- Imagerie pulmonaire de référence anormale (hors métastases pulmonaires)
- Grossesse
- Apparition d'un critère de non-éligibilité, préciser _____
- Autre : préciser _____

Bilan biologique : Modification substantielle du bilan biologique

Précisez : _____

Engagement du prescripteur

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

Si le patient ne remplit plus les critères d'éligibilité de l'accès précoce, le prescripteur ne peut initier le traitement de son patient dans le cadre de l'accès précoce.

Je confirme avoir réalisé les examens biologiques et les imageries (bilan cardiaque et pulmonaire) nécessaires au suivi du traitement et avoir vérifié les résultats du test de grossesses chez les femmes en âge de procréer (**se référer au RCP pour plus d'informations**) Oui Non

Conditions d'utilisation

Date de 1^{ère} administration : __/__/____

Posologie et durée prescrite du traitement

À ne compléter que si différent de la fiche de demande de traitement.

Si des écarts par rapport à la posologie recommandées sont effectuées, merci de les justifier.

Dose administrée de

Dosage recommandé : 5,4 mg/kg administré en perfusion intraveineuse toutes les 3 semaines (cycle de 21 jours) jusqu'à la progression de la maladie ou la survenue d'une toxicité inacceptable.

| _ | _ | _ | mg/kg

En cas de dose administrée non conforme au dosage recommandé, merci de préciser la raison :

Traitements concomitants

| À compléter si différent de la fiche de demande de traitement.

Des traitements antiémétiques peuvent être administrés conformément à la pratique locale pour la prévention ou la prise en charge des nausées et vomissements
Traitement prescrit oui non

Évaluation de l'effet du traitement par ENHERTU (trastuzumab déruxtécán)

Qualité de vie (EORTC QLQ C30)

| À compléter par le patient par auto-questionnaire en annexe I.

La qualité de vie sera mesurée par l'auto-questionnaire QLQ-C30 en annexe I. Il est à remplir par le patient au format papier avant l'initiation de traitement puis tous les 2 cycles jusqu'au 4eme cycle, puis tous les 4 cycles jusqu'à la fin du traitement.

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 : _____	Hôpital : <input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé
Hôpital : <input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé	N° FINESS : _____
N° FINESS : _____	Tél : Numéro de téléphone.
Tél : Numéro de téléphone.	E-mail : xxx@domaine.com
E-mail : xxx@domaine.com	Date : __/__/____
Date : __/__/____	Cachet et signature du pharmacien :
Cachet et signature du médecin :	

Fiche de suivi de traitement

(Visites après la première administration)

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Pour rappel, la collecte des données continue après l'arrêt de traitement jusqu'à la fin de l'accès précoce

Fiche à compléter à chaque cycle de 21 jours pour les 3 premiers cycles puis une fois tous les trois cycles

Date de la visite : __/__/____

Cycle n° : _____ (la première fiche de suivi est à compléter à partir du cycle 2)

Identification du patient

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

N° patient d'accès précoce : |_|_|_|

Engagement du prescripteur

Je confirme avoir réalisé les examens biologiques et les imageries (bilan cardiaque et pulmonaire) nécessaires au suivi du traitement et avoir vérifié les résultats du test de grossesses chez les femmes en âge de procréer (se référer au RCP pour plus d'informations) Oui Non

Conditions d'utilisation

Date de l'administration : __/__/____

Posologie

À ne compléter que si différent de la fiche d'initiation de traitement.

<i>Dosage recommandé : 5,4 mg/kg administré en perfusion intraveineuse toutes les 3 semaines (cycle de 21 jours) jusqu'à la progression de la maladie ou la survenue d'une toxicité inacceptable.</i>	Dose administrée de
	_ _ _ mg/kg

Traitements concomitants et/ou soins de support

À ne compléter que si différent de la fiche d'initiation de traitement.

Des traitements antiémétiques peuvent être administrés conformément à la pratique locale pour la prévention ou la prise en charge des nausées et vomissements
Traitement prescrit oui non

Interruption/arrêt temporaire de traitement ou modification de posologie Oui Non

| Si oui, préciser les raisons :

Interruption* du traitement depuis la dernière administration	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non
Si oui : - date d'interruption de traitement	__/__/____
- date de réintroduction du traitement	__/__/____
Modification de dosage* depuis la dernière administration	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non
Si oui : - date de modification de dosage	__/__/____
- nouveau dosage	<input type="checkbox"/> 4.4 mg/kg <input type="checkbox"/> 3.2 mg/kg <input type="checkbox"/> autre : _____
Motif de l'interruption et/ou modification de la dose :	<input type="checkbox"/> Effet(s) indésirable(s) * <ul style="list-style-type: none"> • Préciser la nature et le grade : _____. • Susceptible d'être relié à ENHERTU : <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> Mauvaise observance <input type="checkbox"/> Autre, préciser : _____
Arrêt du traitement depuis l'initiation	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non Si oui, veuillez compléter la fiche d'arrêt de traitement
<p>* En cas d'interruption de traitement ou de réduction de dose liée à un effet indésirable, merci de procéder à leur déclaration auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : https://signalement.social-sante.gouv.fr/</p>	

Évaluation de l'effet du traitement par ENHERTU (trastuzumab déruxtécán)

Temps jusqu'à arrêt de traitement ou décès

Temps entre la date d'initiation du traitement par ENHERTU (trastuzumab déruxtécán) et la date d'arrêt de traitement pour progression de la maladie, pour toxicité ou décès quelle que soit la cause. **Pour collecter cette variable, merci de remplir la fiche d'arrêt définitif de traitement.**

Survie globale

Temps entre la date d'initiation du traitement par ENHERTU (trastuzumab déruxtécán) et la date de décès de toutes causes.

Le statut vital des patients sera collecté pendant toute la durée du programme d'accès précoce via la fiche d'arrêt définitif de traitement (si le décès survient en cours de traitement). Le recueil

de cette donnée spécifique sera aussi collecté si celui-ci survient après la fin du traitement. Après la fin du programme d'accès précoce, le statut vital des patients pourrait également être collecté.

Qualité de vie (EORTC – QLQ-C30)

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

La qualité de vie sera mesurée par l'auto-questionnaire QLQ-C30 en annexe 1. Il est à remplir par le patient au format papier avant l'initiation de traitement puis tous les 2 cycles jusqu'au 4eme cycle, puis tous les 4 cycles jusqu'à la fin du traitement.

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 Nom/Prénom : _____ Spécialité : _____ N° RPPS : _____ Hôpital : <input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé N° FINESS : _____ Tél : Numéro de téléphone. E-mail : xxx@domaine.com Date : __/__/____ Cachet et signature du médecin :	Pharmacien Nom/Prénom : _____ N° RPPS : _____ Hôpital : <input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé N° FINESS : _____ Tél : Numéro de téléphone. E-mail : xxx@domaine.com Date : __/__/____ Cachet et signature du pharmacien :
--	---

Fiche d'arrêt définitif de traitement

À remplir par le prescripteur/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 : |_|_|_| mg/kg

Traitement ultérieur mis en place le cas échéant : _____

Raisons de l'arrêt du traitement

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

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 : _____

*Procéder à sa 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 : _____	Hôpital : _____
Hôpital :	<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé
<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé	N° FINESS : _____
N° FINESS : _____	Tél : Numéro de téléphone.
Tél : Numéro de téléphone.	E-mail : xxx@domaine.com
E-mail : xxx@domaine.com	Date : __/__/____
Date : __/__/____	Cachet et signature du pharmacien :
Cachet et signature du médecin :	

Questionnaire qualité de vie

À compléter par le patient

Le questionnaire de qualité de vie, l'EORTC QLQ-C30 doit être complété par le patient au format papier : avant l'initiation du traitement, puis tous les 2 cycles jusqu'au 4ème cycle puis tous les 4 cycles jusqu'à la fin du traitement. Ce questionnaire sera imprimé par le médecin et remis au patient.

Le questionnaire pseudonymisé contenant le No du patient attribué dans le cadre de l'accès précoce est à adresser à la cellule AP par fax ou mail (courriel : ap-tdxd@euraxipharma.fr - Tél : 0 800 000 096 - Fax : 02 46 99 03 50) ou à saisir directement par le médecin dans la plateforme en ligne sur la plateforme de l'accès précoce (www.ap-tdxd.fr)

Identification du patient

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

N° patient d'accès précoce (si attribution numéro, code alphanumérique ou code alphabétique par le laboratoire) : | _ | _ | _ | | _ | _ | _ |

FRENCH (EUROPE)



EORTC QLQ-C30 (version 3)

Nous nous intéressons à vous et à votre santé. Répondez vous-même à toutes les questions en entourant le chiffre qui correspond le mieux à votre situation. Il n'y a pas de « bonne » ou de « mauvaise » réponse. Ces informations sont strictement confidentielles.

Merci de préciser :

Vos initiales :

--	--	--	--	--

Date de naissance (jour/mois/année) :

--	--	--	--	--	--	--	--	--	--

La date d'aujourd'hui (jour/mois/année) :

31

--	--	--	--	--	--	--	--	--	--

	Pas du tout	Un peu	Assez	Beaucoup
1. Avez-vous des difficultés à faire certains efforts physiques pénibles comme porter un sac à provisions chargé ou une valise ?	1	2	3	4
2. Avez-vous des difficultés à faire une <u>longue</u> promenade ?	1	2	3	4
3. Avez-vous des difficultés à faire un <u>petit</u> tour dehors ?	1	2	3	4
4. Êtes-vous obligé(e) de rester au lit ou dans un fauteuil pendant la journée ?	1	2	3	4
5. Avez-vous besoin d'aide pour manger, vous habiller, faire votre toilette ou aller aux toilettes ?	1	2	3	4

Au cours de la semaine passée :

	Pas du tout	Un peu	Assez	Beaucoup
6. Avez-vous été gêné(e) pour faire votre travail ou vos activités de tous les jours ?	1	2	3	4
7. Avez-vous été gêné(e) dans vos activités de loisirs ?	1	2	3	4
8. Avez-vous eu le souffle court ?	1	2	3	4
9. Avez-vous ressenti de la douleur ?	1	2	3	4
10. Avez-vous eu besoin de repos ?	1	2	3	4
11. Avez-vous eu des difficultés à dormir ?	1	2	3	4
12. Vous êtes-vous senti(e) faible ?	1	2	3	4
13. Avez-vous manqué d'appétit ?	1	2	3	4
14. Avez-vous eu des nausées (mal au cœur) ?	1	2	3	4
15. Avez-vous vomé ?	1	2	3	4

Passez à la page suivante S.V.P.

Au cours de la semaine passée :	Pas du tout	Un peu	Assez	Beaucoup
16. Avez-vous été constipé(e) ?	1	2	3	4
17. Avez-vous eu de la diarrhée ?	1	2	3	4
18. Étiez-vous fatigué(e) ?	1	2	3	4
19. Des douleurs ont-elles perturbé vos activités quotidiennes ?	1	2	3	4
20. Avez-vous eu des difficultés à vous concentrer sur certaines choses, par exemple, pour lire le journal ou regarder la télévision ?	1	2	3	4
21. Vous êtes-vous senti(e) tendu(e) ?	1	2	3	4
22. Vous êtes-vous fait du souci ?	1	2	3	4
23. Vous êtes-vous senti(e) irritable ?	1	2	3	4
24. Vous êtes-vous senti(e) déprimé(e) ?	1	2	3	4
25. Avez-vous eu des difficultés à vous souvenir de certaines choses ?	1	2	3	4
26. Votre état physique ou votre traitement médical vous ont-ils gêné(e) dans votre vie <u>familiale</u> ?	1	2	3	4
27. Votre état physique ou votre traitement médical vous ont-ils gêné(e) dans vos activités <u>sociales</u> (par exemple, sortir avec des amis, aller au cinéma...) ?	1	2	3	4
28. Votre état physique ou votre traitement médical vous ont-ils causé des problèmes financiers ?	1	2	3	4

Pour les questions suivantes, veuillez répondre en entourant le chiffre entre 1 et 7 qui s'applique le mieux à votre situation

29. Comment évalueriez-vous votre état de santé au cours de la semaine passée ?

1 2 3 4 5 6 7

Très mauvais

Excellent

30. Comment évalueriez-vous l'ensemble de votre qualité de vie au cours de la semaine passée ?

1 2 3 4 5 6 7

Très mauvaise

Excellente

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 dispensation, 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 au médicament disposant d'une autorisation d'accès précoce ;
- informe, de manière orale et écrite via le document d'information disponible en [annexe III](#), 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 personnelles.

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 demande 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 de l'avis favorable d'accès au traitement du 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'initiation du traitement, le prescripteur remplit la fiche d'initiation 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 IV](#),
- 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 demande d'accès au traitement ainsi que les fiches préalablement remplies par le prescripteur lors de chaque visite, 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.

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 III](#)) ;
- remplit les questionnaires de qualité de vie, 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 de demandes d'accès au traitement, d'initiation et de suivi, et intègre les données dans sa base de suivi de l'accès précoce ;

- vérifie que les patients répondent aux critères d'éligibilité de l'accès précoce (notamment en ce qui concerne les indications thérapeutiques et contre-indications) ;
- adresse, au prescripteur et à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné, l'avis favorable d'accès au traitement ou l'avis défavorable ;
- 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 1^{er} page, le rapport de synthèse accompagné d'un projet de résumé qu'il transmet à la HAS et à l'ANSM et au CRPV en charge du suivi de l'accès précoce, puis transmet le résumé de ce rapport, publié par la HAS et l'ANSM, 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 et le CRPV en charge du suivi 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, élaboré le cas échéant avec l'ANSM sur proposition du laboratoire, est annexé à la décision de la HAS.

La HAS et l'ANSM diffusent sur leurs sites internet leurs 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 le cas échéant prennent connaissance des informations transmises par le laboratoire ainsi que par le CRPV en charge du suivi de l'accès précoce et prennent toute mesure utile de manière à assurer la sécurité des patients et le bon usage du médicament ;
- elles évaluent en collaboration avec le CRPV en charge du suivi les rapports périodiques de synthèse et publient le résumé de ces rapports établis par le laboratoire ;
- l'ANSM informe sans délai le laboratoire et le CRPV en charge du suivi en cas de signal émergent de sécurité qui lui aurait été notifié ou déclaré directement qui pourrait remettre en cause l'accès précoce ;
- la HAS peut être amenée à modifier le PUT-RD ou retirer/suspendre la décision d'accès précoce selon les données disponibles ;
- en cas d'urgence, l'ANSM peut également suspendre temporairement la décision d'accès précoce pré-AMM pour des motifs de santé publique.

5. Rôle du CRPV en charge du suivi de l'accès précoce

Le centre régional de pharmacovigilance (CRPV) désigné en 1^{er} page assure le suivi de pharmacovigilance de l'accès précoce au niveau national. Il est destinataire (via le laboratoire) des rapports périodiques de synthèse et des résumés. Il effectue une analyse critique de ces documents afin d'identifier et d'évaluer les éventuels signaux de sécurité soulevés par le rapport de synthèse et valide le contenu du résumé. À cette fin, il peut demander au laboratoire de lui fournir toute information complémentaire nécessaire à l'évaluation.

Annexe 3. Documents d'information à destination des patients avant toute prescription d'un médicament en accès précoce : ENHERTU (trastuzumab déruxtécan)

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

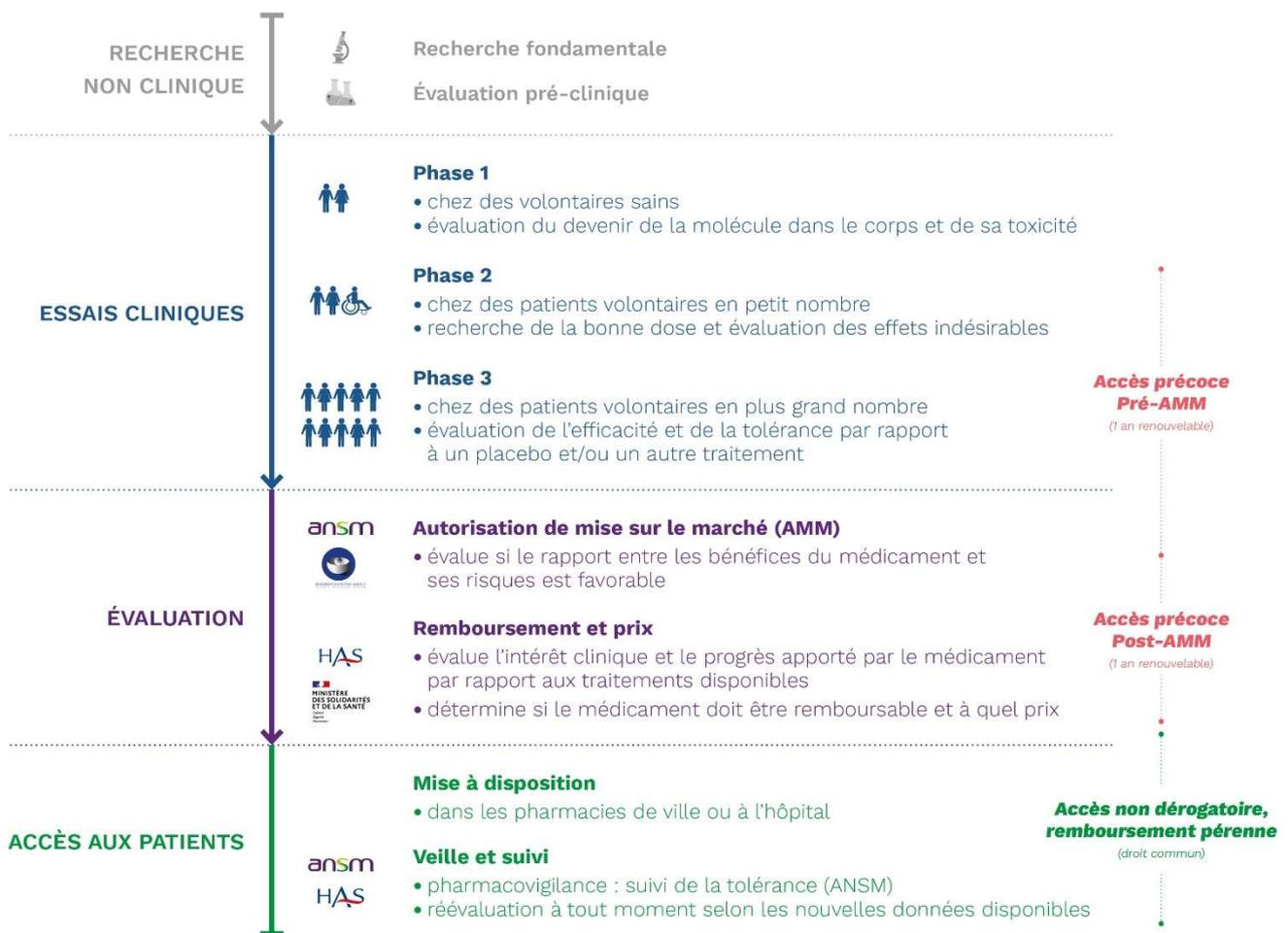
Des premières recherches jusqu'à la commercialisation, tout nouveau médicament doit franchir plusieurs étapes durant lesquelles il est évalué, dans une indication² donnée, pour savoir s'il est sûr et s'il apporte un réel bénéfice aux personnes malades. Ce parcours, depuis le début de la recherche fondamentale 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).

² 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.

Le médicament que l'on vous propose est-il sûr ? Est-ce que vous courez 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. 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, sur ses avantages, mais aussi sur les risques, les incertitudes ou les inconvénients (effets secondaires, contraintes de prise, etc.).

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 : 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 ?
- Quelle différence avec un essai clinique ?

Vous êtes libre d'accepter ou de refuser la prescription de ce médicament.

Après avoir échangé avec votre médecin, 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. Il faut alors en informer votre médecin le plus tôt possible.

L'équipe qui vous suit doit vous apporter la même qualité de soins, quelle que soit votre décision. Vous ne serez pas pénalisé.

En pratique, comment allez-vous 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 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 ce médicament chez vous, 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 si votre 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 vous engage-t-il ? Quelles seront vos 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 sur ce traitement est essentiel. C'est pourquoi votre avis sur ce médicament et les effets qu'il a sur vous sera recueilli à chaque visite avec votre médecin.

Votre médecin va vous poser des questions sur la façon dont vous prenez ce médicament et rassembler des données personnelles sur votre santé et vos habitudes de vie. Pour plus de détails sur les données personnelles recueillies et vos droits, vous pouvez lire le document intitulé « Accès précoce à un médicament - Traitement des données personnelles » (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 avec le médicament : vos impressions sur le traitement, comment vous vous sentez, ce que le traitement vous apporte comme changement, etc. Demandez à votre médecin si vous êtes concerné.

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 (maux de tête, nausées, diarrhée, etc.).

En pratique

Si vous ne vous sentez pas comme d'habitude ou en cas de symptôme nouveau ou inhabituel : parlez-en à votre médecin, 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/>

En partageant votre expérience de ce traitement, vous allez faire avancer les connaissances sur ce médicament, ce qui sera très utile dans la perspective de sa commercialisation éventuelle.

Lorsque l'on vous prescrit un médicament dans le cadre d'un accès précoce, vous n'entrez pas dans un essai clinique. L'objectif principal est de vous soigner et non de tester le médicament. Vous n'avez donc pas à faire d'examens supplémentaires en plus de ceux prévus dans votre 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 serait retirée ou suspendue alors qu'il vous apporte des bénéfices, votre médecin pourra quand même continuer à vous le 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 de vos données personnelles

Le traitement par un médicament prescrit dans le cadre d'un accès précoce implique la collecte de données personnelles concernant votre santé.

Vous trouverez des informations complémentaires relatives à vos droits dans la rubrique suivante : [« Accès précoce à un médicament – Traitement des données personnelles »](#).

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 pathologie qui vous concerne peuvent vous apporter aide et soutien. Renseignez-vous auprès de l'équipe médicale qui vous suit.

Life is Rose : <https://www.lifeisrose.fr/fr/>

Contact : contact@lifeisrose.fr

Etincelle : <http://www.etincelle.asso.fr/>

Contact : assocetincelle@gmail.com

Mon Réseau Cancer du Sein : <https://www.monreseau-cancerdusein.com/>

Contact : contact@patientsenreseau.fr

Collectif 1310 : <https://collectif1310.fr/>

Jeune et Rose : <https://www.jeuneetrose.com/>

Contact : jeuneetrose@gmail.com

Europa Donna : <http://www.europadonna.fr/>

Contact : <http://www.europadonna.fr/contact/>

Rose-Up : <https://www.rose-up.fr/>

Contact : <https://www.rose-up.fr/nous-contacter/>

La Ligue Contre le Cancer : <https://www.ligue-cancer.net/>

Contact : 0 800 940 939

Vivre Comme Avant : <https://www.vivrecommeavant.fr/>

Contact : contact@vivrecommeavant.fr

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 concernées par l'accès précoce aux médicaments.

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

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

Ce document vous informe sur les données personnelles qui sont recueillies et leur traitement, c'est-à-dire l'utilisation qui en sera faite. Le responsable du traitement des données est de Daiichi Sankyo FRANCE SAS en tant que laboratoire titulaire de l'autorisation d'accès précoce.

À quoi vont servir vos 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, etc³. Vos données personnelles et en particulier les informations sur votre 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 personnelles pourront-elles être réutilisées par la suite ?

Vos données personnelles pourront également être utilisées ensuite pour faire de la recherche, étude ou de l'évaluation dans le domaine de la santé.

Cette recherche se fera dans les conditions autorisées par le Règlement européen général sur la protection des données (RGPD) et la loi du 6 janvier 1978 modifiée dite loi « informatique et liberté » 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. Cela signifie que vos données personnelles 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 à cette réutilisation à des fins de recherche auprès du médecin prescripteur du médicament en accès précoce.

Les informations relatives à une nouvelle recherche à partir de vos données seront disponibles sur le site du *Health Data Hub* qui publie un résumé du protocole de recherche pour tous les projets qui lui sont soumis : <https://www.health-data-hub.fr/projets>.

Sur quelle loi se fonde le traitement des données ?

Ce traitement de données est fondé sur une obligation légale à la charge de l'industriel, 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.

³ Pour en savoir plus sur ces critères, voir le [site de la HAS](#).

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 et le pharmacien qui vous a donné le médicament seront amenés à collecter les données personnelles suivantes autant que de besoin aux fins de transmission au laboratoire pharmaceutique :

- votre identification : numéro, les trois premières lettres de votre nom et les deux premières lettres de votre prénom, sexe, poids, taille, âge ou année et mois de naissance ou date de naissance complète si nécessaire dans un contexte pédiatrique ;
- les informations relatives à votre état de santé : notamment l'histoire de votre maladie, vos antécédents personnels ou familiaux, vos autres maladies ou traitements ;
- les informations relatives aux conditions d'utilisation du médicament impliquant notamment : l'identification des professionnels de santé vous prenant en charge (médecins prescripteurs et pharmaciens dispensateurs, etc.), vos autres traitements, 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 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.), 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.

Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités de Daiichi Sankyo France SAS, et toute société du groupe Daiichi Sankyo ainsi que le Laboratoire Exploitant AstraZeneca France (partenaire qui participe à la mise en œuvre de l'AAP et ses éventuels sous-traitants (société de recherche sous contrat) sous une forme pseudonymisées. Vous ne serez identifié que par les trois premières lettres de votre nom et les deux premières lettres de votre prénom, ainsi que par votre âge.

Vos données pourront également être transmises au personnel habilité des autres sociétés du groupe Daiichi Sankyo auquel appartient Daiichi Sankyo France SAS.

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 Daiichi Sankyo France SAS 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.

Transferts hors Union européenne

Vos données pourront faire 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.

À cette fin, le laboratoire met en place les garanties nécessaires pour assurer la protection de vos droits en matière de protection des données personnelles, quel que soit le pays où vos données personnelles sont transférées.

Détails des mesures de protection

Des clauses contractuelles types sont en place entre Daiichi Sankyo Europe (société mère de Daiichi Sankyo France) et Daiichi Sankyo Inc. à qui les données pourront être transférées.

Vous avez le droit de demander une copie de ces garanties au laboratoire pharmaceutique Daiichi Sankyo France SAS à l'adresse : dpo@daiichi-sankyo.fr.

Combien de temps sont conservées vos données ?

Vos données personnelles sont conservées pendant une durée de deux ans pour une utilisation active. Les données seront ensuite archivées en base intermédiaire pendant la durée de l'autorisation de mise sur le marché d'ENHERTU (trastuzumab déruxtécan) et jusqu'à dix ans après l'expiration de cette autorisation. A l'expiration de ce délai, les données sont supprimées ou archivées sous une forme anonyme.

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.

Quels sont vos droits et vos recours possibles ?

Le médecin qui vous a prescrit le médicament en accès précoce est votre premier interlocuteur pour faire valoir vos droits sur vos données personnelles.

Vous pouvez demander à ce médecin :

- à consulter vos données personnelles ;
- à les modifier ;
- à limiter le traitement de certaines données.

Si vous acceptez d'être traité par un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce, vous ne pouvez pas vous opposer à la transmission des données listées ci-dessus ou demander leur suppression. Le droit à l'effacement et le droit à la portabilité ne sont également pas applicables à ce traitement.

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

Vous pouvez contacter directement votre médecin pour exercer ces droits.

Vous pouvez, par ailleurs, contacter le délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire à l'adresse email suivante : dpo@daiichi-sankyo.fr ou par courrier à l'adresse postale suivante :

Daiichi Sankyo France SAS - A l'attention du Délégué à la Protection des données - Immeuble Le Corosa 1 Rue Eugène et Armand Peugeot 92500 Rueil-Malmaison France pour exercer ces droits, ce qui implique la transmission de votre identité au laboratoire.

Vous pouvez également faire une réclamation à 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/situation particulière 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.

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, via le

système national de déclaration et le réseau des CRPV : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/> en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.

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 le système national de déclaration et le réseau des centres régionaux de pharmacovigilance : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/> en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.