

**Commission d'évaluation initiale du rapport entre les  
bénéfices et les risques des produits de santé**

---

**Retour sur la séance de la Commission d'évaluation initiale du rapport  
bénéfice/risque des produits de santé**

**18 janvier 2018**

---

**Autorisation temporaire d'utilisation de cohorte – Durvalumab, 50 mg/ml, solution à diluer pour perfusion**

---

La Commission d'évaluation initiale du rapport entre les bénéfices et les risques des produits de santé s'est exprimée à la majorité des voix en faveur de l'autorisation temporaire d'utilisation de cohorte (ATUc) du durvalumab, 50 mg/ml solution à diluer pour perfusion, dans l'indication « Traitement en monothérapie des patients adultes atteints d'un cancer du poumon non à petites cellules, stade III non opérable, ECOG 0 ou 1, dont la maladie n'a pas progressé après chimio-radiothérapie concomitante à base de platine. Le traitement par durvalumab devra débuter au plus tard 6 semaines après la dernière cure de chimio-radiothérapie concomitante et pour une durée maximale de 12 mois ».

La Commission a souligné que l'efficacité du durvalumab n'est pas formellement démontrée dans cette indication :

- chez les patients âgés de plus de 65 ans
- chez ceux qui présentent une mutation EGFR ou dont le statut mutationnel EGFR n'est pas connu.

**Autorisation temporaire d'utilisation de cohorte – Emicizumab 30 mg/ml et 150 mg/ml, solution injectable**

---

La Commission d'évaluation initiale du rapport bénéfice/risque s'est exprimée à la majorité des voix en faveur de l'autorisation temporaire d'utilisation de cohorte (ATUc) de l'émicizumab 30 mg/ml solution injectable et de l'émicizumab 150 mg/ml solution injectable dans l'indication du traitement des patients âgés de plus d'un an atteints d'une hémophilie A sévère présentant un inhibiteur anti-facteur VIII et requérant soit un protocole d'ITI soit une prophylaxie par fractions activées. Une évaluation du rapport bénéfice/risque au cours d'une réunion de concertation pluridisciplinaire obligatoire doit faire apparaître que le traitement par émicizumab est plus adapté que le recours à un protocole d'ITI ou à une prophylaxie par fractions activées.

**Autorisation temporaire d'utilisation de cohorte – Crysvida® 10 mg/ml et 30 mg/ml, solution injectable (burosumab)**

---

La Commission d'évaluation initiale du rapport bénéfice/risque s'est exprimée à la majorité des voix en faveur de l'autorisation temporaire d'utilisation de cohorte (ATUc) de Crysvida®, 10 mg/ml, solution injectable et de Crysvida® 30 mg/ml, solution injectable (burosumab) dans l'indication traitement des enfants âgés de un an à

12 ans présentant un rachitisme hypophosphatémique lié à l'X, mauvais ou non répondeurs ou non tolérants aux traitements conventionnels et ayant une concentration sérique de phosphate < 1,3 mmol/L.

Le traitement comprend une surveillance du bilan phosphocalcique et du risque de néphrocalcinose et doit être mis en place avec avis d'un centre de référence de la filière OSCAR (Os-Calcium-/Carilage-Rein).

*Les avis rendus par les Commissions consultatives de l'ANSM constituent un des éléments pris en compte pour la décision du Directeur général de l'ANSM. Les avis des commissions ne préjugent pas des décisions de l'ANSM. Ce texte est un relevé des principales conclusions des dossiers inscrits à l'ordre du jour et ne constitue pas le compte-rendu de la séance qui sera publié prochainement.*