

Numero unique de document : GT102013031

Date document : 10/12/2013

Direction : INFHEP

Pôle : Dermatologie, hépato-gastro-entérologie et maladies métaboliques rares

Personne en charge : Nathalie DUMARCET

## GT30 Médicaments d'hépatogastroentérologie et des maladies métaboliques rares N°3

Séance du 12/12/2013 de 14:00 à 17:00

### Programme de séance

| Programme de séance |  |   |
|---------------------|--|---|
|                     | Sujets abordés   | Action (pour audition, information, adoption ou discussion) |
| <b>1.</b>           | <b>Introduction</b>  |   |
| 1.1                 | Adoption de l'ordre du jour  | Pour adoption   |
| 1.2                 | Adoption du CR du GT30 médicaments d'hépatogastroentérologie et des maladies rares n°2 | Pour adoption   |
| <b>2.</b>           | <b>Dossiers thématiques</b>  |   |
|                     | /  |   |
| <b>3.</b>           | <b>Dossiers Produits – Substances (National)</b>                                       |   |
| 3.1                 | BI 655066  | Pour discussion   |
| <b>4.</b>           | <b>Dossiers Produits – Substances (Europe)</b>   |   |
| 4.1                 | AKYNZEO  | Pour discussion   |
| 4.2                 | REVESTIVE  | Pour discussion   |
| <b>5.</b>           | <b>Tour de Table</b>   |   |

### Dossier

|  |   |                                     |
|--|---|-------------------------------------|
|  | <b>Nom du dossier</b>                     | AKYNZEO                             |
|  | Dossier thématique                        | <input type="checkbox"/>            |
|  | Dossiers Produits – Substances (National) | <input type="checkbox"/>            |
|  | Dossiers Produits – Substances (Europe)   | <input checked="" type="checkbox"/> |

### Présentation de la problématique

L'ANSM est en charge d'une future demande d'AMM centralisée pour la spécialité AKYNZEO dans la prévention des nausées et vomissements chimio-induits. Il s'agit d'une association fixe de deux principes actifs : le palonosétron et le netupitant, ce dernier étant une nouvelle substance active.

La France est co-rapporteur pour cette demande dont la soumission est prévue début janvier 2014.

La firme a fourni dans le cadre d'une pré-soumission des éléments préliminaires relatifs au dossier et des problématiques sont soulevées en amont de cette demande d'AMM nécessitant l'avis des experts du Groupe.

|                       |  |
|-----------------------|--|
| <b>Question posée</b> | 1. Le programme des études réalisées tel que présenté est-il adéquat pour soutenir la demande d'AMM ?  |
| <b>Question posée</b> | 2. L'efficacité et la légitimité du netupitant est-elle suffisamment établie (vs autres anti-NK1)?   |
| <b>Question posée</b> | 3. La fréquence majorée des effets secondaires et l'incidence des décès chez les patients traités par l'association netupitant+palonosetron doivent-elles être discutées ? |

## Dossier

|  |   |                                     |
|--|---|-------------------------------------|
|  | <b>Nom du dossier</b>                     | REVESTIVE (téduglutide)             |
|  | Dossier thématique                        | <input type="checkbox"/>            |
|  | Dossiers Produits – Substances (National) | <input type="checkbox"/>            |
|  | Dossiers Produits – Substances (Europe)   | <input checked="" type="checkbox"/> |

### Présentation de la problématique

Revestive est utilisé pour le traitement du syndrome de l'intestin court chez l'adulte.

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Revestive le 30 août 2012.

Etant donné le faible nombre de patients touchés par le syndrome de l'intestin court, la maladie est dite « rare » et Revestive a été désigné comme étant un « médicament orphelin ».

**Conditions de prescription et de délivrance** : compte-tenu de l'indication et de la nécessité de coloscopies lors de l'instauration du traitement et de sa surveillance par un médecin expérimenté dans le traitement du syndrome de l'intestin court, il a été envisagé de proposer que la prescription soit réservée aux seuls gastro-entérologues hospitaliers (prescription initiale et renouvellement).

Toutefois, au vu des pratiques existantes, la question se pose de laisser également la possibilité de prescription aux anesthésistes-réanimateurs.

|                       |   |
|-----------------------|---|
| <b>Question posée</b> | 1. Les conditions de prescription de Revestive telles que prévues (gastro-entérologues hospitaliers) sont-elles adéquates ? |
| <b>Question posée</b> |   |
| <b>Question posée</b> |   |
| <b>Question posée</b> |   |

## Dossier

|  |   |                                     |
|--|---|-------------------------------------|
|  | <b>Nom du dossier</b>                     | BI 655066                           |
|  | Dossier thématique                        | <input type="checkbox"/>            |
|  | Dossiers Produits – Substances (National) | <input checked="" type="checkbox"/> |
|  | Dossiers Produits – Substances (Europe)   | <input type="checkbox"/>            |

**Présentation de la problématique**

L'ANSM est en charge d'une demande d'autorisation d'essai clinique de phase II concernant un nouveau médicament expérimental (BI 655066) dans la maladie de Crohn.

|                       |   |
|-----------------------|---|
| <b>Question posée</b> | 1. Les pré-requis (précliniques et cliniques) sont-ils suffisants, notamment concernant le choix des doses administrées ? |
| <b>Question posée</b> | 2. Le risque de toxicité cardiaque (inhérent à la classe pharmacologique) est-il correctement anticipé ?                  |