

Numero unique de document : GT142018023

Date document : 29 mars 2018

Direction : ONCOH

Pôle : Oncologie/Hématologie

Personne en charge : Lotfi BOUDALI

## Groupe de travail Oncologie/Hématologie

Séance du vendredi 09 mars 2018 de 14h00 à 18h00 en salle A012

Nom des participants	Statut (mentionner si Président, membre, /secrétaire, rédacteur, évaluateur)	Présent	Absent /excusé	Copie
Lotfi Boudali	Directeur ONCOH	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Gaëlle Guyader	Directrice Adjointe ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Peggy Chocarne	Chef de pole Hématologie	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Isabelle Sainte-Marie	Chef de pole Thérapie cellulaire	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Vincent Gazin	Chef de pole Thérapie cellulaire	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Nicolas Albin	Conseiller Médical et Scientifique	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Alexandre Moreau	Représentant France CHMP EMA	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Pierre Démolis	« Scientific advices » EMA Directeur adjoint stratégie Européenne	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Céline Chu	Evaluateur ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Violaine Closson-Carella	Evaluateur ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Chabha Ould-Yahia	Evaluateur ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Skerdi Haviari	Interne ONCOH	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Marie-Christine Bene	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Nelly Etienne-Selloum	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Françoise Grudé	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Valentina Guarino	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Bernard Guillot	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Jean-Baptiste Meric	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Laurent Mignot	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Dominique Plantaz	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
Bruno Quesnel	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Christian Riché	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Linda Sakhri	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Laurent Sutton	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Benjamin Verrière	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	

Nom des participants	Statut (mentionner si Président, membre, /secrétaire, rédacteur, évaluateur)	Présent	Absent /excusé	Copie
Nathalie Hoog-Labouret	INCA	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Elisabeth Bermudez	INCA	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Manon Schwager	INCA	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	

Points	Sujets abordés	Initiales évaluateur	Action : <i>mentionner</i> pour audition, information, adoption ou discussion	Avis EU nécessaire avant publication <i>Mentionner</i> Oui non	Liens DPI <i>Mentionner</i> Oui non
<b>1.</b>	<b>Introduction</b>				
1.1	Adoption du CR du GTOH n°1 du 19 janvier 2018	GGU	Adoption		
<b>2.</b>	<b>Dossiers thématiques</b>				
	Points d'actualité :				
2.1	- Points d'actualité : Retour CHMP du 22/01/2018 et du 19/02/2018	NAL	Information		
2.2	- Retour CAT	VCL	Information		
2.3	- Recommandations en matière de prévention des effets indésirables graves liés à un déficit en DPD lors de traitement par fluoropyrimidines				
<b>3.</b>	<b>Dossiers Produits – Substances (National)</b>				
3.1	- ATUc Vyxeos (Daunorubicine/Cytarabine) - JAZZ Pharmaceuticals	CHU	Discussion		
3.2	- ATUC Cablivi (Caplacizumab) - Ablynx	CHU			
<b>4.</b>	<b>Dossiers Produits – Substances (Europe)</b>				
<b>5.</b>	<b>Tour de Table</b>				

## Déroulement de la séance

<b>Nom du dossier</b>	- ATUC Cablivi (Caplacizumab) - Ablynx
Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (National)	<input checked="" type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input type="checkbox"/>
Numéro de dossier NL	
Nom de l'évaluateur <PRENOM><NOM>	
Horaire de passage <Hh:mm à hh:mm>	

Nom, Prénom	DPI > 1 an	Type de lien	Niveau lien	Période	Traitement en séance		
					<b>Si DPI &gt; 1 an</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 1</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 2</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					<b>Si DPI &gt; 1 an</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 1</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 2</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					<b>Si DPI &gt; 1 an</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 1</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 2</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					<b>Si DPI &gt; 1 an</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 1</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 2</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>

Critères de passage	
Besoin d'une connaissance terrain sur des pratiques <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Besoin d'un avis collégial ou complémentaire / Absence de consensus interne et / ou avis complémentaire <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Caractère innovant du dossier <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Impact majeur de santé publique <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>

### Références documentaires

<b>Présentation de la problématique</b>	
<p>Le laboratoire Ablynx a soumis une demande d'ATU de cohorte pour caplacizumab, dans l'indication « traitement des adultes présentant un épisode de purpura thrombotique thrombocytopénique acquis (PTTa) ».</p> <p>En support à leur demande, les résultats de l'étude de phase II TITAN et de l'étude de phase III HERCULES ont été soumis.</p> <p>En support à leur demande, les résultats de l'étude de phase III CLTR 0310-301 ont été soumis.</p>	
<b>Question posée</b>	Un avis du GTOH est demandé sur l'octroi de l'ATU de cohorte dans l'indication revendiquée.
<b>Votes</b>	<b>8</b>
Nombre de votants sur nombre global	<b>8/8</b>
Nombre d'avis favorables	<b>7</b>
Nombre d'avis défavorables	
Nombre d'abstention	<b>1</b>
<b>Avis relatif à la question posée</b>	
<i>Avis majoritaires</i>	<p>Compte tenu des éléments présentés, l'avis du GTOH sur l'utilisation du caplacizumab dans le « Traitement des adultes présentant un épisode de purpura thrombotique thrombocytopénique acquis (PTTa) » est :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>DEFAVORABLE</b> dans le cadre d'une ATU de cohorte</li> <li>• <b>FAVORABLE</b> dans le cadre d'une ATU nominative dans l'indication suivante « Traitement des adultes présentant un épisode aigu de purpura thrombotique thrombocytopénique acquis (PTTa) <b>en association avec les échanges plasmatiques et une thérapie immunosuppressive</b> » et après l'avis d'un centre de référence de microangiopathie (CNR-MAT).</li> </ul>
<i>Avis minoritaires</i>	
<b>Proposition d'action :</b>	

### Déroulement de la séance

<b>Nom du dossier</b>	- ATUc Vyxeos (Daunorubicine/Cytarabine) - JAZZ Pharmaceuticals
Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (National)	<input checked="" type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input type="checkbox"/>
Numéro de dossier NL	
Nom de l'évaluateur <PRENOM><NOM>	Céline CHU
Horaire de passage <Hh:mm à hh:mm>	

Nom, Prénom	DPI > 1 an	Type de lien	Niveau lien	Période	Traitement en séance		
					<b>Si DPI &gt; 1 an</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 1</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 2</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					<b>Si DPI &gt; 1 an</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 1</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 2</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					<b>Si DPI &gt; 1 an</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 1</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 2</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>
					<b>Si DPI &gt; 1 an</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/> DPI actualisée en séance <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 1</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>	<b>Si niveau 2</b> Sortie <input type="checkbox"/> Absent <input type="checkbox"/> Présent <input type="checkbox"/>

Critères de passage	
Besoin d'une connaissance terrain sur des pratiques <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Besoin d'un avis collégial ou complémentaire / Absence de consensus interne et / ou avis complémentaire <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Caractère innovant du dossier <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>
Impact majeur de santé publique <Arguments : champ texte>	<input type="checkbox"/>

#### Références documentaires

<b>Présentation de la problématique</b>	
<p>Le laboratoire JAZZ Pharmaceuticals a soumis une demande d'ATU de cohorte pour VYXEOS, une formulation liposomale injectable de daunorubicine et cytarabine, dans l'indication « traitement des patients âgés de 60 à 75 ans présentant une leucémie aiguë myéloblastique (LAM) secondaire à un traitement ou une LAM <i>de novo</i> avec des anomalies de type Syndromes Myélodysplasiques (SMD) ».</p> <p>En support à leur demande, les résultats de l'étude de phase III CLTR 0310-301 ont été soumis.</p>	
<b>Question posée</b>	L'avis du GTOH est sollicité quant à la mise à disposition précoce de cette spécialité dans cette indication.
<b>Votes</b>	<b>6</b>
Nombre de votants sur nombre global	<b>6/6</b>
Nombre d'avis favorables	<b>6</b>
Nombre d'avis défavorables	/
Nombre d'abstention	/
<b>Avis relatif à la question posée</b>	
<i>Avis majoritaires</i>	<p><b>AVIS FAVORABLE</b></p> <p>Le GTOH est favorable à l'utilisation du Vyxeos dans le cadre d'une ATU de cohorte dans l'indication suivante : «Traitement de première ligne des patients âgés de 60 à 75 ans et présentant une Leucémie Aiguë Myéloblastique (LAM) secondaire à un traitement ou une LAM de novo avec des anomalies de type Syndrome Myélodysplasique (SMD) chez les patients n'ayant pas reçu de traitement antérieur».</p>
<i>Avis minoritaires</i>	
<b>Proposition d'action :</b>	