

|                             |            |
|-----------------------------|------------|
| Numéro document * :         | GT04201331 |
| Date document * :           | 12/09/2013 |
| N° Enregistrement Audio * : | GT04201334 |

|   |                      |                 |              |              |              |
|---|----------------------|-----------------|--------------|--------------|--------------|
| <b>GT04 Médicaments du système cardiovasculaire et les médicaments indiqués dans la thrombose</b> |                      |                 |              | <b>2013</b>  | <b>3</b>     |
| <b>Séance du * :</b>  | <b>26/09/2013</b>    | <b>de * :</b>   | <b>14:00</b> | <b>à * :</b> | <b>17:00</b> |
| Responsable du groupe de travail ou commission :  | Direction :          | DP2 CARDIO      |              |              |              |
|   | Pôle :               | CARDIO VASC     |              |              |              |
|   | Personne en charge : | Joseph EMMERICH |              |              |              |

### Programme de séance

| Points | Sujets abordés                                   | Action                |
|--------|--|-----------------------|
| 1.     | <b>Introduction</b>                              |                       |
| 1.1    | Adoption de l'ordre du jour                      | *Sélectionner valeur* |
| 1.2    | Adoption du CR de GT04 Médicaments du système    | *Sélectionner valeur* |
| 2.     | <b>Dossiers thématiques</b>                      |                       |
| 2.1    |  | *Sélectionner valeur* |
| 3.     | <b>Dossiers Produits - Substances (National)</b> |                       |
| 3.1    | ADRENALINE AGUETTANT                             | Pour discussion       |
| 3.2    | LOJUXTA  | Pour discussion       |
| 3.3    | Essai clinique                                   | Pour discussion       |
| 4.     | <b>Dossiers Produits - Substances (Europe)</b>   |                       |
| 4.1    | PRADAXA  | Pour discussion       |
| 5.     | <b>Tour de table</b>                             |                       |
|        | Retour d'information dossiers européens          | pour information      |

### Déroulement de la séance

|     |                             |  |
|-----|-----------------------------|--|
| 1.  | Introduction                |  |
| 1.1 | Adoption de l'ordre du jour | *Sélec. val*                                     |
|     | <b>Type de dossier :</b>    | <b>3. dossier produits-substances (national)</b> |
|     | Nom du dossier :            | Adrénaline Aguettant - Extension d'indication    |
|     | Firme concernée :           | AGUETTANT  |

### Présentation de la problématique

Les laboratoires AGUETTANT ont soumis pour leur spécialité ADRENALINE AGUETTANT 1 mg/mL SANS SULFITE:

- une demande d'extension d'indication

La nouvelle indication revendiquée relève du domaine de la gastro-entérologie et est la suivante : " Traitement hémostatique des hémorragies digestives hautes non liées à une hypertension portale lors d'un traitement endoscopique et en association à d'autres méthodes (thermiques, mécaniques, médicamenteuses). Une injection locale de 10-25 ml d'une solution diluée au 1/10 000."

Cette indication a été validée par la plupart des recommandations et référentiels récents et répond à un besoin thérapeutique dans une pathologie mettant en jeu le pronostic vital immédiat.

Toutefois:

- les modalités précises d'utilisation (population-cible, posologie notamment) ne sont pas suffisamment documentées et certaines options thérapeutiques restent non consensuelles méritant d'être revues par les prescripteurs concernés ;
- les données disponibles de tolérance sont insuffisantes impliquant la nécessité d'encadrer l'utilisation de ce médicament dans cette indication selon des modalités/précaution d'emploi à définir.

- une demande d'autorisation pour une nouvelle voie d'administration

L'administration par voie intraosseuse est revendiquée comme voie alternative à la voie intraveineuse, à la même posologie, sans précision dans quelles utilisations possibles.

Cette demande reposant sur la pratique clinique nécessite cependant des précisions concernant les modalités précises d'utilisation.

|  |
|--|
|  |
|--|

| Questions   |   |
|---|---|
| Numéro :  | 1 |
| Peut-on considérer que le rapport bénéfice-risque de l'adrénaline dans le traitement hémostatique des hémorragie digestives est favorable au vu des données déposées ? Il est notamment demandé au Groupe Cardio-Vasc de se prononcer sur la sécurité d'emploi de l'adrénaline dans le cadre de cette pratique, et sur les modalités de surveillance nécessaires. |   |
| Numéro :  | 2 |
| Peut-on considérer que le rapport bénéfice-risque de l'adrénaline en administration par voie intra-osseuse est favorable au vu des données déposées ? Il est notamment demandé au Groupe Cardio-Vasc d'apporter un éclairage sur cette technique (quelle utilisation clinique et quelles conditions d'utilisation).   |   |
| Numéro :  |   |
|   |   |
| Numéro :  |   |
|   |   |

|                   |   |
|-------------------|---|
| Type de dossier : | 3. dossier produits-substances (national) |
| Nom du dossier :  | LOJUXTA                                   |
| Firme concernée : | Aegerion pharmaceuticals SAS              |

| Présentation de la problématique   |  |
|--|--|
| <p>Avis favorable du CHMP à l'AMM de Lojuxta le 30 mai 2013, AMM délivrée le 31 juillet par la CE. Médicament désigné orphelin / maladie rare.</p> <p>"Lojuxta est indiqué en complément d'un régime alimentaire pauvre en graisses et d'autres médicaments hypolipémiants, avec ou sans aphérese des lipoprotéines de basse densité (LDL), chez des patients adultes présentant une hypercholestérolémie familiale homozygote (HFHo). L'HFHo doit être confirmée par un test génétique dans toute la mesure du possible. D'autres formes d'hyperlipoprotéinémies primaires et les causes secondaires d'hypercholestérolémie (syndrome néphrotique, hypothyroïdisme, par exemple) doivent être exclues". AMM sous circonstances exceptionnelles : données manquantes compte tenu de la rareté de la pathologie, études cliniques complémentaires à mener (registre), réévaluation annuelle du rapport bénéfice/risque ; médicament sous surveillance supplémentaire (triangle noir sur RCP et notice, pharmacovigilance renforcée) ;</p> <p>Profil de sécurité d'emploi : toxicité, mises en garde et précautions d'emploi<br/>           - toxicité hépatique (augmentation ALAT/ASAT, risque de stéatose) : surveillance des paramètres hépatiques avant traitement puis mensuellement<br/>           - toxicité gastro-intestinale (diarrhées, nausées, dyspepsie, vomissements,...) ;<br/>           - risque d'interactions médicamenteuses ou alimentaires importants<br/>           - tératogénicité et embryotoxicité chez l'animal (contraception efficace nécessaire chez les femmes susceptibles de procréer)</p> <p>Conditions de prescription<br/>           L'AMM soumet ce médicament à une prescription restreinte : cf. section 4.2 « Le traitement par Lojuxta doit être instauré et surveillé par un médecin</p> <p>Des mesures d'information et d'accompagnement des patients traités sont prévues dans le plan de gestion des risques (carte et brochures spécifiques)</p> <p>Conditions de délivrance<br/>           Une dispensation en officines de ville serait adaptée, s'agissant d'un traitement par voie orale quotidienne, au long cours, et concernant des patients</p> <p>Taille conditionnements : boîtes de 28 gélules</p> |  |

| Questions |  |
|-----------|--|
| Numéro :  |  |

Quelles sont les conditions de prescriptions et délivrance à octroyer à la spécialité Lojuxta. L'AMM soumet ce médicament à une prescription restreinte : "Le traitement par Lojuxta doit être instauré et surveillé par un médecin qualifié dans la prise en charge des patients atteints de dyslipidémie". Ces conditions imposent une instauration et un suivi du traitement par un médecin spécialiste (prescription initiale et renouvellement).  
Quels sont les spécialistes qualifiés pour la prise en charge des adultes atteints d'HoFH? cardio, endocrino, autres et dans quels services exercent-