

---

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

Accès précoce post-AMM – SKYCLARYS (omaveloxolone) 50mg, gélules

---

La demande	
Spécialité	SKYCLARYS 50mg, gélules
DCI	Omaveloxolone
Indication	SKYCLARYS est indiqué dans le traitement de l'ataxie de Friedreich (AF) chez les adultes et les adolescents âgés de 16 ans et plus.
Date d'octroi	16/11/2023 <i>La mise à disposition de ce médicament sera effective dans un délai maximal de 2 mois à compter de cette date.</i>
Périodicité des rapports de synthèse	9 mois – un gel de la base jusqu'à deux mois avant cette échéance est toléré. Le prochain rapport de synthèse devra également être déposé dans le dossier de renouvellement d'accès précoce. Pour chaque renouvellement ultérieur, le rapport de synthèse déposé devra être le plus récent possible, en tenant compte du dépôt du dossier 3 mois avant la fin de l'autorisation et du gel de base toléré de 2 mois avant le dépôt du dossier.
Renseignements administratifs	
Contact laboratoire titulaire et/ou CRO	BIOGEN France SAS. Soumission du dossier par Biogen France SAS au nom et pour le compte de Reata Ireland Limited (titulaire de l'AMM) E-mail : aap2-omav@biogen.com Plateforme électronique à destination des professionnels de santé : <a href="https://bamara.bndmr.fr">https://bamara.bndmr.fr</a>

<b>CRPV en charge du suivi de l'accès précoce</b>	Paris Henri Mondor (Créteil)
<b>Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire</b>	E-mail <a href="mailto:privacy@biogen.com">privacy@biogen.com</a>

Dernière date de mise à jour : 21/06/2024

**Retrouvez toutes les informations sur ce médicament en accès précoce sur les sites internet de [l'ANSM](#) et de la [HAS](#).**

<i>Version BaMaRa du modèle de PUT-RD</i>	<i>Version 1 (Juin 2023)</i>
---	------------------------------


# Sommaire

<b>Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur</b>	<b>4</b>
<b>Le médicament</b>	<b>6</b>
<b>Calendrier des visites</b>	<b>7</b>
<b>Annexes</b>	<b>9</b>
Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données	9
Annexe 2. Rôle des différents acteurs	26
Annexe 3. Documents d'information à destination des patients, des médecins prescripteurs et des pharmaciens avant toute prescription d'un médicament en accès précoce : SKYCLARYS (omaveloxolone) 50mg, gélules	30
Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières	47

# 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 :

 <b>RESPECTER</b> les conditions d'utilisation, en particulier l'indication thérapeutique	 <b>INFORMER</b> le patient des bénéfices attendus et des risques liés à l'utilisation de ce médicament, du cadre spécifique de cette prescription, de son caractère dérogatoire et provisoire et lui préciser son rôle dans le recueil de données*	 <b>RECUEILLIR et TRANSMETTRE</b> au laboratoire toutes les données cliniques demandées en vue de leur analyse par les autorités sanitaires	 <b>DÉCLARER</b> tout effet indésirable et situations particulières sur <a href="https://signalement.social-sante.gouv.fr">signalement.social-sante.gouv.fr</a> (si AMM) ou directement auprès de l'industriel (pré-AMM)
--	--	---	---

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 16/11/2023, 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 SKYCLARYS (omevaloxolone) gélules de 50mg, dans l'indication : traitement de l'ataxie de Friedreich (AF) chez les adultes et les adolescents âgés de 16 ans et plus. 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 ou le médicament a obtenu une AMM ;
- 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 disponible sur les sites de l'ANSM et de la HAS ;
  - des notes d'information que le prescripteur doit remettre au patient avant toute prescription du médicament (voir [annexe 3](#)) ;
- 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. Des personnels des établissements participant à la prise en charge des patients, autres que les pharmaciens et les prescripteurs, peuvent participer à la collecte des données sous la responsabilité de ceux-ci et selon les modalités d'organisation propres à chaque établissement de santé. **Une convention entre le titulaire et l'établissement définit les modalités de dédommagement de l'établissement pour le temps consacré à la collecte de données<sup>1</sup>, en plus de la convention de partenariat signée entre l'AP-HP et le titulaire relative au recueil de données dans BaMaRa et à son exploitation.**

---

<sup>1</sup> 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 disponible sur les sites internet de l'ANSM et de la HAS.

## Spécialité concernée

SKYCLARYS, gélule de 50 mg (omaveloxolone)

## Caractéristiques du médicament

Le mécanisme précis par lequel l'omaveloxolone exerce son effet thérapeutique chez les patients atteints d'ataxie de Friedreich n'est pas connu.

L'omaveloxolone active la voie du facteur nucléaire (dérivé de l'érythroïde 2) similaire à 2 (Nrf2) in vitro et in vivo chez l'animal et chez l'homme. La voie Nrf2 est impliquée dans la réponse cellulaire au stress oxydatif. Un large faisceau de données montre que le taux et l'activité du facteur de transcription Nrf2 sont supprimés dans les cellules des patients atteints d'ataxie de Friedreich

## Indication

SKYCLARYS est indiqué dans le traitement de l'ataxie de Friedreich (AF) chez les adultes et les adolescents âgés de 16 ans et plus.

## Critères d'éligibilité

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

Patient âgé de 16 ans et plus et atteint d'ataxie de Friedreich.

## Critères de non-éligibilité

Le patient est non éligible à l'accès précoce s'il remplit l'un des critères ci-dessous :

Hypersensibilité au principe actif omaveloxolone ou à l'un des excipients mentionnés à la rubrique 6.1 du RCP

## Conditions de prescription et de délivrance

En complément des conditions de prescription et de délivrance, se rapporter à [l'annexe 2](#) pour plus d'informations sur les mentions obligatoires à porter sur l'ordonnance.

- Médicament soumis à prescription initiale hospitalière annuelle
- Prescription réservée aux spécialistes en neurologie ou en neuropédiatrie ou en génétique médicale.
- Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement.

# Calendrier des visites

	Fiche d'accès au traitement	Fiche d'instauration de traitement	Suivi du traitement (M3, M6 puis tous les 6 mois) et/ou arrêt
Remise des documents d'information destinés au patient par le médecin prescripteur	X		
<b>Collecte de données du SDM (déjà faite dans BaMaRa au moment du recueil dans le SDM-T – à vérifier par le médecin du centre labellisé)</b>			
Diagnostic (code ORPHA) et statut (indéterminé, en cours, probable, confirmé)			
Date du diagnostic			
Age (au diagnostic, aux premiers signes ou à l'inclusion)			
Gène associé au diagnostic (HGNC)			
Description clinique (HPO, CIM-10, ORPHA)			
Signes atypiques (HPO, CIM-10)			
<b>Collecte de données sur les caractéristiques des patients</b>			
Déclaration de conformité médicale aux critères d'éligibilité et de non-éligibilité	X	X	
Bilan biologique : ASAT, ALAT, BNP (ou NT-proBNP))	X		
Antécédents de traitement et histoire de la maladie	X		
Test de grossesse (le cas échéant)	X		X
<b>Mesures de suivi nécessaires à la prise en charge sans collecte de données</b>			
Bilan biologique [se référer au RCP]			
Paramètres des signes vitaux (taille, poids, pouls, Bilan ECG, rythme cardiaque) [se référer au RCP]			
<b>Collecte de données sur les conditions d'utilisation</b>			
Posologie et traitements concomitants et/ou soins de support	X	X	X
Interruption temporaire ou définitive de traitement			X

<b>Collecte de données d'efficacité</b>			
Données de survie	X	X	X
Critère d'efficacité : score SARA			
Sous-score SARA :			
<ul style="list-style-type: none"> <li>• Gait (.../8)</li> <li>• Stance (.../6)</li> <li>• Sitting (.../4)</li> <li>• Speech disturbance (.../6)</li> <li>• Finger chase (.../4)</li> <li>• Nose-finger test (.../4)</li> <li>• Fast alternating hand movements (.../4)</li> <li>• Heel-shin slide (.../4)</li> </ul>	X	X	X
Auto-questionnaire de qualité de vie (SF-12)		X	X
<b>Collecte de données de tolérance/situations particulières</b>			
Suivi des effets indésirables/situation particulières		x*	x*

\*NB : Le recueil de données dans BaMaRa ne prévoit pas la collecte des événements indésirables, mais seulement de leur existence, et le cas échéant leur nombre ainsi que leur description clinique via le référentiel HPO. Afin de faciliter le recueil, pour les AP pré-AMM l'adresse de la plateforme électronique sur laquelle la déclaration des événements indésirables s'effectue pourra être intégrée dans BaMaRa. Pour les AP post-AMM conformément à la législation en vigueur, la déclaration se fera auprès du CRPV géographique dont le médecin dépend via le système national de déclaration <https://signalement.social-sante.gouv.fr>



# Annexes

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

- [Fiche d'accès au traitement](#)
- [Fiche d'instauration de traitement](#) (première administration)
- [Fiches de suivi, modification ou arrêt de traitement](#)
- [Questionnaire de qualité de vie \(SF-12\) intégré dans BaMaRa](#)

### Qui contacter concernant le recueil des données :

BIOGEN France SAS

E-Mail : [aap2-omav@biogen.com](mailto:aap2-omav@biogen.com)

- Pour la déclaration d'effet indésirable et/ou de signalement de situations particulières : elle se fera auprès du CRPV géographique dont le médecin dépend via le système national de déclaration <https://signalement.social-sante.gouv.fr>

Le recueil des données dans le cadre du PUT-RD se fait **via la transmission des fiches papier**

- **En cas de transmission papier, les fiches sont à envoyer via fax ou email**
- Pour le recueil des données de la fiche d'accès au traitement, d'instauration, de suivi, modification et arrêt de traitement

Le recueil des données dans le cadre du PUT-RD se fait **via BaMaRa**

- **Plateforme électronique** : <https://bamara.bndmr.fr>

Le SDM-T étant un module intégré au sein de BaMaRa, l'accès se fait via la page de connexion de l'application BaMaRa.

Une fois connecté, le SDM-T peut être complété en suivant les recommandations du guide utilisateur spécifique au SDM-T, disponible sur le site de la BNDMR<sup>2</sup>.

**En cas d'impossibilité de connexion à la plateforme BaMaRa**, contacter le support à l'adresse e-mail suivante : [support.bamara@aphp.fr](mailto:support.bamara@aphp.fr)

<sup>2</sup> <https://www.bndmr.fr/participer/guides-et-bonnes-pratiques/>

## Fiche d'accès au traitement

À remplir par le prescripteur et le pharmacien

Plateforme électronique

<https://bamara.bndmr.fr>

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, 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/>.

S'il existe une possibilité d'inclure le patient dans un essai clinique en cours dans l'indication qui fait l'objet de l'accès précoce, le patient doit être orienté vers l'essai clinique.

Le patient a-t-il déjà débuté le traitement dans le cadre d'un accès compassionnel ou dans une autre situation?  Oui  Non

### Maladie

#### Diagnostic et état du patient

- Patient âgé de 16 ans ou plus et atteint d'ataxie de Friedreich.  Oui  Non
- Date du diagnostic : \_\_/\_\_/\_\_\_\_
- Score SARA à l'inclusion : |\_|\_|\_|

Sous-score SARA :

- Gait \_\_\_\_/8
- Stance \_\_\_\_/6
- Sitting \_\_\_\_/4
- Speech disturbance \_\_\_\_/6
- Finger chase \_\_\_\_/4
- Nose-finger test \_\_\_\_/4
- Fast alternating hand movements \_\_\_\_/4
- Heel-shin slide \_\_\_\_/4

#### Traitements antérieurs

Traitements antérieurs	Date de début	Date d'arrêt
------------------------	---------------	--------------

[Référentiel Thériaque]	-- / -- / ----	-- / -- / ----
[Référentiel Thériaque]	-- / -- / ----	-- / -- / ----
[Référentiel Thériaque]	-- / -- / ----	-- / -- / ----
[Référentiel Thériaque]	-- / -- / ----	-- / -- / ----

### Traitements concomitants (incluant les soins de support)

Traitements concomitants	Dose journalière moyenne	Date de début
[Référentiel Thériaque]	_ _ _   [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre] [Si unité autre] Précision de l'unité : champ libre	-- / -- / ----
[Référentiel Thériaque]	_ _ _   [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre] [Si unité autre] Précision de l'unité : champ libre	-- / -- / ----
[Référentiel Thériaque]	_ _ _   [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre] [Si unité autre] Précision de l'unité : champ libre	-- / -- / ----
[Référentiel Thériaque]	_ _ _   [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre] [Si unité autre] Précision de l'unité : champ libre	-- / -- / ----

### Comorbidités

Patient ambulatoire ?  Oui  Non

Patient avec une cardiopathie ?  Oui  Non

Patient avec un pes cavus ?  Oui  Non

### Biologie

Se référer à la rubrique 4.4 du RCP pour plus d'informations concernant le bilan biologique complet à réaliser avant toute instauration du traitement, et périodiquement lors du suivi de ce dernier.

Examens	Résultats
ALAT ( _ / _ / _ _ _ )	_ _ _ _ _ UI/L

ASAT ( _ / _ / _ _ _ )	_____ UI/L
BNP ( _ / _ / _ _ _ )	_____ pg/mL
ou	
ProBNP ( _ / _ / _ _ _ )	_____ pg/mL

## Traitement par SKYCLARYS (omaveloxolone) 50mg, gélules

Concernant l'utilisation du médicament notamment la posologie, les mises en garde spéciales, précautions d'emploi et contre-indications, veuillez-vous référer au RCP disponible sur les sites de l'ANSM et de la HAS.

### Posologie et durée envisagée

La dose recommandée de omaveloxolone 50mg, gélules est de 150 mg (3 gélules de 50 mg chacune) une fois par jour. Omaveloxolone 50mg, gélules doit être administré à jeun, au minimum une heure avant la prise d'aliments. Si une dose est oubliée ou n'a pas été prise dans les 3 heures précédant ou suivant l'heure de prise habituelle, la dose suivante doit être prise comme d'habitude le jour suivant. Ne prenez pas deux doses pour compenser une dose oubliée.

Toute dose vomie ne doit pas être remplacée par une dose supplémentaire.

Il n'y a pas de durée maximale recommandée du traitement. Les données cliniques obtenues pendant des durées de traitement excédant 3 ans suggèrent un maintien de l'efficacité de maveloxolone 50mg, gélules.

Posologie 150 mg une fois par jour (3 gélules de 50 mg)

Autre : à préciser par le prescripteur

<i>[Si Autre]</i> Dose	_____mg [ <i>unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre</i> ] <i>[Si unité autre]</i> Précision de l'unité : <i>champ libre</i>
<i>[Si Autre]</i> Fréquence	<input type="checkbox"/> Tous les jours <input type="checkbox"/> 1 jour sur 2 <input type="checkbox"/> Autres, précision : <i>champ libre</i>

Durée envisagée du traitement :

\_\_\_\_\_ jour(s) ou semaine(s) ou mois

Administration unique

## Engagement du prescripteur

### Critères d'éligibilité

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

Patient âgé de 16 ans et plus et atteint d'ataxie de Friedreich

## Critères de non-éligibilité

Le patient est non éligible à l'accès précoce s'il remplit l'un des critères ci-dessous :

Hypersensibilité au principe actif omaveloxolone ou à l'un des excipients mentionnés à la rubrique 6.1 du RCP

**Je certifie que le patient remplit les critères d'éligibilité et ne remplit aucun des critères de non-éligibilité ci-dessus :**

Oui  Non

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

**J'ai remis les documents d'information au patient (disponibles [en annexe 3](#)) et certifie que le patient a été informé de la collecte de ses données à caractère personnel :**  Oui  Non

**Une note d'information à destination des médecins prescripteurs et des pharmaciens sur le traitement de leurs données à caractère personnel est également disponible en [annexe 3](#).**

Nom/Prénom : _____	
Spécialité : _____	Nom/Prénom : _____
N° RPPS : _____	N° RPPS : _____
Numéro FINESS : _____	Numéro FINESS : _____
Tél : Numéro de téléphone.	Tél : Numéro de téléphone.
E-mail : xxx@domaine.com	E-mail : xxx@domaine.com
Date : __/__/____	Date : __/__/____
Signature du médecin :	Signature du pharmacien :

## Fiche d'instauration de traitement

(Première administration dans le cadre de l'accès précoce – fiche à compléter uniquement pour les instaurations dans le cadre de l'accès précoce)

À remplir par l'utilisateur de BaMaRa

Plateforme électronique

<https://bamara.bndmr.fr>

Date de la visite d'instauration : \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_\_

### Identification du patient

Identifiant BaMaRa : \_\_\_\_\_

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

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

### Maladie et biologie

Des modifications majeures sont-elles survenues depuis que la fiche d'accès au traitement a été complétée ?

Oui  Non

Si oui, précisez lesquelles :

Hypersensibilité au principe actif omaveloxolone ou à l'un des excipients mentionnés à la rubrique 6.1 du RCP

### Engagement du prescripteur

Le patient remplit toujours les critères d'éligibilité à l'accès précoce et tous les pré-requis (test/imageries/contraception/remise du matériel éducatif) ont été réalisés si applicables, conformément au RCP:  Oui  Non

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

# Conditions d'utilisation

Date de 1<sup>ère</sup> administration ou d'instauration de traitement : \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_\_\_

## Posologie et durée prescrite

À ne compléter que si différent de la posologie renseignée dans la fiche d'accès au traitement.

Si des écarts par rapport à la posologie recommandée sont effectués, merci de les justifier.

<b>Posologie administrée</b>	<input type="checkbox"/> 150 mg une fois par jour (3 gélules de 50 mg) <input type="checkbox"/> Autre
<i>[Si autre]</i> Dose	_____mg [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre] <i>[Si unité autre]</i> Précision de l'unité : <i>champ libre</i>
<i>[Si autre]</i> Fréquence	<input type="checkbox"/> Tous les jours <input type="checkbox"/> 1 jour sur 2 <input type="checkbox"/> Autres, précision : <i>champ libre</i>
<i>[Si autre]</i> Raisons de la modification de la posologie <i>Choix multiple</i>	<input type="checkbox"/> Souhait du patient <input type="checkbox"/> Condition médicale (infection, chirurgie, autres, ...) <input type="checkbox"/> Progression de la maladie <input type="checkbox"/> Grossesse <i>Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <a href="https://signalement.social-sante.gouv.fr/">https://signalement.social-sante.gouv.fr/</a></i> <input type="checkbox"/> Autre, précision : <i>champ libre</i>
<b>Durée prévue</b>	_____ jour(s) ou semaine(s) ou mois <input type="checkbox"/> Administration unique

## Modification des traitements concomitants (incluant les soins de support)

Lister les nouveaux traitements concomitants ou soins de support et/ou les modifications effectuées si applicable [Référentiel Thériaque].

À compléter si différent de la fiche d'accès au traitement.

Traitements	Dose journalière moyenne	Date de début	Date d'arrêt
<a href="#">[Référentiel Thériaque]</a>	___  [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre] <i>[Si unité autre]</i> Précision de l'unité : <i>champ libre</i>	___/___/_____	___/___/_____
<a href="#">[Référentiel Thériaque]</a>	___  [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre] <i>[Si unité autre]</i> Précision de l'unité : <i>champ libre</i>	___/___/_____	___/___/_____
<a href="#">[Référentiel Thériaque]</a>	___  [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre]	___/___/_____	___/___/_____

	[Si unité autre] Précision de l'unité : <i>champ libre</i>		
[Référentiel Thériaque]	_ _ _   [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre] [Si unité autre] Précision de l'unité : <i>champ libre</i>	-- / -- / _ _ _ _	-- / -- / _ _ _ _

## Collecte du/des critère(s) d'efficacité à l'instauration du traitement

### Score SARA

- Score SARA : | \_ | \_ | /40

Sous-score SARA :

- Gait \_ \_ \_ \_ /8
- Stance \_ \_ \_ \_ /6
- Sitting \_ \_ \_ \_ /4
- Speech disturbance \_ \_ \_ \_ /6
- Finger chase \_ \_ \_ \_ /4
- Nose-finger test \_ \_ \_ \_ /4
- Fast alternating hand movements \_ \_ \_ \_ /4
- Heel-shin slide \_ \_ \_ \_ /4

### Critère d'efficacité auto-rapporté par le patient : qualité de vie

| À compléter par le patient par l'auto-questionnaire SF 12 en [annexe I](#).

Le recueil se fera à chaque visite du patient. Les réponses seront complétées sous format papier par le patient et reportées par l'utilisateur dans BaMaRa.

### Effet(s) indésirable(s)/ Situation(s) particulière(s)

Y a-t-il eu apparition d'effet(s) indésirable(s) immédiat(s) ou d'une situation particulière à déclarer ?

Oui       Non

[Si Oui] Nombre d'événements indésirables depuis le dernier suivi	<input type="text"/>
[Si Oui] Description clinique de l'événement indésirable (champ répété autant de fois qu'indiqué dans le compteur)	[Référentiel HPO]

Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>

<b>Médecin prescripteur</b> Nom/Prénom : <input type="text"/>	<b>Pharmacien</b> Nom/Prénom : <input type="text"/>
--	--



Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	
Numéro FINESS : _____	Numéro FINESS : _____
Tél : Numéro de téléphone.	Tél : Numéro de téléphone.
E-mail : xxx@domaine.com	E-mail : xxx@domaine.com
Date : __/__/____	Date : __/__/____
Signature du médecin :	Signature du pharmacien :

# Fiche de suivi, arrêt et modification de traitement

(Visites après la première administration)

À remplir par l'utilisateur de BaMaRa

Plateforme électronique

<https://bamara.bndmr.fr>

Date de la visite : \_\_/\_\_/\_\_\_\_

Les fiches de suivi sont à compléter selon la périodicité suivante :

Visite de suivi  M3 -  M6 -  M12 -  M18 -  M24 -  M30 -  M36

## Arrêt définitif

Arrêt définitif du médicament ?  Oui  Non

<i>[Si oui]</i> Date de l'arrêt	__/__/____
<i>[Si oui]</i> Raison(s) de l'arrêt définitif Choix multiple	<input type="checkbox"/> Fin de traitement (définie dans le RCP) <input type="checkbox"/> Changement de traitement (nouveau médicament) <input type="checkbox"/> Déménagement ou changement de centre de référence/compétence <input type="checkbox"/> Souhait du patient <input type="checkbox"/> Patient perdu de vue <input type="checkbox"/> Problèmes d'observance <input type="checkbox"/> Patient ne remplissant plus les critères d'éligibilité <input type="checkbox"/> Condition médicale (infection, chirurgie, autres...) <input type="checkbox"/> Effet thérapeutique non satisfaisant <input type="checkbox"/> Progression de la maladie <input type="checkbox"/> Grossesse <i>Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <a href="https://signalement.social-sante.gouv.fr/">https://signalement.social-sante.gouv.fr/</a></i> <input type="checkbox"/> Événement indésirable suspecté d'être lié au médicament <i>Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <a href="https://signalement.social-sante.gouv.fr/">https://signalement.social-sante.gouv.fr/</a></i> <input type="checkbox"/> Décès <i>Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <a href="https://signalement.social-sante.gouv.fr/">https://signalement.social-sante.gouv.fr/</a></i> <input type="checkbox"/> Autre, précision : champ libre
<i>[Si Décès]</i> Date	__/__/____
<i>[Si Décès]</i> Raison du décès	<input type="checkbox"/> Décès lié à un événement indésirable <i>Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <a href="https://signalement.social-sante.gouv.fr/">https://signalement.social-sante.gouv.fr/</a></i>

	<input type="checkbox"/> Décès lié à la progression de la maladie <input type="checkbox"/> Autre, précision [CIM-10]
<i>[Si changement de traitement]</i> Nouveau médicament	<b>[Référentiel Thériaque]</b>
<i>[Si changement de traitement]</i> Raison(s) Choix multiple	<input type="checkbox"/> Souhait du patient <input type="checkbox"/> Problèmes d'observance <input type="checkbox"/> Patient ne remplissant plus les critères d'éligibilité <input type="checkbox"/> Effet thérapeutique non satisfaisant <input type="checkbox"/> Progression de la maladie <input type="checkbox"/> Grossesse <i>Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <a href="https://signalement.social-sante.gouv.fr/">https://signalement.social-sante.gouv.fr/</a></i> <input type="checkbox"/> Événement indésirable suspecté d'être lié au médicament <i>Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <a href="https://signalement.social-sante.gouv.fr/">https://signalement.social-sante.gouv.fr/</a></i> <input type="checkbox"/> Autre, précision (champ texte libre)

### Posologie à l'arrêt

La posologie à l'arrêt est-elle différente de celle à la dernière visite ?  Oui  Non

<i>[Si oui]</i> Précision de la posologie administrée	<input type="checkbox"/> 150mg une fois par jour (3 gélules de 50 mg) <input type="checkbox"/> Autre
<i>[Si Autre]</i> Dose	_____mg [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre] <i>[Si unité autre]</i> Précision de l'unité : <i>champ libre</i>
<i>[Si Autre]</i> <b>Fréquence</b>	<input type="checkbox"/> Tous les jours <input type="checkbox"/> 1 jour sur 2 <input type="checkbox"/> Autre, précision : <i>champ libre</i>

### Si arrêt définitif = Non

### Modification du traitement

Y a-t-il eu une modification de traitement ?  Oui  Non

<i>[Si Oui]</i> Type de modification	<input type="checkbox"/> Interruption/arrêt temporaire <input type="checkbox"/> Changement de posologie
--------------------------------------	--

<p><i>[Si Interruption/arrêt temporaire]</i> Raison(s) Choix multiples</p>	<p><input type="checkbox"/> Déménagement ou changement de centre de référence/compétence</p> <p><input type="checkbox"/> Souhait du patient</p> <p><input type="checkbox"/> Problèmes d'observance</p> <p><input type="checkbox"/> Progression de la maladie</p> <p><input type="checkbox"/> Condition médicale (infection, chirurgie, autres...)</p> <p><input type="checkbox"/> Effet thérapeutique non satisfaisant</p> <p><input type="checkbox"/> Grossesse</p> <p><i>Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <a href="https://signalement.social-sante.gouv.fr/">https://signalement.social-sante.gouv.fr/</a></i></p> <p><input type="checkbox"/> Événement indésirable suspecté d'être lié au médicament</p> <p><i>Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <a href="https://signalement.social-sante.gouv.fr/">https://signalement.social-sante.gouv.fr/</a></i></p> <p><input type="checkbox"/> Autre, précision (champ texte libre)</p>
<p><i>[Si Interruption/arrêt temporaire]</i> Intervalle de l'interruption</p>	<p>___/___/___ à ___/___/___</p>
<p><i>[Si changement de posologie]</i> Précisez la posologie administrée</p>	<p><input type="checkbox"/> 150 mg une fois par jour (3 gélules de 50 mg)</p> <p><input type="checkbox"/> Autre</p>
<p><i>[Si autre]</i> Poids du patient à la date du changement</p>	<p>___ kg</p>
<p><i>[Si autre]</i> Dose</p>	<p>___ mg <i>[unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre]</i> <i>[Si unité autre]</i> Précision de l'unité : <i>champ libre</i></p>
<p><i>[Si autre]</i> Fréquence</p>	<p>Tous les jours</p> <p><input type="checkbox"/> 1 jour sur 2</p> <p><input type="checkbox"/> Autre, précision: <i>champ libre</i></p>
<p><i>[Si changement de posologie]</i> Durée prévue</p>	<p>___ jour(s) ou semaine(s) ou mois</p> <p><input type="checkbox"/> Administration unique</p>

[Si Changement de posologie]

Raison(s) du changement de posologie

Choix multiple

- Problèmes d'observance
- Souhait du patient
- Condition médicale (infection, chirurgie, autres...)
- Effet thérapeutique non satisfaisant
- Progression de la maladie

Grossesse

Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>

Événement indésirable suspecté d'être lié au médicament

Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>

Autre, précision (champ texte libre)

## Maladie et bilan biologique

Des modifications majeures sont-elles survenues depuis la dernière visite ?

Oui       Non

Si oui, précisez lesquelles :

- Hypersensibilité au principe actif omaveloxolone ou à l'un des excipients mentionnés à la rubrique 6.1 du RCP

**Si arrêt définitif = Non**

### Modification des traitements concomitants (incluant les soins de support)

À ne compléter que si différent de la fiche d'instauration de traitement ou de la précédente fiche de suivi le cas échéant.

Lister les traitements concomitants ou de support en lien avec la même maladie rare lors du suivi [référentiel Thériaque]

Traitements	Dose	Date de début	Date d'arrêt
[Référentiel Thériaque]	_ _ _ [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre]  [Si unité autre] Précision de l'unité : champ libre	_ _ / _ _ / _ _ _ _	_ _ / _ _ / _ _ _ _
[Référentiel Thériaque]	_ _ _   [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre]  [Si unité autre] Précision de l'unité : champ libre	_ _ / _ _ / _ _ _ _	_ _ / _ _ / _ _ _ _
[Référentiel Thériaque]	_ _ _   [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre]	_ _ / _ _ / _ _ _ _	_ _ / _ _ / _ _ _ _

	[Si unité autre] Précision de l'unité : <i>champ libre</i>		
<b>[Référentiel Thériaque]</b>	_ _ _   [unité : mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre]  [Si unité autre] Précision de l'unité : <i>champ libre</i>	__/_/_/____	__/_/_/____

**Si arrêt définitif = Non**

## Évaluation de l'effet du traitement par SKYCLARYS (omaveloxolone) 50mg, gélules

### Survie

Temps entre la date d'initiation du traitement par SKYCLARYS (omaveloxolone) et la date de décès de toutes causes

### Score SARA

Score SARA : \_ \_ \_ \_ /40

Sous-score SARA :

- Gait \_ \_ \_ \_ /8
- Stance \_ \_ \_ \_ /6
- Sitting \_ \_ \_ \_ /4
- Speech disturbance \_ \_ \_ \_ /6
- Finger chase \_ \_ \_ \_ /4
- Nose-finger test \_ \_ \_ \_ /4
- Fast alternating hand movements \_ \_ \_ \_ /4
- Heel-shin slide \_ \_ \_ \_ /4

### Critère d'efficacité auto-rapporté par le patient : qualité de vie

| À compléter par le patient par l'auto-questionnaire SF-12 en [annexe I](#).

Le recueil se fera à chaque visite du patient. Les réponses seront complétées sous format papier par le patient et reportées par l'utilisateur dans BaMaRa.

### Effet(s) indésirable(s)/Situation(s) particulière(s)

Survenue d'événement(s) indésirable(s) ou d'une situation particulière à déclarer depuis la dernière visite ?

Oui       Non

[Si Oui] Nombre d'événements indésirables depuis le dernier suivi	_____
[Si Oui] Description clinique de l'événement indésirable (champ répété autant de fois qu'indiqué dans le compteur)	<a href="#">[Référentiel HPO]</a>

*Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>*

<p><b>Médecin prescripteur</b></p> <p>Nom/Prénom : _____</p> <p>Spécialité : _____</p> <p>N° RPPS : _____</p> <p>N° FINESS : _____</p> <p>Tél : Numéro de téléphone.</p> <p>E-mail : <a href="mailto:xxx@domaine.com">xxx@domaine.com</a></p> <p>Date : ___/___/____</p> <p>Signature du médecin :</p>	<p><b>Pharmacien</b></p> <p>Nom/Prénom : _____</p> <p>N° RPPS : _____</p> <p>N° FINESS : _____</p> <p>Tél : Numéro de téléphone.</p> <p>E-mail : <a href="mailto:xxx@domaine.com">xxx@domaine.com</a></p> <p>Date : ___/___/____</p> <p>Signature du pharmacien :</p>
--	---

# Questionnaire qualité de vie SF-12

À compléter par le patient

Le questionnaire suivant est à remettre au patient à son arrivée dans la salle d'attente ou dans la salle de consultation. N'hésitez pas à lui laisser quelques minutes afin d'en prendre connaissance, puis reportez ses réponses dans BaMaRa.

## Auto-questionnaire de qualité de vie liée à la santé MOS SF-12 V1 Français

**Comment répondre.** Les questions, qui suivent, portent sur votre état de santé telle que vous la ressentez. Ces informations nous permettront de mieux savoir comment vous vous sentez dans votre vie de tous les jours.

Veuillez répondre à toutes les questions en entourant le chiffre correspondant à la réponse choisie, comme il est indiqué. Si vous ne savez pas très bien comment répondre, choisissez la réponse la plus proche dans votre situation.

**Dans l'ensemble, pensez-vous que votre santé est :** (entourer la réponse de votre choix)

1. Excellente 2. Très bonne 3. Bonne 4. Médiocre 5. Mauvaise

**Voici une liste d'activités que vous pouvez avoir à faire dans la vie de tous les jours. En raison de votre état de santé, êtes-vous limité(e) pour :** (entourer la réponse de votre choix)

- **Des efforts physiques modérés** (déplacer une table, passer l'aspirateur, jouer aux boules...)?

1. Oui, beaucoup limité(e) 2. Oui, un peu limité(e) 3. Non, pas du tout limité(e)

- Monter **plusieurs étages** par l'escalier ?

1. Oui, beaucoup limité(e) 2. Oui, un peu limité(e) 3. Non, pas du tout limité(e)

**Au cours de ces 4 dernières semaines, et en raison de votre état physique :** (entourer la réponse de votre choix)

- Avez-vous **accompli moins** de choses que vous auriez souhaité ?

1. Oui 2. Non

- Avez-vous du arrêter **certaines** choses ?

1. Oui 2. Non

**Au cours de ces 4 dernières semaines, et en raison de votre état émotionnel (comme vous sentir triste, nerveux(se) ou déprimé(e)) :** (entourer la réponse de votre choix)

- Avez-vous **accompli moins** de choses que vous auriez souhaité ?

1. Oui 2. Non



- Avez-vous eu des difficultés à faire ce que vous aviez à faire **avec autant de soin et d'attention** que d'habitude ?

1. Oui 2. Non

**Tournez la page s'il vous plait.**

**Au cours de ces 4 dernières semaines, dans quelle mesure vos douleurs physiques vous ont-elles limité(e) dans votre travail ou vos activités domestiques ?** (entourer la réponse de votre choix)

1. Pas du tout 2. Un petit peu 3. Moyennement 4. Beaucoup 5. Énormément

**Les questions qui suivent portent sur comment vous vous êtes senti(e) au cours de ces 4 dernières semaines. Pour chaque question, veuillez entourer la réponse qui vous semble la plus appropriée.**

- Y a-t-il eu des moments où vous vous êtes senti(e) **calme et détendu(e)** ?

1. En permanence 2. Très souvent 3. Souvent 4. Quelque fois 5. Rarement 6. Jamais

- Y a-t-il eu des moments où vous vous êtes senti(e) **débordant(e) d'énergie** ?

1. En permanence 2. Très souvent 3. Souvent 4. Quelque fois 5. Rarement 6. Jamais

- Y a-t-il eu des moments où vous vous êtes senti(e) **triste et abattu(e)** ?

1. En permanence 2. Très souvent 3. Souvent 4. Quelque fois 5. Rarement 6. Jamais

**Au cours de ces 4 dernières semaines, y a-t-il eu des moments où votre état de santé, physique ou émotionnel, vous a gêné(e) dans votre vie sociale et votre relation avec les autres, votre famille, vos amis, vos connaissances ?** (entourer la réponse de votre choix)

1. En permanence 2. Une bonne partie du temps 3. De temps en temps

4. Rarement 5. Jamais

**Veuillez vérifier que vous avez bien fourni une réponse pour chacune des questions.**

**Merci d'avoir répondu au questionnaire.**

# 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 délivrance, 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 aux critères d'octroi du médicament disposant d'une autorisation d'accès précoce et certifie que celui-ci remplit les critères d'éligibilité en cochant la case prévue à cet effet ;
- informe, de manière orale et écrite via le document d'information disponible en [annexe 3](#), 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 à caractère personnel.

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 fiche 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 du numéro patient d'accès précoce adressé par le 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'instauration du traitement, le prescripteur remplit la fiche d'instauration 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 4](#),
- 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 fiche d'accès au traitement et la transmet au laboratoire exploitant l'autorisation d'accès précoce ;
- prend connaissance des fiches préalablement remplies par le prescripteur lors de chaque visite (lorsqu'elles existent);
- 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.

Des personnels des établissements participant à la prise en charge du patient, autres que les pharmaciens et les prescripteurs, peuvent participer à la collecte des données sous la responsabilité de ceux-ci et selon les modalités d'organisation propres à chaque établissement de santé.

## 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 3](#)) ;
- remplit le questionnaire de qualité de vie ;
- 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 d'accès au traitement, et intègre les données dans sa base de suivi de l'accès précoce ;
- adresse, au prescripteur, à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné et à l'équipe opérationnelle de la BNDMR le numéro patient d'accès précoce, après avoir vérifié que le prescripteur ait certifié que le patient remplissait les critères d'éligibilité à l'accès précoce ;
- 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<sup>er</sup> page, le rapport de synthèse accompagné d'un projet de résumé qu'il transmet à la HAS 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 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 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<sup>er</sup> 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, des médecins prescripteurs et des pharmaciens avant toute prescription d'un médicament en accès précoce : SKYCLARYS (omaveloxolone) 50mg, gélules

Cette annexe comprend :

- un document d'information sur le dispositif d'accès précoce [après autorisation de mise sur le marché](#) ;
- une [note d'information aux patients sur le traitement des données à caractère personnel](#) ;
- une note d'information aux médecins prescripteurs et aux pharmaciens sur le traitements des données à caractère personnel.

## Accès précoce à un médicament après autorisation de mise sur le marché

Ce document est destiné aux patients (ou aux parents d'un enfant mineur ou au(x) titulaire(s) de l'autorité parentale le cas échéant, pour un traitement indiqué chez l'enfant).

**Votre médecin vous a proposé / a proposé pour votre enfant, mineur, un traitement par SKYCLARYS (omaveloxolone) 50mg, gélules du laboratoire pharmaceutique Biogen France dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce à ce médicament.**

**Ce document a pour objectif de vous informer sur cette prescription et ce à quoi elle vous engage / vous engage vous et votre enfant. Il complète les informations de votre médecin et vous aidera à prendre une décision à propos de ce traitement.**

### 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 indication<sup>3</sup> 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).

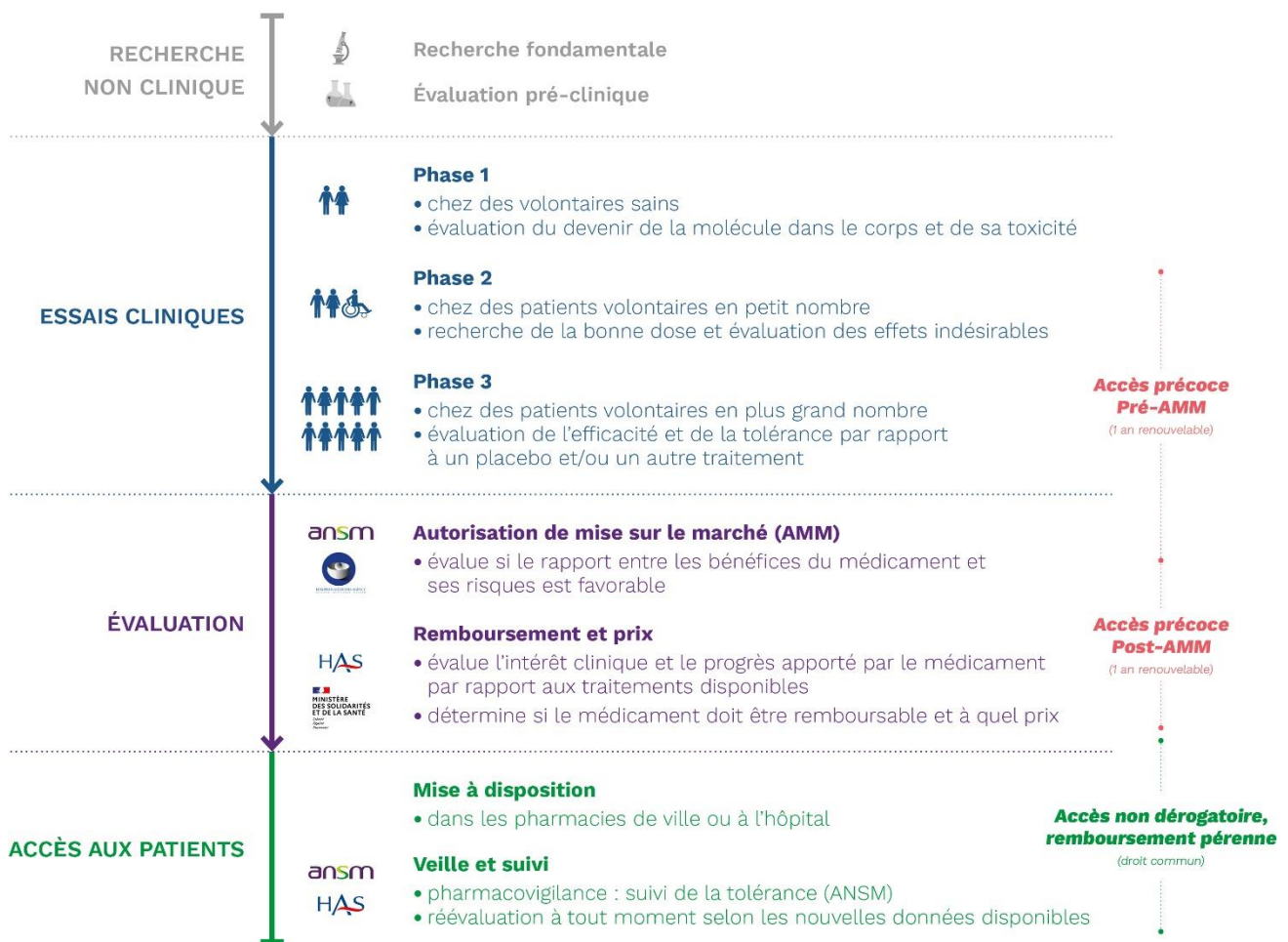
Une autorisation d'accès précoce permet à des personnes qui en ont un besoin urgent de prendre un médicament sans attendre qu'il ait franchi les dernières étapes.

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).

---

<sup>3</sup> 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 / qui suit votre enfant.

## Le médicament que l'on vous propose / que l'on propose à votre enfant est-il sûr ? Est-ce que vous courez / est-ce qu'il court 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 / le médecin qui suit votre enfant. 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 / la situation de votre enfant, sur ses avantages, mais aussi sur les risques, les incertitudes ou les inconvénients (effets secondaires, contraintes de prise, etc.).

Pour les patients mineurs : Votre enfant, en outre, a le droit d'être informé d'une manière adaptée. Le médecin et l'équipe ont le devoir de créer les meilleures conditions pour ce dialogue et de répondre à toutes les questions de votre enfant souhaite poser.

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 / pour votre enfant et 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 / pour mon enfant ?
- Quelle différence avec un essai clinique ?

---

---

---

---

---

---

---

---

**Vous êtes libre d'accepter ou de refuser la prescription de ce médicament. Votre enfant doit avoir été informé de façon adaptée.**

**Après avoir échangé avec votre médecin / le médecin qui suit votre enfant et avec votre enfant, 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 / que votre enfant ne prenne plus ce médicament. Il faut alors en informer votre médecin / le médecin qui suit votre enfant le plus tôt possible.**

**L'équipe qui vous suit / qui suit votre enfant doit vous apporter / lui apporter la même qualité de soins, quelle que soit votre décision. Vous ne serez pas pénalisé / votre enfant ne sera pas pénalisé en aucun cas.**

## En pratique, comment allez-vous recevoir ce médicament / comment votre enfant va-t-il 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 / au médecin qui suit votre enfant 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 / votre enfant prend ce médicament à domicile, 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 / qui suit votre enfant si le médicament peut être disponible dans un hôpital près de chez vous.

## À quoi cela engage-t-il ? Quelles seront les 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 / celui de votre enfant sur ce traitement est essentiel. C'est pourquoi votre avis sur ce médicament et les effets qu'il a sur vous / sur votre enfant sera recueilli à chaque visite avec votre médecin.

Votre médecin / le médecin qui suit votre enfant va vous poser des questions sur la façon dont vous prenez ce médicament / dont votre enfant prend ce médicament et rassembler des données à caractère personnel sur votre / sa santé et vos / ses habitudes de vie. Pour plus de détails sur les données à caractère personnel recueillies et vos droits, vous pouvez lire le document intitulé « Accès précoce à un médicament - Traitement des données à caractère personnel » (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 / la qualité de vie de votre enfant avec le médicament : les impressions sur le traitement, comment vous vous sentez / comment votre enfant se sent, ce que le traitement apporte comme changement, etc. Demandez à votre médecin si vous êtes concerné / votre enfant est concerné. La qualité de vie en général avec le médicament est une information également très importante. Les impacts de la situation de santé avec le traitement sont-ils sensibles sur des domaines tels que la vie scolaire, familiale, les activités possibles, etc. ? Ces retours sont importants, vous ou votre enfant pouvez à tout moment les rapporter au médecin.

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 / que votre enfant pourrait ressentir (maux de tête, nausées, diarrhée, etc.).

### En pratique

Si vous ne vous sentez pas comme d'habitude / si votre enfant ne se sent pas comme d'habitude ou en cas de symptôme nouveau ou inhabituel : parlez-en à votre médecin / le médecin qui le suit, 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/>.

Partager l'expérience de ce traitement, permet de faire avancer les connaissances sur ce médicament, ce qui sera très utile dans la perspective de sa commercialisation éventuelle.

Lorsque l'on vous prescrit / lorsque l'on prescrit à votre enfant un médicament dans le cadre d'un accès précoce, vous n'entrez pas / votre enfant n'entre pas dans un essai clinique. L'objectif principal est de vous / le soigner et non de tester le médicament. Il n'y aura donc pas à faire d'examen supplémentaires en plus de ceux prévus dans la 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 / du médicament de votre enfant serait retirée ou suspendue alors qu'il vous / lui apporte des bénéfices, votre médecin / son médecin pourra quand même continuer à vous le prescrire / à le lui 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 des données à caractère personnel

Le traitement par un médicament prescrit dans le cadre d'un accès précoce implique la collecte de données à caractère personnel concernant votre santé / la santé de votre enfant.

Vous trouverez des informations complémentaires relatives à vos droits / ceux de votre enfant dans la rubrique suivante : [« Accès précoce à un médicament – Traitement des données à caractère personnel »](#).

## 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 maladie qui vous concerne / qui concerne votre enfant peuvent vous apporter aide et soutien. Renseignez-vous auprès de l'équipe médicale qui vous suit / qui suit votre enfant.

L'industriel peut ici préciser des noms d'associations s'il en a connaissance.

AFAF (Association Française Ataxie de Friedreich)

**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 concernés par l'accès précoce aux médicaments.**

## Note d'information à destination des patients sur le traitement des données à caractère personnel

La conformité de la présente note d'information à la réglementation applicable en matière de protection des données à caractère personnel<sup>4</sup> relève de la responsabilité du laboratoire Biogen France SAS

Un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce vous a été prescrit / a été prescrit à votre enfant. Ceci implique un traitement de données à caractère personnel sur votre santé : sur la santé de votre enfant. Ces données à caractère personnel sont des informations qui portent sur vous / votre enfant, votre / sa santé, vos / ses habitudes de vie.

Ce document vous informe sur les données à caractère personnel qui sont recueillies et leur traitement, c'est-à-dire l'utilisation qui en sera faite. Le responsable du traitement des données est Biogen France SAS laboratoire pharmaceutique titulaire de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament Skyclarys 50mg, gélules (omaveloxolone).

Le Laboratoire Biogen France SAS s'engage à assurer la sécurité et la confidentialité de vos données à caractère personnel.

### À quoi vont servir ces 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, etc<sup>5</sup>. Vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant et en particulier les informations sur votre / sa 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 à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant pourront-elles être réutilisées par la suite ?

Vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant pourront également être utilisées ensuite pour faire de la recherche, dans le cadre d'études ou de l'évaluation dans le domaine de la santé.

Le cas échéant, vous en serez informé et vous avez la possibilité de vous opposer à cette réutilisation de vos données à caractère personnel / des données à caractère personnel de votre enfant et cela, à tout moment.

Cette recherche se fera dans les conditions autorisées par le Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à

<sup>4</sup> Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données (RGPD) et de la loi n°78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés (loi « Informatique et Libertés ») modifiée.

<sup>5</sup> Pour en savoir plus sur ces critères, voir le [site de la HAS](#).

l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données (RGPD) et la loi n°78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés modifiée dite loi « informatique et libertés » et après accomplissement des formalités nécessaires auprès de la CNIL. Dans ce cadre, elles pourront être utilisées de manière complémentaire avec d'autres données vous concernant / concernant votre enfant. Cela signifie que vos / ses données à caractère personnel 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 / votre enfant peut s'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 / ses données seront publiées sur le portail de transparence du laboratoire à l'adresse suivante :

- le site de la Plateforme des données de santé qui publie, sur demande du laboratoire Biogen France, un résumé du protocole de recherche pour tous les projets qui lui sont soumis : <https://www.health-data-hub.fr/projets>. Cela étant dit, les projets de recherche ne sont pas toujours publiés sur la Plateforme des données de santé.
- Ou sur le site de la Banque Nationale de Données Maladies Rares qui publie un résumé du protocole de recherche pour tous les projets qui lui sont soumis : <https://www.bndmr.fr/espace-patients/transparence/>

## Sur quelle loi se fonde le traitement des données ?

Ce traitement des données est fondé sur une obligation légale à la charge du laboratoire, 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.

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 / le médecin qui suit votre enfant et le pharmacien qui vous / lui a donné le médicament seront amenés à collecter les données à caractère personnel suivantes autant que de besoin aux fins de transmission au laboratoire pharmaceutique :

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

## Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités de Biogen France SAS et ses éventuels sous-traitants<sup>6</sup> sous une forme pseudonymisée. Vous ne serez / votre enfant ne sera identifié que par les trois premières lettres de votre / son nom et les deux premières lettres de votre / son prénom, ainsi que par votre / son âge.

Vos / ses données pourront également être transmises au personnel habilité des autres sociétés du groupe Biogen] auquel appartient Biogen 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 Biogen France SAS à la HAS, aux ministres chargés de la Santé et de la Sécurité sociale 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 / d'identifier votre enfant.

## Où vos données / les données de votre enfant sont-elles conservées ?

Aux fins d'obtenir l'autorisation d'accès précoce pour le médicament SKYCLARYS 50mg, gélules (omaveloxolone), le laboratoire Biogen France SAS pourra conserver vos données / les données de votre enfant.

---

<sup>6</sup> Ces sous-traitants peuvent être des prestataires de services informatiques (hébergement, maintenance,...), des intégrateurs de logiciels, des sociétés de sécurité informatique, des entreprises de service du numérique ou anciennement sociétés de services et d'ingénierie en informatique (SSII) qui ont accès aux données, des agences de marketing ou de communication qui traitent des données personnelles pour le compte de clients et plus généralement, tout organisme offrant un service ou une prestation impliquant un traitement de données à caractère personnel pour le compte d'un autre organisme, un organisme public ou une association peut également constituer un sous-traitant.

Ces données peuvent être conservées dans un entrepôt de données de santé. Les entrepôts de données de santé sont des bases de données destinées à être utilisées notamment à des fins de recherches, d'études ou d'évaluations dans le domaine de la santé.

Dans l'hypothèse où vos / ses données sont conservées dans un entrepôt de données de santé, le laboratoire Biogen France SAS vous en informera explicitement et vous indiquera le lien vers le portail de transparence dédié.

Le laboratoire conservera vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant en France.

## Transferts hors Union européenne

Vos données / les données de votre enfant feront 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.

Lorsque les données font l'objet d'un transfert en-dehors de l'Union européenne, le laboratoire vous informe par écrit de l'identité des destinataires du transfert portant sur vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant. Le laboratoire vous indique également si le transfert s'effectue à destination d'un pays ou d'une organisation internationale reconnu par la Commission européenne comme assurant un niveau de protection adéquat. Dans cette hypothèse, le traitement ne nécessite pas d'autorisation spécifique. Dans le cas contraire, le laboratoire met en place des garanties suffisantes et appropriées pour assurer la protection de vos droits / des droits de votre enfant en matière de protection des données à caractère personnel, quel que soit le pays où vos données à caractère personnel sont transférées. Afin d'assurer une protection suffisante et appropriée de vos droits / des droits de votre enfant en matière de protection des données à caractère personnel et un traitement de celles-ci conforme à la présente notice d'information, Biogen France SAS a conclu avec les sociétés du Groupe Biogen un contrat régissant le transfert des données concernées en-dehors de l'Union européenne. Le contrat offre des garanties appropriées au sens de l'article 46 du RGPD au moyen de clauses contractuelles types conformes à la décision d'exécution de la Commission européenne du 4 juin 2021<sup>7</sup>.

Tous les utilisateurs qui auront accès à vos données devront se connecter via un portail sécurisé pour permettre l'examen, le nettoyage ou l'analyse des données. Les extraits de données et les ensembles de données, qui seront toujours anonymisés, seront envoyés à Biogen France-SAS par le biais d'un transfert sécurisé qui est crypté et nécessite un code de vérification pour y accéder

Sur demande de votre part / de la part de votre enfant, le laboratoire pourra vous apporter la preuve du respect des garanties précitées par toutes les personnes ayant accès à vos données à caractère personnel.

En tout état de cause, il est précisé que le respect du RGPD et de la loi « informatique et libertés » en cas de transfert vers un pays situé en-dehors de l'Union européenne relève de la responsabilité du laboratoire.

<sup>7</sup> Décision d'exécution (UE) 2021/914 de la Commission du 4 juin 2021 relative aux clauses contractuelles types pour le transfert de données à caractère personnel vers des pays tiers en vertu du règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil.



Pour toute demande d'information sur le transfert de vos données en dehors de l'Union Européenne ou pour obtenir une copie des garanties mises en place par le laboratoire pharmaceutique ou pour faire valoir vos droits / les droits de votre enfant sur vos / ses données à caractère personnel, le médecin prescripteur est votre premier interlocuteur. Vous pouvez également vous adresser / votre enfant peut également s'adresser au Délégué à la Protection des Données du laboratoire qui est une personne physique travaillant pour le Groupe Biogen en lui écrivant à l'adresse suivante : [privacy@biogen.com](mailto:privacy@biogen.com), mais cela implique la transmission au laboratoire de votre identité / de l'identité de votre enfant.

## Combien de temps sont conservées les données ?

Vos données à caractère personnel / les données à caractère personnel de votre enfant sont conservées pendant une durée de 2 ans pour une utilisation active, c'est-à-dire le temps que le laboratoire obtienne l'autorisation de mise sur le marché, le cas échéant. Les données seront ensuite archivées durant la durée de l'autorisation de mise sur le marché relative à l'indication thérapeutique ayant fait l'objet d'une autorisation d'accès précoce. À l'issue de ces délais, vos données / les données de votre enfant seront supprimées ou anonymisées.

## 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 / d'identifier votre enfant.

## Quels sont vos droits et vos recours possibles / les droits et les recours possibles de votre enfant ?

Le médecin qui vous a prescrit / Le médecin qui a prescrit à votre enfant le médicament en accès précoce est votre premier interlocuteur pour faire valoir vos droits sur vos données à caractère personnel

Vous ou votre enfant pouvez demander à ce médecin :

- à consulter les données à caractère personnel;
- à les modifier ;
- à limiter le traitement de certaines données.

Si vous acceptez / votre enfant accepte d'être traité par un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce, vous ne pouvez pas vous opposer / votre enfant ne peut pas s'opposer à la transmission des données listées ci-dessus ou demander leur suppression. Le droit à la portabilité n'est pas non plus applicable à ce traitement.

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

Vous ou votre enfant pouvez contacter directement votre médecin / le médecin de votre enfant pour exercer ces droits.

Vous ou votre enfant pouvez, par ailleurs, contacter le délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire à l'adresse suivante [[privacy@biogen.com](mailto:privacy@biogen.com)] pour exercer ces droits, ce qui implique la transmission de votre identité au laboratoire.

Vous ou votre enfant pouvez également faire une réclamation auprès de la Commission nationale de l'informatique et des libertés (CNIL) notamment sur son site internet [www.cnil.fr](http://www.cnil.fr).

## Note d'information à destination des médecins prescripteurs et des pharmaciens sur le traitement des données à caractère personnel

La conformité de la présente note d'information à la réglementation applicable en matière de protection des données à caractère personnel<sup>8</sup> relève de la responsabilité du laboratoire Biogen France SAS.

Ce document vous informe sur la collecte et le traitement (c'est-à-dire l'utilisation) de vos données à caractère personnel recueillies lorsque vous remplissez avec le patient la fiche d'accès au traitement, la fiche d'instauration de traitement, la fiche de suivi de traitement ou la fiche d'arrêt définitif de traitement. Le responsable du traitement des données est Biogen France SAS, laboratoire pharmaceutique titulaire de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament SKYCLARYS 50mg, gélules (omaveloxolone).

Biogen France SAS s'engage à assurer la sécurité et la confidentialité de vos données à caractère personnel.

### À quoi vont servir vos données ?

Le traitement de vos données à caractère personnel vise à :

- assurer le suivi de la collecte des données à caractère personnel des patients dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament SKYCLARYS 50mg, gélules (omaveloxolone) en vue de garantir une utilisation de ce médicament conforme au présent protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données ;
- recueillir des informations sur les conditions d'utilisation du médicament en accès précoce.
- assurer la gestion des contacts avec les professionnels de santé intervenant dans le cadre du suivi des patients bénéficiant des médicaments sans accès précoce et les personnels agissant sous leur responsabilité ou autorité.

### Vos données à caractère personnel pourront-elles être réutilisées par la suite ?

Vos données à caractère personnel sont susceptibles d'être réutilisées par la suite pour assurer les finalités précitées. Une telle réutilisation concerne notamment votre spécialité médicale.

Cette réutilisation se fera dans les conditions autorisées par le Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données

<sup>8</sup> Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données (RGPD) et de la loi n°78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés (loi « Informatique et Libertés ») modifiée.

(RGPD) et la loi n°78-17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés modifiée dite loi « informatique et libertés » et après accomplissement des formalités nécessaires auprès de la CNIL, le cas échéant.

Vous pouvez vous opposer à cette réutilisation auprès de Biogen France SAS, titulaire de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament.

Les informations relatives à une réutilisation de vos données seront également disponibles sur :

- le site de la Plateforme des données de santé qui publie, sur demande du laboratoire Biogen France, un résumé du protocole de recherche pour tous les projets qui lui sont soumis : <https://www.health-data-hub.fr/projets>. Cela étant dit, les projets de recherche ne sont pas toujours publiés sur la Plateforme des données de santé.
- Ou sur le site de la Banque Nationale de Données Maladies Rares qui publie un résumé du protocole de recherche pour tous les projets qui lui sont soumis : <https://www.bndmr.fr/espace-patients/transparence/>

## Sur quelle loi se fonde le traitement des données ?

Ce traitement est fondé sur une obligation légale à la charge du laboratoire, 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.

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 ?

Aux fins d'assurer le suivi de la collecte des données à caractère personnel des patients dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament SKYCLARYS (omaveloxolone), Biogen France collectera des données permettant de vous identifier telles que votre nom, votre prénom, votre spécialité, votre numéro d'inscription au répertoire partagé des professionnels de santé (RPPS), votre numéro d'inscription au Fichier National des Établissements Sanitaires et Sociaux (FINESS) et vos coordonnées professionnelles (numéro de téléphone et email).

## Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités de Biogen France SAS et ses éventuels sous-traitants<sup>9</sup>

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

---

<sup>9</sup> Ces sous-traitants peuvent être des prestataires de services informatiques (hébergement, maintenance,...), des intégrateurs de logiciels, des sociétés de sécurité informatique, des entreprises de service du numérique ou anciennement sociétés de services et d'ingénierie en informatique (SSII) qui ont accès aux données, des agences de marketing ou de communication qui traitent des données personnelles pour le compte de clients et plus généralement, tout organisme offrant un service ou une prestation impliquant un traitement de données à caractère personnel pour le compte d'un autre organisme, un organisme public ou une association peut également constituer un sous-traitant.

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 Biogen France SAS à la HAS, aux ministres chargés de la Santé et de la Sécurité sociale 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.

## Où vos données sont-elles conservées ?

Aux fins d'obtenir l'autorisation d'accès précoce pour le médicament, le laboratoire pourra conserver vos données pendant une durée de .

Ces données peuvent être conservées dans un entrepôt de données de santé. Les entrepôts de données de santé sont des bases de données destinées à être utilisées notamment à des fins de recherches, d'études ou d'évaluations dans le domaine de la santé.

Dans l'hypothèse où vos données sont conservées dans un entrepôt de données de santé, le laboratoire Biogen France SAS vous en informera explicitement et vous indiquera le lien vers le portail de transparence dédié.

Le laboratoire conservera en Europe vos données à caractère personnel [concernant uniquement les informations de tolérance dans le cadre de la demande d'autorisation d'accès précoce].

## Transferts hors Union européenne

Vos données feront 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.

Lorsque vos données font l'objet d'un transfert en-dehors de l'Union européenne, le laboratoire vous informe par écrit de l'identité des destinataires du transfert portant sur vos données à caractère personnel. Le laboratoire vous indique également si le transfert s'effectue à destination d'un pays ou d'une organisation internationale reconnu par la Commission européenne comme assurant un niveau de protection adéquat. Dans cette hypothèse, le traitement ne nécessite pas d'autorisation spécifique. Dans le cas contraire, le laboratoire met en place des garanties suffisantes et appropriées pour assurer la protection de vos droits en matière de protection des données à caractère personnel, quel que soit le pays où vos données à caractère personnel sont transférées. Afin d'assurer une protection suffisante et appropriée de vos droits en matière de protection des données à caractère personnel et un traitement de celles-ci conforme à la présente notice d'information, Biogen France SAS a conclu avec les sociétés du Groupe Biogen un contrat régissant le transfert des données concernées en-dehors de l'Union européenne. Le contrat offre des garanties appropriées au sens de l'article 46 du RGPD au moyen de clauses contractuelles types conformes à la décision d'exécution de la Commission européenne du 4 juin 2021<sup>10</sup>.

---

<sup>10</sup> Décision d'exécution (UE) 2021/914 de la Commission du 4 juin 2021 relative aux clauses contractuelles types pour le transfert de données à caractère personnel vers des pays tiers en vertu du règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil.

Sur demande de votre part, le laboratoire pourra vous apporter la preuve du respect des garanties précitées par toutes les personnes ayant accès à vos données à caractère personnel.

En tout état de cause, il est précisé que le respect du RGPD et de la loi « informatique et libertés » en cas de transfert vers un pays situé en-dehors de l'Union européenne relève de la responsabilité du laboratoire.

Pour toute demande d'information sur le transfert de vos données en dehors de l'Union Européenne ou pour obtenir une copie des garanties mises en place par le laboratoire pharmaceutique, vous pouvez vous adresser au Délégué à la Protection des Données qui est une personne physique travaillant pour le Groupe Biogen en lui écrivant à l'adresse suivante : [privacy@biogen.com](mailto:privacy@biogen.com).

## Combien de temps sont conservées vos données ?

Vos données à caractère personnel sont conservées pendant une durée de 2 ans pour une utilisation active. Les données seront ensuite archivées durant la durée de l'autorisation de mise sur le marché relative à l'indication thérapeutique ayant fait l'objet d'une autorisation d'accès précoce. À l'issue de ces délais, vos données seront supprimées ou anonymisées.

## Quels sont vos droits et vos recours possibles ?

Conformément à la réglementation applicable (en ce y compris le RGPD et la loi informatique et libertés), vous disposez, dans les cas prévus par la réglementation applicable, d'un droit d'accès à vos données à caractère personnel, d'un droit de rectification de ces données, d'un droit visant à limiter le traitement de ces données, d'un droit d'opposition au traitement de ces données et d'un droit à l'effacement.

Pour exercer l'un de ces droits, vous pouvez contacter le délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire à l'adresse suivante [privacy@biogen.com](mailto:privacy@biogen.com). Cette procédure implique la transmission de votre identité au laboratoire.

Vous pouvez également introduire une réclamation auprès de la Commission nationale de l'informatique et des libertés (CNIL) notamment sur son site internet [www.cnil.fr](http://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 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.

En outre, les professionnels de santé sont encouragés à déclarer toute situation particulière.

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, préférentiellement directement sur portail de signalement : <https://signalement.social-sante.gouv.fr>, en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.

D'autres supports de déclaration peuvent être utilisés, tels qu'un courrier, un compte rendu d'hospitalisation, un fax, un courriel ou un appel téléphonique, adressés directement au CRPV du territoire duquel dépend le professionnel de santé. La liste indiquant l'adresse et les départements couverts par chaque CRPV est disponible sur le site Internet de l'ANSM.

**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 portail de signalement : <https://signalement.social-sante.gouv.fr> en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.

D'autres supports de déclaration peuvent être utilisés, tels qu'un courrier, un courriel, ou un appel téléphonique adressés directement au CRPV dont la personne ayant présenté l'effet indésirable dépend géographiquement. La liste indiquant l'adresse et les départements couverts par chaque CRPV est disponible sur le site Internet de l'ANSM.