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

Accès précoce pré-AMM– SOTATERCEPT MSD France

La demande	
Spécialité	SOTATERCEPT MSD France 45 mg, poudre et solvant pour solution injectable ; SOTATERCEPT MSD France 60 mg, poudre et solvant pour solution injectable.
DCI	sotatercept
Indication	<p>Sotatercept MSD France est indiqué pour le traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire (HTAP) chez les adultes en classe fonctionnelle (CF) II ou III de l'OMS, recevant un traitement standard de l'HTAP en trithérapie incluant un antagoniste des récepteurs de l'endothéline (ARE), un inhibiteur de la phosphodiesterase 5 (iPDE5) ou un stimulateur de la guanylate cyclase soluble (GCs) et un analogue de la prostacycline par voie parentérale.</p> <p>* L'efficacité a été montrée chez des patients présentant une HTAP incluant l'HTAP idiopathique, héritable, associée à une connectivite, induite par des médicaments ou des toxiques, ou associée à une cardiopathie congénitale corrigée (voir rubrique 5.1).</p>
Date d'octroi	11/04/2024 <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 deux mois avant le dépôt du dossier.
Renseignements administratifs	
Contact laboratoire titulaire et/ou CRO	RCTs pour le compte de MSD France Tél : 04 37 45 17 33 E-mail : AP_sotatercept@rcts.fr Plateforme électronique à destination des professionnels de santé : https://www.apsotatercept.fr/
CRPV en charge du suivi de l'accès précoce	<i>CRPV de Grenoble</i>
Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire	M. Jacques Potgieter E-mail ou lien vers formulaire de contact : dpofrance@msd.com

Dernière date de mise à jour : 11/04/2024

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

Version du modèle de PUT-RD	Version 2 (Avril 2023)
-----------------------------	------------------------

Sommaire

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur	4
Le médicament	6
Calendrier des visites	8
Annexes	10
Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données	10
Annexe 2. Rôle des différents acteurs	33
Annexe 3. Documents d'information à destination des patients, des médecins prescripteurs et des pharmaciens avant toute prescription d'un médicament en accès précoce : sotatercept	37
Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières	55

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur

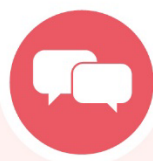
Vous souhaitez prescrire ou dispenser un médicament au potentiel innovant disponible au titre d'une autorisation d'accès précoce et d'une prise en charge dérogatoire par l'Assurance maladie.

Cette autorisation vous engage à :



RESPECTER

les conditions d'utilisation, en particulier l'indication thérapeutique



INFORMER

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*



RECUEILLIR et TRANSMETTRE

au laboratoire toutes les données cliniques demandées en vue de leur analyse par les autorités sanitaires



DÉCLARER

tout effet indésirable et situations particulières sur signalement.social-sante.gouv.fr (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 11/04/2024, 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 sotatercept dans l'indication : SOTATERCEPT MSD France est indiqué pour le traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire (HTAP) chez les adultes en classe fonctionnelle (CF) II ou III de l'OMS, recevant un traitement standard de l'HTAP en trithérapie incluant un antagoniste des récepteurs de l'endothéline (ARE), un inhibiteur de la phosphodiesterase 5 (iPDE5) ou un stimulateur de la guanylate cyclase soluble (GCs) et un analogue de la prostacycline par voie parentérale.

* L'efficacité a été montrée chez des patients présentant une HTAP incluant l'HTAP idiopathique, héréditaire, associée à une connectivite, induite par des médicaments ou des toxiques, ou associée à une cardiopathie congénitale corrigée (voir rubrique 5.1). Ce médicament ne dispose pas encore d'une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM).

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 laboratoire via la fiche de déclaration en annexe 1
- 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**¹.

¹ 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.

Spécialités concernées

SOTATERCEPT MSD France 45 mg, poudre et solvant pour solution injectable ;
SOTATERCEPT MSD France 60 mg, poudre et solvant pour solution injectable.

Caractéristiques du médicament

Le sotatercept est un inhibiteur de la signalisation de l'activine avec une sélectivité élevée pour l'activine A, une glycoprotéine dimérique qui appartient à la superfamille de ligands du facteur de croissance transformant β (TGF- β). L'activine A se lie au récepteur de l'activine de type IIA (ActRIIA) qui régule la signalisation clé de l'inflammation, de la prolifération cellulaire, de l'apoptose et de l'homéostasie tissulaire.

Les taux d'activine A sont augmentés chez les patients atteints d'HTAP. La liaison de l'activine à l'ActRIIA favorise la signalisation proliférative, tandis que la signalisation anti-proliférative du récepteur de la protéine morphogénétique osseuse de type II (BMPRII) diminue. Le déséquilibre de la signalisation ActRIIA-BMPRII sous-jacent à l'HTAP entraîne une hyperprolifération des cellules vasculaires, provoquant un remodelage pathologique de la paroi artérielle pulmonaire, un rétrécissement de la lumière artérielle, une augmentation des résistances vasculaires pulmonaires, et conduit à une augmentation de la pression artérielle pulmonaire et à un dysfonctionnement du ventricule droit.

Indication

SOTATERCEPT MSD France est indiqué pour le traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire (HTAP) chez les adultes en classe fonctionnelle (CF) II ou III de l'OMS, recevant un traitement standard de l'HTAP en trithérapie incluant un antagoniste des récepteurs de l'endothéline (ARE), un inhibiteur de la phosphodiesterase 5 (iPDE5) ou un stimulateur de la guanylate cyclase soluble (GCs) et un analogue de la prostacycline par voie parentérale.

* L'efficacité a été montrée chez des patients présentant une HTAP incluant l'HTAP idiopathique, héréditaire, associée à une connectivite, induite par des médicaments ou des toxiques, ou associée à une cardiopathie congénitale corrigée (voir rubrique 5.1).

Critères d'éligibilité

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

- Patient adulte (≥ 18 ans) ;
- Patients atteints d'hypertension artérielle pulmonaire (HTAP) ;
- Patients en classe fonctionnelle (CF) II ou III de l'OMS,
- Patients recevant un traitement standard de l'HTAP en trithérapie incluant un antagoniste des récepteurs de l'endothéline (ARE), un inhibiteur de la phosphodiesterase 5 (iPDE5) ou un stimulateur de la guanylate cyclase soluble (GCs) et un analogue de la prostacycline par voie parentérale.

* L'efficacité a été montrée chez des patients présentant une HTAP incluant l'HTAP idiopathique,

- héritable, associée à une connectivite, induite par des médicaments ou des toxiques, ou associée à une cardiopathie congénitale corrigée (voir rubrique 5.1)

Critères de non-éligibilité

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

Hypersensibilité connue à la substance active ou à l'un des excipients énumérés dans la section 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 hospitalière réservée aux spécialistes en pneumologie, cardiologie ou en médecine interne.
- Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement.

Calendrier des visites

	Fiche d'accès au traitement	Fiche d'instauration de traitement	Fiche de suivi Fréquence : toutes les 12 semaines	Fiche d'arrêt définitif de traitement
Remise des documents d'information destinés au patient par le médecin prescripteur	X			
Collecte de données sur les caractéristiques des patients				
Déclaration de conformité médicale aux critères d'éligibilité et de non-éligibilité	X	X		
Maladie (diagnostic et état du patient, traitements antérieurs, comorbidités)	X			
Bilan biologique (BNP/NT-proBNP)	X	X ^μ		
Contraception efficace*	X	X	X	X
Test de marche de 6 minutes	X	X ^μ		
Classe fonctionnelle de l'OMS	X	X ^μ		
Stratification du risque de mortalité à 4 strates	X	X ^μ		
Mesures de suivi nécessaires à la prise en charge sans collecte de données				
Biologie (bilan hématologique, bilan rénal, bilan hépatologique)	X	X	X	X
Test de grossesse*	X	X		
Collecte de données sur les conditions d'utilisation				
Posologie et traitements concomitants de l'HTAP	X	X	X	X
Interruption temporaire ou définitive de traitement			X	X

Collecte de données d'efficacité				
Evènements de morbidité et mortalité liés à la maladie (décès, hospitalisation, transplantation) - nature et date			X	X
Critère auto-rapporté par le patient (qualité de vie) Auto-questionnaire sur la qualité de vie - emPHasis-10		X	X	X
Collecte de données de tolérance/situations particulières				
Suivi des effets indésirables/situation particulières : auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe 1		X	X	X

*Il est recommandé qu'un test de grossesse soit effectué avant le début du traitement et une contraception efficace doit être utilisée pour les femmes en âge de procréer pendant le traitement et pendant au moins 4 mois après la dernière dose si le traitement est interrompu.

‡ Collectés en cas de changements majeurs entre la demande d'accès au traitement et la première administration.

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 de traitement](#)
- [Fiche d'arrêt de traitement](#)
- Formulaire de [déclaration d'effet indésirable](#) et/ou de [signalement de situations particulières](#)
- [Questionnaire](#) de qualité de vie

Qui contacter concernant le recueil des données :

RCTs

Tél : **04 37 45 17 33**

E-mail : AP_sotatercept@rcts.fr

Fax : A venir

Le recueil des données dans le cadre du PUT-RD se fait **via une plateforme électronique prévue à cet effet**

- La fiche d'accès au traitement est à envoyer via mail. **En cas de transmission papier, les fiches sont à envoyer via mail (AP_sotatercept@rcts.fr).**
- **Plateforme électronique** : <https://www.apsotatercept.fr/>

Pour rappel dans le cadre de l'accès précoce aux médicaments, lorsque le recueil de données d'utilisation de ces médicaments est effectué par l'intermédiaire d'outils numériques, l'identification et l'authentification à ces outils doit se faire par l'intermédiaire du service Pasrel/Plage mis en œuvre par l'ATIH².

Un guide simplifié décrivant les fonctionnalités de la plateforme ainsi que les instructions de navigation/saisie des données sera mis à la disposition des utilisateurs sur la page d'accueil.

Pour toute question technique ou plus générale concernant la procédure d'accès précoce, le numéro de téléphone ci-dessus est mis à la disposition des professionnels de la santé.

Des contrôles automatiques seront mis en place pour vérifier automatiquement le respect des critères d'éligibilité sur la base des données saisies dans le formulaire de demande d'accès.

Un système centralisé de suivi des données sera mis en place, avec pour objectif d'assurer un niveau adéquat de qualité de la collecte des données et du suivi des traitements, ainsi que sur le remplissage du questionnaire de la qualité de vie des patients sous traitement.

² NOTE D'INFORMATION N° DGOS/PF2/2022/205 du 29 août 2022 relative aux modalités d'identification et d'authentification aux outils de recueil de données utilisés dans le cadre de l'accès précoce et compassionnel aux médicaments

Fiche d'accès au traitement

À remplir par le prescripteur et le pharmacien

Plateforme électronique

<https://www.apsotatercept.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) : [_ | _ | _]

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

Diagnostic et état du patient	
Date du diagnostic d'HTAP symptomatique (date du cathétérisme cardiaque droit)	[_ / _ / _ _]
Étiologie de l'HTAP (sous-groupe)	<input type="checkbox"/> HTAP idiopathique <input type="checkbox"/> HTAP associée à la prise de médicaments ou de toxiques <input type="checkbox"/> HTAP héritable <input type="checkbox"/> HTAP associée à une connectivite <input type="checkbox"/> HTAP associée à une cardiopathie congénitale avec shunt corrigé depuis au moins 1 an
Patient sur liste d'attente pour une transplantation pulmonaire ou cardio-pulmonaire	<input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non
Statut du patient au moment de la demande d'accès précoce	

(tests effectués dans un délai de moins d'un mois)

Classe fonctionnelle (OMS)	<input type="checkbox"/> I <input type="checkbox"/> II <input type="checkbox"/> III
Distance parcourue au Test de marche de 6 minutes	Date du dernier test : [_ / _ / _ _ _] Distance de marche : [_ _ _ _] mètres
Bilan biologique (au moins une valeur)	NT pro-BNP (ng/L) [_ _ _ _] , [_ _ _] Date du test : [_ / _ / _ _ _] ou BNP (ng/L) [_ _ _ _] , [_ _ _] Date du test : [_ / _ / _ _ _]
Évaluation du risque de mortalité estimée à 1 an (stratification du risque à 4 strates)*	<input type="checkbox"/> Risque faible <input type="checkbox"/> Risque intermédiaire faible <input type="checkbox"/> Risque intermédiaire élevé <input type="checkbox"/> Risque élevé

* Humbert M. *et al.* 2022 ESC/ERS Guidelines for the diagnosis and treatment of pulmonary hypertension. European Respiratory Journal 2022; DOI: 10.1183/13993003.00879-2022

Traitements antérieurs et/ou concomitants

Le patient reçoit-il une trithérapie approuvée dans le cadre de l'HTAP, incluant un analogue parentéral de la prostacycline ?

Oui | Non

Quel traitement de référence de l'HTAP est utilisé de façon concomitante ?

Veillez préciser ci-dessous :

Traitements	statut du traitement actuel de l'HTAP
<input type="checkbox"/> ARE	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Inhibiteur de la PDE5	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Stimulateur de la guanylate cyclase soluble	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours

	<input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Analogue de la prostacycline par voie intraveineuse	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Analogue de la prostacycline par voie sous-cutanée	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté

Biologie

Se référer à la rubrique 4.2 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.

Traitement par sotatercept

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.

Engagement du prescripteur

Critères d'éligibilité

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

- Patient adulte (≥ 18 ans) ;
- Patients atteints d'hypertension artérielle pulmonaire (HTAP) ;
- Patients en classe fonctionnelle (CF) II ou III de l'OMS,
- Patients recevant un traitement standard de l'HTAP en trithérapie incluant un antagoniste des récepteurs de l'endothéline (ARE), un inhibiteur de la phosphodiesterase 5 (iPDE5) ou un stimulateur de la guanylate cyclase soluble (GCs) et un analogue de la prostacycline par voie parentérale.

* L'efficacité a été montrée chez des patients présentant une HTAP incluant l'HTAP idiopathique, héritable, associée à une connectivite, induite par des médicaments ou des toxiques, ou associée à une cardiopathie congénitale corrigée (voir rubrique 5.1)

Critères de non-éligibilité

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

- Hypersensibilité connue à la substance active ou à l'un des excipients énumérés dans la section 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, au regard de ces critères, le patient n'est pas éligible à l'accès précoce, le prescripteur peut, par l'intermédiaire du pharmacien de l'établissement de santé, faire d'emblée une demande d'autorisation d'accès compassionnel auprès de l'ANSM en justifiant la demande.

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](#).

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : <input type="text"/>	Nom/Prénom : <input type="text"/>
Spécialité : <input type="text"/>	N° RPPS : <input type="text"/>
N° RPPS : <input type="text"/>	Numéro FINESS : <input type="text"/>
Numéro FINESS : <input type="text"/>	Tél : <input type="text"/> [Numéro de téléphone]
Tél : <input type="text"/> [Numéro de téléphone]	E-mail : <input type="text"/> [xxx@domaine.com]
E-mail : <input type="text"/> [xxx@domaine.com]	Date : <input type="text"/> [_ / _ / _ _ _]
Date : <input type="text"/> [_ / _ / _ _ _]	Signature du pharmacien : <input type="text"/>
Signature du médecin : <input type="text"/>	

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 le prescripteur et le pharmacien

Plateforme électronique

<https://www.apsotatercept.fr/>

Date de la visite :

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : Prénom (2 premières lettres) :

N° patient d'accès précoce :

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 :

Rappel : Les patients doivent faire l'objet d'une surveillance et d'un examen au début du traitement et périodiquement pendant le traitement pour une évaluation clinique et biologique.

Etat du patient [¶]	
Classe fonctionnelle (OMS)	<input type="checkbox"/> II <input type="checkbox"/> III
Test de distance de marche de 6 minutes	Date du test : <input type="text"/> Distance de marche : <input type="text"/> mètres
Bilan biologique (au moins une valeur)	NT pro-BNP (ng/L) <input type="text"/> , <input type="text"/> ou BNP (ng/L) <input type="text"/> , <input type="text"/>
Évaluation du risque de mortalité estimée à 1 an (stratification du risque à 4 strates)*	<input type="checkbox"/> Risque faible <input type="checkbox"/> Risque intermédiaire faible <input type="checkbox"/> Risque intermédiaire élevé <input type="checkbox"/> Risque élevé

[¶] collectés si des changements majeurs sont intervenus depuis la demande d'accès au traitement.

* Humbert M. *et al.* 2022 ESC/ERS Guidelines for the diagnosis and treatment of pulmonary hypertension. European Respiratory Journal 2022; DOI: 10.1183/13993003.00879-2022

Apparition d'une contre-indication au traitement prescrit ? Oui Non

Si oui, préciser _____

Engagement du prescripteur

Je confirme que le patient remplit toujours les critères d'éligibilité à l'accès précoce : 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 mais peut par l'intermédiaire du pharmacien de l'établissement de santé, faire une demande d'accès compassionnel en la justifiant.

Je confirme avoir réalisé les bilans nécessaires avant la mise en place du traitement conformément au RCP Oui Non

Je confirme avoir vérifié la mise en place d'une contraception, conformément au RCP :

Oui Non Non applicable

Conditions d'utilisation

Date de 1^{ère} administration ou d'instauration du traitement : ____/____/____

Traitements concomitants

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

Y a-t-il eu un changement de traitement depuis la demande d'accès au traitement ?

Oui Non

traitement	Date du retrait
<input type="checkbox"/> ARE	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Inhibiteur de la PDE5	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Stimulateur de la guanylate cyclase soluble	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté

<input type="checkbox"/> Analogue de la prostacycline par voie sous-cutanée	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Analogue de la prostacycline IV	<input type="checkbox"/> Jamais débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté

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

Critère auto-rapporté par le patient (qualité de vie) (Auto-questionnaire sur la qualité de vie emPHasis-10)

À compléter par le patient par auto-questionnaire en [annexe](#).

→ Il est fortement recommandé de distribuer des questionnaires sur les résultats rapportés par les patients avant toute procédure telle que l'administration de médicaments, l'évaluation des effets indésirables et la notification de l'état de la maladie en cas de progression de celle-ci.

→ Le questionnaire sur les résultats rapportés par le patient doit être rempli par le patient avant le début du traitement, puis à chaque visite de suivi du protocole (c'est-à-dire toutes les 12 semaines), au moment de la consultation

Le questionnaire sur les résultats rapportés par les patients doit également être rempli lors de la dernière visite (visite d'arrêt précoce/définitif).

→ Le score sera ensuite reporté dans la fiche par le médecin ou pharmacien.

Traitement par sotatercept								
Questionnaire à remplir par le patient								
emPHasis-10	Avant injection N°1 (T0)	Injection N°2 (semaine 3)	Injection N°3 (semaine 6)	Injection N°4 (semaine 9)	Injection N°5 (semaine 12)	Injection N°6 (semaine 15)	Injection N°7 (semaine 18)	toutes les 4 injections (toutes les 12 semaines)
	X				X			X

Qualité de vie

Auto-questionnaire sur la qualité de vie - emPHasis-10

Score || _ | _ | _ | _ || /50

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

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

Oui Non

Si oui, procéder à leur déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe 1.

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : <input type="text"/>	Nom/Prénom : <input type="text"/>
Spécialité : <input type="text"/>	N° RPPS : <input type="text"/>
N° RPPS : <input type="text"/>	Numéro FINESS : <input type="text"/>
Numéro FINESS : <input type="text"/>	Tél : <input type="text"/>
Tél : <input type="text"/>	E-mail : <input type="text"/>
E-mail : <input type="text"/>	Date : <input type="text"/>
Date : <input type="text"/>	Signature du pharmacien :
Signature du médecin :	[]
[]	

Fiche de suivi de traitement

(Visites après la première administration)

À remplir par le prescripteur et le pharmacien

Plateforme électronique

<https://www.apsotatercept.fr/>

Date de la visite : / /

Les fiches de suivi sont à compléter selon la périodicité suivante : **Toutes les 12 semaines jusqu'à la fin de l'accès précoce ou la fin du traitement.**

Visite de suivi : semaine 12 semaine 24 semaine 36 semaine 48 Autre semaine, préciser | _ _ | Mx ou Sx Mx ou Sx

Identification du patient

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

N° patient d'accès précoce : | | |

Engagement du prescripteur

Je confirme avoir réalisé les tests/imageries nécessaires à la poursuite du traitement conformément au RCP Oui Non

Je confirme avoir vérifié la mise en place d'une contraception, conformément au RCP Oui Non

Oui Non Non applicable

Conditions d'utilisation

Posologie et dates d'administration

Report de dose

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

Dates d'administration du sotatercept depuis le dernier suivi :

Injection	Date de l'injection	Posologie	Report de dose
[OBJ]#...[OBJ]	_ / _ / _ _	<input type="checkbox"/> Sotatercept par voie sous-cutanée 0,3 mg/kg <input type="checkbox"/> Sotatercept par voie sous-cutanée 0,7 mg/kg	<p>Y a-t-il eu un report de dose depuis la dernière injection ? Oui <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/></p> <p>Si oui, veuillez en préciser la raison :</p> <input type="checkbox"/> Effet indésirable Procédez à la déclaration en utilisant le formulaire en Annexe 1. <input type="checkbox"/> Augmentation du taux d'hémoglobine (non considérée comme un événement indésirable) <input type="checkbox"/> Diminution des plaquettes (non considérée comme un événement indésirable) <input type="checkbox"/> Autre
[OBJ]#...[OBJ]	_ / _ / _ _	<input type="checkbox"/> Sotatercept par voie sous-cutanée 0,3 mg/kg <input type="checkbox"/> Sotatercept par voie sous-cutanée 0,7 mg/kg	<p>Y a-t-il eu un report de dose depuis la dernière injection ? Oui <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/></p> <p>Si oui, veuillez en préciser la raison :</p> <input type="checkbox"/> Effet indésirable Procédez à la déclaration en utilisant le formulaire en Annexe 1. <input type="checkbox"/> Augmentation du taux d'hémoglobine (non considérée comme un événement indésirable) <input type="checkbox"/> Diminution des plaquettes (non considérée comme un événement indésirable) <input type="checkbox"/> Autre
[OBJ]#...[OBJ]	_ / _ / _ _	<input type="checkbox"/> Sotatercept par voie sous-cutanée 0,3 mg/kg <input type="checkbox"/> Sotatercept par voie sous-cutanée 0,7 mg/kg	<p>Y a-t-il eu un report de dose depuis la dernière injection ? Oui <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/></p> <p>Si oui, veuillez en préciser la raison :</p> <input type="checkbox"/> Effet indésirable Procédez à la déclaration en utilisant le formulaire en Annexe 1. <input type="checkbox"/> Augmentation du taux d'hémoglobine (non considérée comme un événement indésirable) <input type="checkbox"/> Diminution des plaquettes (non considérée comme un événement indésirable) <input type="checkbox"/> Autre

<input type="checkbox"/> #... <input type="checkbox"/>	/ / - - - -	<input type="checkbox"/> Sotatercept par voie sous-cutanée 0,3 mg/kg <input type="checkbox"/> Sotatercept par voie sous-cutanée 0,7 mg/kg	Y a-t-il eu un report de dose depuis la dernière injection ? Oui <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> Si oui, veuillez en préciser la raison : <input type="checkbox"/> Effet indésirable Procédez à la déclaration en utilisant le formulaire en Annexe 1. <input type="checkbox"/> Augmentation du taux d'hémoglobine (non considérée comme un événement indésirable) <input type="checkbox"/> Diminution des plaquettes (non considérée comme un événement indésirable) <input type="checkbox"/> Autre
--	----------------	--	---

Interruption/arrêt temporaire de traitement

Oui Non

Si oui, préciser les raisons :

Note : Un report de dose de 3 semaines tel que recommandé dans le RCP 4.2 pas considéré comme un arrêt temporaire.

<input type="checkbox"/> Interruption du traitement*	Date d'interruption / / - - -	Motif : <input type="checkbox"/> Effet indésirable Procédez à la déclaration en utilisant le formulaire en Annexe 1. <input type="checkbox"/> Augmentation du taux d'hémoglobine (non considérée comme un événement indésirable) <input type="checkbox"/> Diminution des plaquettes (non considérée comme un événement indésirable) <input type="checkbox"/> Souhait du patient d'interrompre le traitement <input type="checkbox"/> Autre, préciser : _____
<input type="checkbox"/> Reprise du traitement	Date de reprise : / / - - - (JJ/MM/AAAA)	Posologie : _____
<input type="checkbox"/> Arrêt définitif du traitement*	Compléter la fiche d'arrêt définitif de traitement	

* En cas d'effet indésirable, compléter la fiche de déclaration d'effet indésirable figurant à l'annexe 1.

En cas de décès du patient, compléter la fiche d'arrêt définitif de traitement.

Maladie et bilan biologique

Des modifications majeures sont-elles survenues depuis la demande d'accès précoce ?

Oui Non

- Si oui, précisez lesquelles :

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.

Y a-t-il eu un changement dans le schéma thérapeutique depuis le dernier suivi ?

Oui Non

Si oui, précisez le type de changement :

- **Retrait de traitement** : Oui Non

Si oui, précisez le(s) traitement(s) :

Traitements	statut du traitement actuel de l'HTAP
<input type="checkbox"/> ARE	<input type="checkbox"/> Débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Inhibiteur de la PDE5	<input type="checkbox"/> Débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Stimulateur de la guanylate cyclase soluble	<input type="checkbox"/> Débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Analogue de la prostacycline par voie intraveineuse	<input type="checkbox"/> Débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté
<input type="checkbox"/> Analogue de la prostacycline par voie sous-cutanée	<input type="checkbox"/> Débuté <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Arrêté

Évaluation de l'effet du traitement par sotatercept

Evènements de morbidité et mortalité liés à la maladie

- Décès : Compléter la « Fiche d'arrêt définitif de traitement »
- Inscription sur la liste des transplantations pulmonaires et/ou cardiaques en raison d'une aggravation
- Hospitalisation pour aggravation de l'HTAP (≥ 24 heures).

Critère auto-rapporté par le patient (qualité de vie) (Auto-questionnaire sur la qualité de vie emPHasis-10)

À compléter par le patient par auto-questionnaire en [annexe](#).

- Il est fortement recommandé de distribuer des questionnaires sur les résultats rapportés par les patients avant toute procédure telle que l'administration de médicaments, l'évaluation des effets indésirables et la notification de l'état de la maladie en cas de progression de celle-ci.
- Le questionnaire sur les résultats rapportés par le patient doit être rempli par le patient avant le début du traitement, puis à chaque visite de suivi du protocole (c'est-à-dire toutes les 12 semaines), au moment de la consultation

Le questionnaire sur les résultats rapportés par les patients doit également être rempli lors de la dernière visite (visite d'arrêt précoce/définitif).
- Le score sera ensuite reporté dans la fiche par le médecin ou pharmacien.

Traitement par sotatercept								
Questionnaire à remplir par le patient								
emPHasis-10	Avant injection N°1 (T0)	Injection N°2 (semaine 3)	Injection N°3 (semaine 6)	Injection N°4 (semaine 9)	Injection N°5 (semaine 12)	Injection N°6 (semaine 15)	Injection N°7 (semaine 18)	toutes les 4 injections (toutes les 12 semaines)
	X				X			X

Qualité de vie

Auto-questionnaire sur la qualité de vie - emPHasis-10

Score || _ | _ | _ | _ || /50

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

Y a-t-il eu apparition d'effet(s) indésirable(s) ou une situation particulière à déclarer depuis la dernière visite ? Oui Non

| Si oui, procéder à leur déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I.

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : <input type="text"/>	Nom/Prénom : <input type="text"/>
Spécialité : <input type="text"/>	N° RPPS : <input type="text"/>
N° RPPS : <input type="text"/>	N° FINESS : <input type="text"/>
N° FINESS : <input type="text"/>	Tél : <input type="text"/> [Numéro de téléphone.]
Tél : <input type="text"/> [Numéro de téléphone.]	E-mail : <input type="text"/> [xxx@domaine.com]
E-mail : <input type="text"/> [xxx@domaine.com]	Date : <input type="text"/> [/ /]
Date : <input type="text"/> [/ /]	Signature du pharmacien :
Signature du médecin :	[]
[]	

Fiche d'arrêt définitif de traitement

À remplir par le prescripteur et le pharmacien

Date de l'arrêt définitif de traitement : [_ / _ / _ _ _]

Identification du patient

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

N° patient d'accès précoce : [| _ | _ | _ |]

Posologie à l'arrêt du traitement : [_____]

Autre traitement ultérieur envisagé ou mis en place (si applicable) : [_____]

Raisons de l'arrêt du traitement

Fin de traitement (définie dans le RCP)

Survenue d'un effet indésirable suspecté d'être lié au traitement

| Procéder à sa déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I.

Progression de la maladie

Effet thérapeutique non satisfaisant

Décès

→ Date du décès : [_ / _ / _ _ _]

→ Raison du décès : Décès lié à un effet indésirable

| Procéder à sa déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I.

Décès lié à la progression de la maladie

Autre raison : [_____]

Souhait du patient d'interrompre le traitement

Patient perdu de vue, préciser la date de dernier contact : [_ / _ / _ _ _]

Ne remplit plus les critères d'éligibilité, préciser : [_____]

Autre, préciser : [_____]

Médecin prescripteurNom/Prénom : Spécialité : N° RPPS : N° FINESS : Tél : E-mail : Date :

Signature du médecin :

[
]**Pharmacien**Nom/Prénom : N° RPPS : N° FINESS : Tél : E-mail : Date :

Signature du pharmacien :

[
]

Questionnaire qualité de vie, handicap, fonctionnement, symptômes ...)

À compléter par le patient

À compléter par le patient :

- **Lors de la visite d'initiation du traitement (avant la 1ère injection)**
 - **Toutes les 12 semaines à partir de l'initiation du traitement**
 - **À la fin du traitement/à l'arrêt du traitement**
- **Le score doit être reporté par le professionnel de santé sur la fiche correspondante.**

Identification du patient

N° patient d'accès précoce : | | | | |

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

Date de naissance : | | / | | (MM/AAAA)

Date : | | / | | / | | | |

Fiche de déclaration des effets indésirables et situations particulières



General Guidance for completing Adverse Event and Product Quality Complaint Form

- Complete all sections that apply
- Dates should be entered as DD-MMM-YYYY. If exact dates are unknown, provide the best estimate. Partial dates are acceptable.
- Date Received: Earliest date initial and/or follow up adverse event information is received by company employee or person/ager acting on the company's behalf. For Non-Interventional Studies (NIS), where there is both an Investigator and Supplier, this field should be completed by the Supplier if the Supplier is managing AE/PQC reporting from the Investigator to MSD.
- Patient/Reporter Details: Name or initials
 - Anonymized: Patient/reporter details need to be withheld for privacy
 - Unknown: Patient/reporter details are not known
- Age: Enter patient's age at onset of event and age unit (days, weeks, months, years), e.g. 24 weeks
- Age Group: Enter patient's age group at time of event if Date of Birth or Age is not available
 - Foetus (Prior to birth)
 - Neonate (1 day - ≤28 days)
 - Infant (>28 days - ≤1 year)
 - Child (>1 year - <12 years)
 - Adolescent (≥12 years - ≤18 years)
 - Adult (≥18 years - <65 years)
 - Elderly (≥65 years)
- Product: Trade/brand name(preferred) Generic Name (acceptable)
- Action Taken: Dose (decreased, increased, interrupted, or not changed), Withdrawn, Unknown, NA
- Lot/Batch/Serial #/ Model#/Catalog#/UDI#: provide all numbers exactly as they appear on the device or device labeling (including spaces, hyphens, etc.) or pharmaceutical product (lot/batch), as applicable.
- Seriousness: Adverse event resulted in:
 - Hospitalization: prolonged hospital stay, or an emergency room visit results in hospital admission
 - Life-threatening: Substantial risk of dying or continued product use may have resulted in death
 - Death: Death (include the date, cause of death, if known)
 - Disability: significant, persistent or permanent impairment or diminished quality of life
 - Medically Significant: could have jeopardized the patient or required medical or surgical intervention (treatment) to prevent serious outcome
 - Congenital Anomaly/Birth Defects: Outcome in a child from exposure to a medical product prior to conception or during pregnancy
 - Required Intervention related to a device or device component: Medical or surgical intervention was necessary to preclude permanent impairment of a body function or permanent damage to a body structure (provide details in the narrative)
- Was the Adverse Event related to the product? For multiple events, detail in narrative
- Narrative: Summary of all relevant medical information (clinical course, treatment) office visit notes, hospital discharge summary (if applicable)

MSD							Adverse Event and Product Quality Complaint Form								
Case Details															
Date Received			Country of incidence			Program/Study ID# 7962-PLPA-002			Program/Study Name Sotatercept French early access program						
Sender Details (Business Partner (BP), Investigator, Vendor, Supplier)															
Name/Initials:									BP/Vendor ID#						
Email Address:															
Patient Details (complete in accordance with local privacy laws)															
Name/Initials:									Patient/Subject ID#						
Address:															
Anonymized <input type="checkbox"/> Unknown <input type="checkbox"/>			DOB:			Age:			Age Group:						
Sex: Male <input type="checkbox"/> Female <input type="checkbox"/> Unknown <input type="checkbox"/>			Pregnant: Yes <input type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> NA <input type="checkbox"/>			If yes, date of last menstrual period?									
Reporter Details (complete in accordance with local privacy laws)															
Name/Initials:							Address:								
Anonymized <input type="checkbox"/> Unknown <input type="checkbox"/>			Phone:			Fax:			Email:						
Physician <input type="checkbox"/> Pharmacist <input type="checkbox"/> Other Health Prof <input type="checkbox"/>			Consumer <input type="checkbox"/> Lawyer <input type="checkbox"/>			Is the Reporter/HCP willing to be contacted? Yes <input type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Unknown <input type="checkbox"/>									
Product(s) Details															
Product Name		Formulation		Indication		Start Date		Stop Date		Action Taken		Lot/Batch/Serial #/ Model#/Catalog#/UDI#			
Suspect (S) Concomitant (C)		Dose/Frequency				DD/MMM/YYYY		DD/MMM/YYYY							
Adverse Event/Product Quality Complaints															
Event				Onset Date				Outcome							
								Fatal <input type="checkbox"/> Not recovered <input type="checkbox"/> Recovered <input type="checkbox"/> Recovering <input type="checkbox"/> Sequelae <input type="checkbox"/> Unknown <input type="checkbox"/>							
								Fatal <input type="checkbox"/> Not recovered <input type="checkbox"/> Recovered <input type="checkbox"/> Recovering <input type="checkbox"/> Sequelae <input type="checkbox"/> Unknown <input type="checkbox"/>							
Was the event considered Serious? Yes <input type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Unknown <input type="checkbox"/>															
If yes, select all that apply (see cover page for details): Hospitalization <input type="checkbox"/> Life Threatening <input type="checkbox"/> Death <input type="checkbox"/> Disability <input type="checkbox"/> Medically Significant <input type="checkbox"/>															
Congenital Anomaly <input type="checkbox"/> Required Intervention (Device/Device Component) (provide details in narrative) <input type="checkbox"/>															
Other (provide details in narrative) <input type="checkbox"/>															
Was the Adverse Event(s) related to the product? Yes <input type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Unknown <input type="checkbox"/>						This is a non-interventional study/program with no HCP assessment of seriousness or causality <input type="checkbox"/> (for internal use only)									
Is this a Product Quality Complaint? Yes <input type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/>						Medical Devices Only:									
Is the product available for return, if requested? <input type="checkbox"/> Yes, provide contact details <input type="checkbox"/> No, specify reason (if known)						Date Implanted				Date Explanted					
						Initial Use <input type="checkbox"/> Repeated Use <input type="checkbox"/>				Operator of Device: HCP <input type="checkbox"/> Non-HCP <input type="checkbox"/> Other <input type="checkbox"/>					
Description of Adverse Event(s) and/or Product Quality Complaint: <i>Information not captured in the fields (other products taken by the patient, current medical conditions, relevant medical history, laboratory tests etc.)</i>															
If applicable															
Form Completed By:				Date Completed (DD-MMM-YYYY):				QC check Completed By:				QC Check Date (DD-MMM-YYYY):			



|

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.

1.3. Le pharmacien :

- complète la fiche d'accès au traitement ainsi que les fiches préalablement remplies par le prescripteur lors de chaque visite (lorsqu'elles existent), et les transmet au laboratoire exploitant l'autorisation d'accès précoce ;
- 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, handicap, fonctionnement, symptômes..., si applicable ;

- 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, d'instauration et de suivi, et intègre les données dans sa base de suivi de l'accès précoce ;
- adresse, au prescripteur et à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné, 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^{er} page, le rapport de synthèse accompagné d'un projet de résumé qu'il transmet à la HAS , à l'ANSM 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 ;
- Choisissez un élément. 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^{er} 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 : sotatercept

Cette annexe comprend :

- un document d'information sur le dispositif d'accès précoce [avant autorisation de mise sur le marché](#) ;
- une [note d'information aux patients sur le traitement des données à caractère personnel](#) ;

Accès précoce à un médicament avant 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 sotatercept du laboratoire pharmaceutique MSD France dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce à un 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 avant 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 indication³ donnée, pour savoir s'il est sûr et s'il apporte un réel bénéfice aux personnes malades.

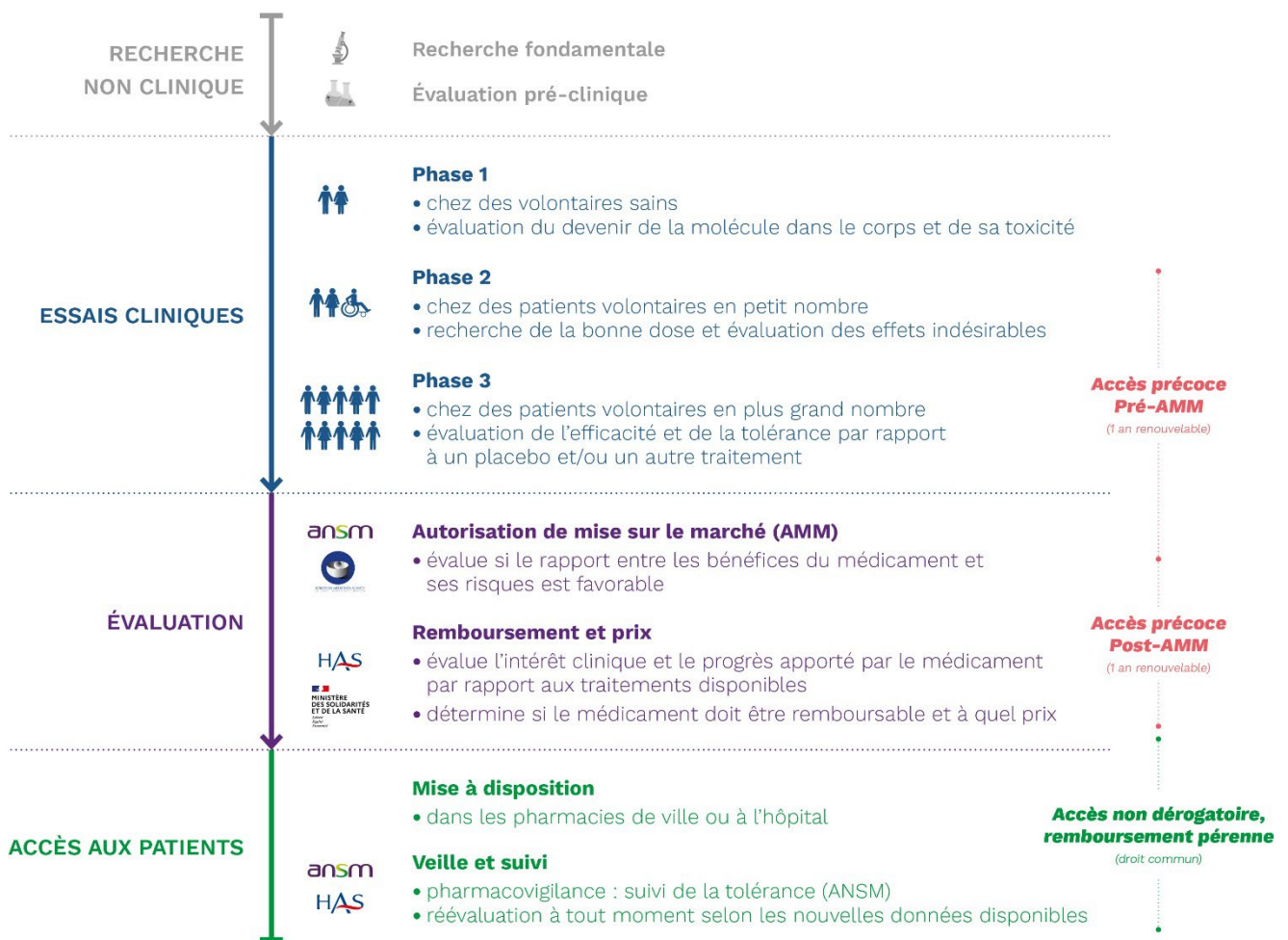
Ce parcours, depuis le début de la recherche fondamentale jusqu'à l'autorisation de mise sur le marché et la décision de remboursement et de prix, prend plusieurs années (voir schéma ci-dessous).

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).

³ 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.

L'accès précoce va de pair avec le recueil obligatoire de données pour s'assurer que le médicament est sûr et efficace en conditions réelles d'utilisation. Ces données sont recueillies par le laboratoire pharmaceutique auprès des médecins qui prescrivent le médicament, des pharmaciens qui le dispensent et des patients qui le prennent ou des enfants qui le prennent ou de leurs proches. Elles sont transmises de manière anonyme aux autorités de santé pour évaluer le médicament pendant l'accès précoce en vue de son autorisation de mise sur le marché et de son remboursement.

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 ?

Même si ce traitement n'a pas encore été totalement évalué et que l'étape des essais cliniques est encore en cours, les premiers résultats des recherches⁴ ont conduit à estimer que l'efficacité et la sécurité de ce médicament étaient fortement présumées dans l'indication considérée.

Un médicament est efficace quand il a des effets bénéfiques pour les personnes qui le prennent.

Un médicament est sûr lorsqu'il est bien toléré et n'a pas d'effets indésirables trop importants. Les effets indésirables sont les conséquences inattendues et désagréables du traitement (douleurs, nausées, diarrhée, etc.).

Ainsi, il est très probable que les effets indésirables de ce médicament ne soient pas trop importants par rapport au bénéfice attendu.

Cependant, dans le cas d'un médicament disposant d'une autorisation d'accès précoce, on ne sait pas encore tout sur les effets indésirables et l'efficacité du médicament dans l'indication considérée. Par conséquent, les risques pris par le patient sont plus grands pour ce médicament que pour les médicaments déjà commercialisés.

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 le site internet de l'Agence nationale du médicament et des produits de santé (ANSM) - <https://ansm.sante.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 :

- Que signifie être obligé de recueillir des données ? (voir plus loin, paragraphe « A quoi cela vous engage-t-il ») ;
- Existe-t-il d'autres traitements disponibles pour moi / pour mon enfant ?
- Quelle différence avec un essai clinique ?

⁴ Il s'agit de recherches impliquant la personne humaine à des fins commerciales auxquelles il a été procédé en vue de la demande d'autorisation de mise sur le marché.

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, en gélules ou comprimés à avaler, en injection, en inhalations, etc. Demandez des précisions à votre médecin / au médecin qui suit votre enfant ou reportez-vous à la notice du médicament dans sa boîte s'il y en a une ou sur le site de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) - <https://ansm.sante.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.

1. Qu'est-ce que Sotatercept et à quoi sert-il ?

Sotatercept contient la substance active sotatercept.

Il est utilisé avec d'autres traitements pour traiter l'hypertension artérielle pulmonaire (HTAP) chez l'adulte. L'HTAP se caractérise par une pression sanguine élevée dans les artères des poumons.

Sotatercept peut améliorer votre capacité à être physiquement actif/ve en diminuant la pression sanguine dans les artères de vos poumons. Il peut également soulager les symptômes de l'HTAP et ralentir la progression de votre maladie.

A quoi ressemble sotatercept et contenu de l'emballage

Sotatercept est une poudre et solvant pour solution injectable. La poudre blanche à blanc cassé se présente dans un flacon en verre contenant 45 mg ou 60 mg de sotatercept. Le solvant est une eau pour injection limpide et incolore en seringue pré-remplie de 1 mL ou 1,3 mL.

Les boîtes de Sotatercept 45 mg contiennent une seringue pré-remplie avec 1 mL de solvant.

Les boîtes de Sotatercept 60 mg contiennent une seringue pré-remplie avec 1,3mL de solvant.

Sotatercept se présente en :

Boîte contenant 1 flacon (poudre), 1 seringue pré-remplie (solvant), 1 dispositif de transfert, 1 seringue doseuse, 1 aiguille et 3 lingettes alcoolisées.

L'injection de SOTATERCEPT MSD France doit être réalisée par un professionnel de santé. (se référer au RCP)

À quoi cela engage-t-il ? Quelles seront les contraintes ?

Comme il y a peu de recul sur le médicament qui vous est proposé / qui est proposé à votre enfant, son utilisation précoce est observée avec attention pour mieux l'évaluer et le connaître. Cette surveillance est décrite en détail dans le protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD) disponible sur le site internet de la Haute Autorité de santé (HAS), de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) et du ministère chargé de la Santé (voir les adresses des sites dans la partie « Pour en savoir plus »).

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 de deux façons : à chaque visite avec votre médecin / le médecin qui suit votre enfant et entre les visites.

À chaque consultation

- ➔ Votre médecin / le médecin qui suit votre enfant va vous poser des questions sur la façon dont vous 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 »).

En consultation

La qualité de vie en général avec le médicament est une information également très importante. Vous devrez remplir un questionnaire sous format papier, qui porte sur votre qualité de vie avec l'hypertension pulmonaire, comment cette maladie affecte votre vie, avant la mise en route du traitement puis avec le traitement.

La forme du questionnaire, le rythme et les conseils pratiques pour le remplir vous seront transmis par l'équipe de soins.

Par ailleurs, il est important que vous déclariez les effets indésirables du médicament, c'est-à-dire les conséquences inattendues et désagréables du traitement que vous pourriez ressentir / que votre enfant pourrait ressentir (douleurs, nausées, diarrhées, 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, à 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 avant 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 le recueil 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 ([à consulter sur le site de l'ANSM](#))
- ➔ 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.

HTaPFrance

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 concernées 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 personnel⁵ relève de la responsabilité du laboratoire MSD France.

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 MSD France, laboratoire pharmaceutique titulaire de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament sotatercept. MSD France 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, etc⁶. 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 l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données

⁵ 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.

⁶ Pour en savoir plus sur ces critères, voir le [site de la HAS](#).

(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.

Ces informations seront également disponibles sur le site de la Plateforme des données de santé qui publie, sur demande du laboratoire MSD 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.

Sur quelle loi se fonde le traitement des données ?

Ce traitement de 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 MSD France et ses éventuels sous-traitants⁷ 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 Merck & Co, Inc, Kenilworth, NJ, USA auquel appartient MSD France.

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 MSD France à la HAS, aux ministres chargés de la Santé et de la Sécurité sociale et à l'Agence nationale de la sécurité des médicaments 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 sotatercept, le laboratoire MSD France pourra conserver vos données / les données de votre enfant.

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 MSD France vous en informera explicitement et vous indiquera le lien vers le portail de transparence dédié.

⁷ 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.

Le laboratoire conservera vos données à caractère personnel chez un hébergeur de données de santé localisé en France et certifié par l'Agence du numérique en Santé (ANS).

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 toute la durée de l'autorisation de mise sur le marché du produit et jusqu'à 10 ans après la date d'expiration de l'autorisation. 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 : dpofrance@msd.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.

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 personnel⁸ relève de la responsabilité du laboratoire MSD France.

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 MSD France, laboratoire pharmaceutique titulaire de l'autorisation d'accès précoce pour le médicament sotatercept.

MSD France 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 sotatercept 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

⁸ 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 MSD France, 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 MSD 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.

Sur quelle loi se fonde le traitement des données ?

Ce traitement de 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 ?

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 sotatercept, MSD 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 MSD France et ses éventuels sous-traitants⁹ .

Vos données pourront également être transmises au personnel habilité des autres sociétés du groupe Merck & Co, Inc, Kenilworth, NJ, USA. auquel appartient MSD France.

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 MSD France à la HAS, aux ministres chargés de la Santé et de la Sécurité sociale et à l'Agence nationale de la sécurité des médicaments ainsi qu'au centre régional de pharmacovigilance désigné pour assurer au niveau national le suivi de l'accès précoce.

⁹ 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.

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 sotatercept, le laboratoire MSD France pourra conserver vos données pendant une durée de 2 ans.

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 MSD France vous en informera explicitement et vous indiquera le lien vers le portail de transparence dédié.

Le laboratoire conservera vos données à caractère personnel chez un hébergeur de données de santé localisé en France et certifié par l'Agence du numérique en Santé (ANS).

Transferts hors Union européenne

Vos données pourront faire 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, indiquer le nom exact du laboratoire a conclu avec la/les société(s) noms du/des destinataire(s) des données transférées 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 2021¹⁰.

¹⁰ 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.

MSD peut être amenée à transférer vos données personnelles en dehors de l'Union européenne, lorsque cela est indispensable à ses activités et notamment à des fins de sauvegarde générale des fichiers, y compris vers les États-Unis. Afin de garantir une protection adéquate de vos données à caractère personnel, Merck & Co, Inc, Kenilworth, NJ, USA a mis en place des règles et procédures internes contraignantes (BCR ou Binding corporate rules) pour régir les transferts au sein de son groupe. En cas de transfert ultérieur vers des pays ne disposant pas de règles de protection des données à caractère personnel, MSD et/ou Merck & Co, Inc, Kenilworth, NJ, USA s'assureront contractuellement que vos données à caractère personnel continueront à bénéficier d'un niveau de protection adéquat.

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 nom du laboratoire en lui écrivant à l'adresse suivante : **dpofrance@msd.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 toute la durée de l'autorisation de mise sur le marché du produit et jusqu'à 10 ans après la date d'expiration de l'autorisation. 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 **dpofrance@msd.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.

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.

-