

# Newsletter 3

## Pharmacie - Accès dérogatoires

DEARly access

### L'actualité des accès dérogatoires à Gustave Roussy

Cette troisième newsletter continue de vous emmener en immersion dans l'univers de nos accès dérogatoires.

Au programme de ce trimestre :

- Une présentation de notre activité via la rubrique « Au cœur des accès »
- Un zoom sur l'ivosidenib
- Les nouveautés du trimestre

### → Au cœur des accès

Ci-dessous le nombre de patients inclus et de molécules par comité :



Comité [nombre de patients-nombre de molécules]

- |                     |
|---------------------|
| Senologie [183-5]   |
| Pédiatrie [49-9]    |
| Hématologie [31-8]  |
| Pneumologie [24-10] |
| Thyroïde [16-4]     |
| Digestif [15-6]     |
| Gynéco [16-3]       |
| Autres* [24-9]      |

Autres\* : Néphrologie, Neurologie, Sarcome, ORL

Sur la période juillet – septembre 2024, TOP 3 des comités (en nombre de patients) :

- 1 **Sénologie** (5 molécules)
- 2 **Pédiatrie** (9 molécules)
- 3 **Hématologie** (8 molécules)



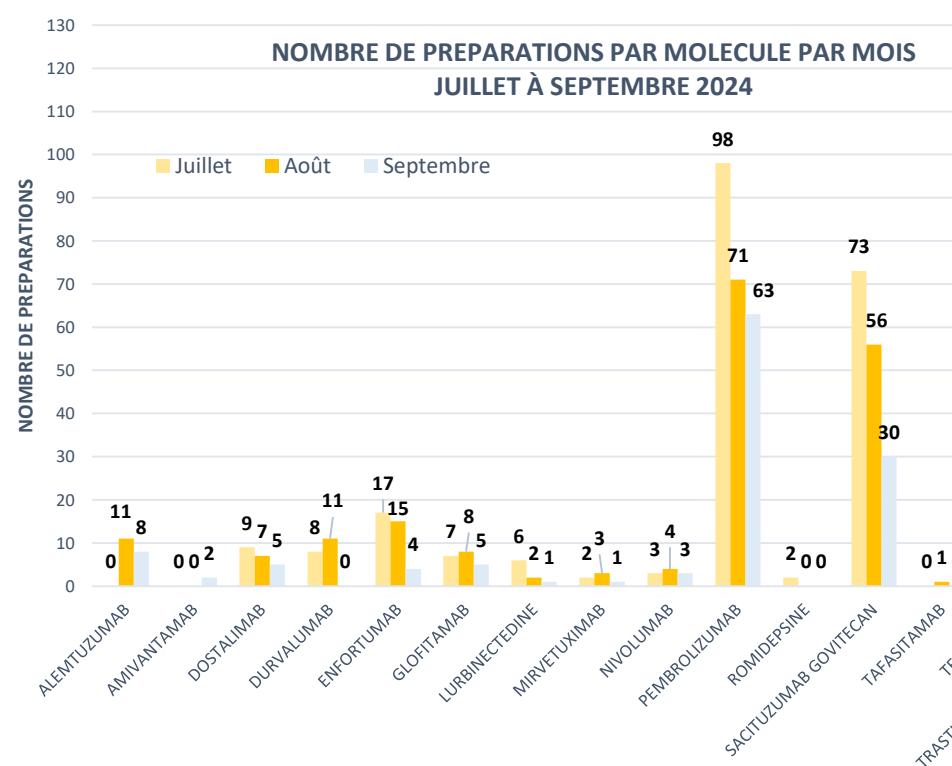
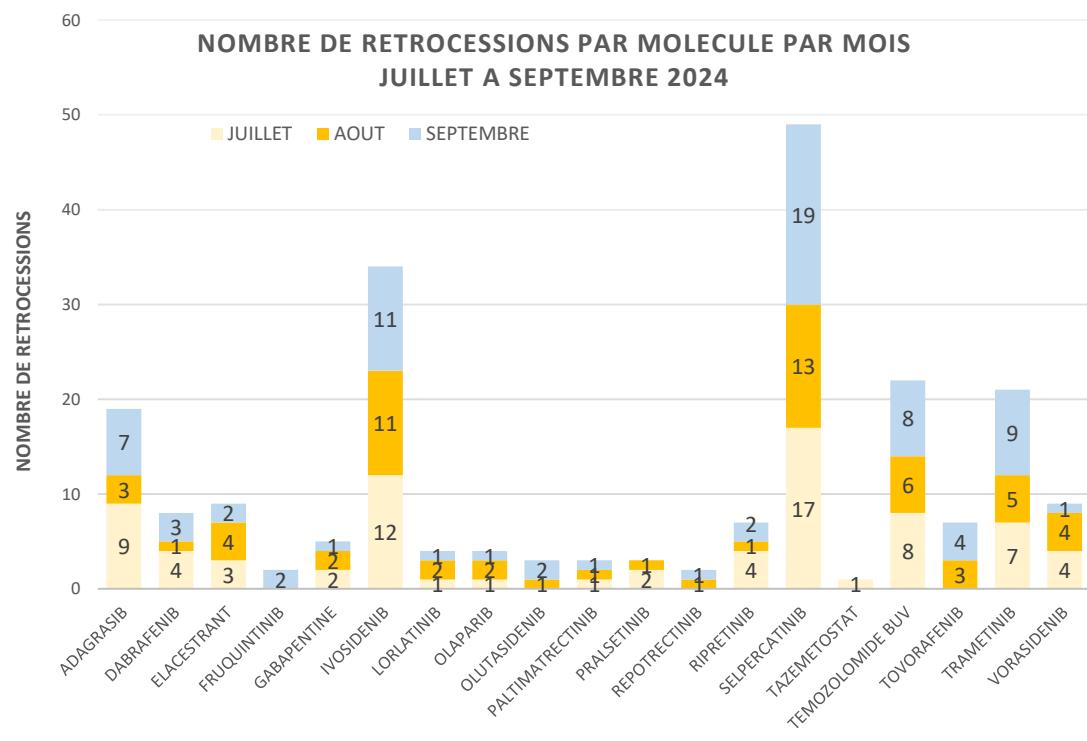
# Au cœur des accès

**TOP 3 des molécules les plus rétrocédées :**

**1 SELPERCANTINIB**

**2 IVOSIDENIB**

**3 TEMOZOLOMIDE  
(solution buvable)**



**TOP 3 des molécules les plus préparées :**

**1 PEMBROLIZUMAB**

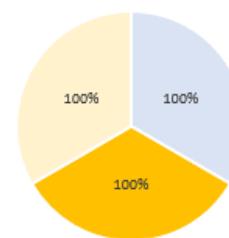
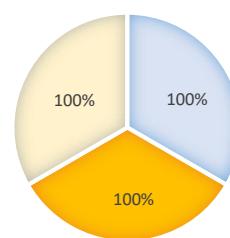
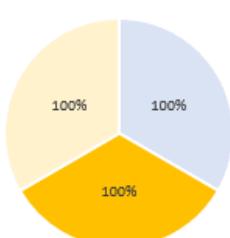
**2 SACITUZUMAB GOVITECAN**

**3 TRASTUZUMAB DERUXTECAN**

Recueil des données obligatoire pour les AAP :

**TAUX DE QUESTIONNAIRES COMPLÉTÉS**

■ Juillet ■ Août ■ Septembre



Aperçu du taux de complétude des questionnaires de suivi par Kahina et Décalovie

Cette rubrique permet un focus sur une molécule disponible en accès dérogatoire ou une cible thérapeutique

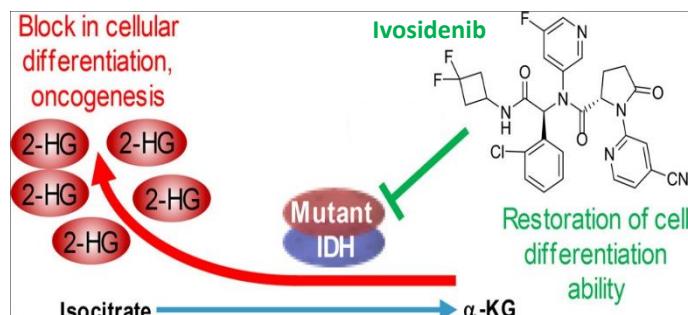
## Ivosidenib (TIBSOVO®) cp 250mg

### Inhibiteur de l'enzyme isocitrate déshydrogénase 1 (IDH1) muté

#### Mécanisme d'action

L'IDH1 muté convertit l'α-cétoglutarate (α-KT) en 2-hydroxyglutarate (2-HG), ce qui bloque la différenciation cellulaire et favorise la tumorigénèse dans les tumeurs malignes hématologiques et non hématologiques.

L'ivosidenib réduit la production de 2-HG et restaure la différenciation cellulaire.



#### Organes concernés et cancers associés

- **Hématologie** - Leucémie aiguë myéloïde avec mutation IDH1
- **Voies biliaires** – Cholangiocarcinome avec mutation IDH1

#### Autorisation d'accès précoce (AAP)

- Traitement en **monothérapie** des patients adultes atteints de **cholangiocarcinome** avancé non résécable ou métastatique **avec une mutation de l'IDH1 R132**, ayant un score ECOG 0 ou 1, et en progression après 2 lignes de traitement pour la maladie avancée non résécable et/ou métastatique sur avis d'une réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP).
- Traitement en **association avec l'azacitidine** des patients adultes ayant une **leucémie aiguë myéloïde (LAM)** nouvellement diagnostiquée **avec une mutation de IDH1 R132**, non éligibles à la chimiothérapie d'induction standard et aux alternatives disponibles.

#### Cadre de prescription compassionnelle (CPC)

- Traitement en **monothérapie** des patients adultes atteints d'un **gliome de bas grade IDH1 muté**, inopérables, non répondeur ou en progression après un traitement par radiothérapie ou y étant inéligible, et au moins une ligne de chimiothérapie à base de témozolomide ou y étant non éligible
- Traitement en **monothérapie** des patients adultes atteints de **leucémie aiguë myéloïde (LAM)** avec une **mutation du gène IDH1 R132** en rechute ou réfractaire.

#### Posologie habituelle

- 500 mg par jour en une fois (soit 2 comprimés par prise)

#### Modalités d'obtention et dispensation

- Pour l'AAP : inclusion via la plateforme <https://www.servier-emap.fr>
- Pour le CPC : inclusion via la plateforme <https://www.cpc-tibsovo.fr>
- Rétrocession mensuelle à la pharmacie

#### Coût :

13 800 euros HT la boîte de 60 comprimés

DCI	Spécialité	Forme	Dosage	Statut actuel	Ancien statut	Cible thérapeutique	Comités	Indication
Adagrasib	KRAZATI®	CP	200 mg	AAC	AAC	KRAS G12C	090 – Gynécologie	Tumeur maligne de l'ovaire mutée KRASG12C
Amivantamab	RYBREVANT®	Injectable	350 mg	AAP Pré-AMM	NC	EFGR/MET	031 – Pathologie thoracique	En association au carboplatine et au pémétrexed, dans le traitement des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) avancé avec mutations du récepteur du facteur de croissance épidermique (EGFR) par délétion dans l'exon 19 ou substitution L858R dans l'exon 21, en échec d'un précédent traitement comprenant un inhibiteur de la tyrosine kinase (ITK) de l'EGFR de troisième génération
Blinatumomab	BLINCYTO®	Injectable	38,5 µg	AAP Pré-AMM	NC	CD19/CD3	110 - Hématologie	En monothérapie dans le cadre du traitement de consolidation pour le traitement des patients adultes âgés de plus de 30 ans présentant une leucémie aigüe lymphoblastique (LAL) à précurseurs B exprimant le CD19 avec chromosome Philadelphie négatif en première rémission complète avec une maladie résiduelle minimale (MRD) négative
Dinituximab	QARZIBA®	Injectable	4,5 mg/ml	CPC	NC	GD2	120 - Pédiatrie	Traitement des patients âgés de 12 mois et plus atteints d'un neuroblastome à haut risque : <ul style="list-style-type: none"><li>En association à la chimiothérapie d'induction de type TOTEM ou TEMIRI en rechute/progression après chimiothérapie de première ligne</li><li>En association à la chimiothérapie d'induction en seconde rechute/progression (ou plus) après chimiothérapie de type TOTEM ou TEMIRI</li></ul>
Durvalumab	IMFINZI®	Injectable	50 mg/mL	AMM Avec remboursement	AAP post-AMM	PDL	040 - Gastro	<ul style="list-style-type: none"><li>En association avec une chimiothérapie à base de gemcitabine/cisplatine pour le traitement de première ligne des patients adultes atteints d'un cancer des voies biliaires non résécable ou métastatique</li><li>En association avec IMJUDO dans le traitement de première ligne des patients adultes atteints d'un carcinome hépatocellulaire (CHC) avancé ou non résécable, avec une fonction hépatique préservée (stade Child-Pugh A), avec un score ECOG 0 ou 1, et non éligibles aux traitements locorégionaux ou en échec à l'un de ces traitements</li></ul>
Emfortumab Vedotin	PADCEV®	Injectable	20 MG 30 MG	AAP post-AMM	NC	Nectine-4	080 - Urologie	En association au pembrolizumab, dans le traitement de première ligne des patients adultes atteints de carcinome urothélial non résécable ou métastatique et éligibles à une chimiothérapie à base de sels de platine

DCI	Spécialité	Forme	Dosage	Statut actuel	Ancien statut	Cible thérapeutique	Comités	Indication
Pembrolizumab	KEYTRUDA®	Injectable	25 mg/mL	AAP post-AMM	NC	PD1	080 - Urologie	En <b>association</b> à l'enfortumab vedotin, dans le <b>traitement de première ligne des patients adultes atteints de carcinome urothelial non résécable ou métastatique</b> et éligibles à une chimiothérapie à base de sels de platine
Olaparib	LYNPARZA®	CP	100 mg 150 mg	AMM Avec remboursement	AAP post-AMM	PARP	050 – Sénologie	En <b>monothérapie</b> ou en <b>association</b> à une hormonothérapie pour le traitement adjuvant des patients adultes atteints d'un <b>cancer du sein précoce à haut risque HER2-négatif</b> et présentant une <b>mutation germinale des gènes BRCA1/2</b> , qui ont été précédemment traités par chimiothérapie néoadjuvante ou adjuvante
Sacituzumab govitecan	TRODELVY®	Injectable	200 MG	AMM Avec remboursement	AAP post-AMM	TROP-2	050 – Sénologie	Traitement en <b>monothérapie</b> des patients adultes, ayant un <b>cancer du sein triple négatif non résécable ou métastatique</b> , ayant reçu préalablement 2 lignes de traitement systémiques ou plus, dont au moins l'une d'entre elles au stade avancé
Tremelimumab	IMJUDO®	Injectable	20 mg/mL	AMM Avec remboursement	AAP post-AMM	CTLA-4	040 - Gastro	En <b>association</b> avec <b>IMFINZI</b> dans le <b>traitement de première ligne des patients adultes atteints d'un carcinome hépatocellulaire (CHC) avancé ou non résécable</b> , avec une fonction hépatique préservée (stade Child-Pugh A), avec un score ECOG 0 ou 1, et non éligibles aux traitements locorégionaux ou en échec à l'un de ces traitements

## Nouveau ! ONCOACCESS

La Société Française de Pharmacie Oncologique (SFPO) propose un nouveau répertoire des molécules en accès dérogatoire mis à jour quotidiennement :  
<https://oncoaccess.spo.com/>



Pour plus d'informations sur les critères d'inclusions :

<https://ansm.sante.fr/documents/reference/referentiel-des-specialites-en-acces-derogatoire?orderIndex=1&order=ASC>

Sources :

ANSM, HAS, RCP des produits

### Contacts

Pharmacien : Edouard COSME	Pharmacien : Petronille ROY	ARC : Kahina GALOU	ARC : Decalovie OBIANG
DECT : 2 54 83	DECT : 2 54 17	DECT : 2 49 37	DECT : 2 47 59