

ANNEXE 3 : Note d'information destinée aux patients bénéficiant d'un médicament dans un cadre de prescription compassionnelle

A remettre au patient avant toute prescription d'ONPATTRO (patisiran) 2mg/mL, solution à diluer pour perfusion

Faisant l'objet d'un CADRE DE PRESCRIPTION COMPASSIONNELLE

Dans le cas où le patient serait dans l'incapacité de prendre connaissance de cette information, celle-ci sera remise à son représentant légal ou, le cas échéant, à la personne de confiance qu'il a désignée.

Afin d'assurer l'administration d'Onpattro à domicile en toute sécurité, la brochure patient décrivant les signes ou symptômes d'une réaction liée à la perfusion (RLP) sera également remise au patient. Cette brochure fait partie des Mesures additionnelles de réduction du risque validées pour Onpattro dans le cadre de son AMM. Elle vous sera remise par le laboratoire Alnylam France pour ce CPC et est également disponible au lien suivant : <https://ansm.sante.fr/tableau-marr/patisiran>

Votre médecin vous a proposé un traitement par Onpattro qui fait l'objet d'un cadre de prescription compassionnelle (CPC).

Cette note a pour but de vous informer afin de vous permettre d'accepter le traitement qui vous est proposé en toute connaissance de cause. Elle comprend :

- des informations générales sur les CPC,
- des informations sur le médicament, notamment sur ses effets indésirables,
- les modalités de signalement des effets indésirables par le patient,
- une information relative au traitement de vos données à caractère personnel (cf. annexe 4).

Il est important que vous indiquiez à votre médecin ou à votre pharmacien si vous prenez ou si vous avez pris récemment un autre médicament, même s'il s'agit d'un médicament délivré sans ordonnance.

Informations générales sur les CPC

Le CPC (procédure dérogatoire exceptionnelle prévue à l'article L. 5121-12-1 III du code de la santé publique) permet de sécuriser la prescription d'un médicament dans une indication thérapeutique non conforme à son autorisation de mise sur le marché (AMM).

Il répond à un besoin thérapeutique non couvert, dès lors que le rapport bénéfice/risque de ce médicament dans cette indication est présumé favorable par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM).

Dans ce cadre, Onpattro est disponible pour le traitement de l'amylose à transthyrétine de type sauvage ou héréditaire chez les patients adultes présentant une cardiomyopathie (ATTR-CM) dont la pathologie évolue malgré un traitement optimal par tafamidis depuis plus d'un an ou pour ceux qui sont intolérants à ce dernier.

L'utilisation de Onpattro et la surveillance de tous les patients traités se fait en conformité avec le protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients validé par l'ANSM. Les données concernant les patients traités dans ce contexte seront collectées et feront l'objet de rapports envoyés à l'ANSM, qui assure une surveillance nationale de l'utilisation de Onpattro en collaboration avec le Centre Régional de Pharmacovigilance (CRPV) de Nice en charge du suivi national. Un

résumé de ces rapports sera périodiquement publié par l'ANSM sur son site internet (www.ansm.sante.fr). Celui-ci ne comporte aucune donnée personnelle.

Informations sur Onpattro

Onpattro (patisiran) 2mg/mL, solution à diluer pour perfusion dispose d'une AMM pour le traitement de l'amylose héréditaire à transthyrétine (amylose hATTR), chez les patients adultes atteints de polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2.

Il est important de noter que, contrairement à une utilisation conforme à son AMM, la sécurité et l'efficacité de Onpattro dans la situation du CPC, sont seulement présumées à ce jour. Le but de ce CPC est de vous permettre de bénéficier de ce traitement en faisant l'objet d'un suivi particulier au cours duquel des données personnelles seront collectées (annexe 4). Toutes ces données seront analysées. Ce suivi devrait donc aussi permettre de s'assurer que les bénéfices de ce traitement dans ces indications restent présumés supérieurs aux risques potentiellement encourus.

Votre médecin calculera la quantité d'Onpattro à vous donner en fonction de votre poids.

La dose habituelle d'Onpattro est de 300 microgrammes par kilogramme (kg) de poids corporel, administrés une fois toutes les 3 semaines.

Vous ne devez surtout pas recevoir Onpattro si vous avez déjà eu une réaction allergique sévère au patisiran ou à l'un des autres composants contenus dans ce médicament. En cas de doute, consultez votre médecin ou votre infirmier/ère avant de recevoir Onpattro.

Réactions liées à la perfusion (voir également la brochure patient décrivant les signes ou symptômes d'une réaction liée à la perfusion)

Onpattro est administré en goutte à goutte par voie veineuse (une « perfusion intraveineuse »). Des réactions liées à cette perfusion peuvent survenir pendant le traitement par Onpattro. Avant chaque perfusion, vous recevrez des médicaments qui contribuent à réduire les risques de réactions liées à la perfusion.

Informez immédiatement votre médecin ou votre infirmier/ère si vous présentez les signes d'une réaction liée à la perfusion.

Si vous présentez une réaction liée à la perfusion, votre médecin ou votre infirmier/ère pourra ralentir ou arrêter votre perfusion, et vous devrez peut-être prendre d'autres médicaments pour contrôler les symptômes. Lorsque ces réactions auront cessé, ou se seront améliorées, votre médecin ou votre infirmier/ère pourra décider de reprendre la perfusion.

Carence en vitamine A

Le traitement par Onpattro diminue la quantité de vitamine A présente dans le sang. Votre médecin mesurera vos taux de vitamine A. Si votre taux de vitamine A est faible, votre médecin attendra que votre taux de vitamine A soit revenu à la normale et que les éventuels symptômes d'une carence en vitamine A aient disparu avant d'initier le traitement par Onpattro. Les symptômes d'une carence en vitamine A peuvent inclure : Diminution de la vision nocturne, yeux secs, mauvaise vision, vision trouble ou floue

Si vous présentez des problèmes de vision ou d'autres problèmes oculaires lors de l'utilisation d'Onpattro, parlez-en à votre médecin. Votre médecin pourra vous demander de consulter un ophtalmologue pour que celui-ci vous prescrive des examens, si nécessaire.

Votre médecin vous demandera de prendre un supplément quotidien de vitamine A pendant le traitement par Onpattro.

Des taux de vitamine A trop élevés ou trop bas peuvent nuire au développement de l'enfant à naître. Par conséquent, les femmes en âge de procréer ne doivent pas être enceintes avant de commencer un traitement par Onpattro et doivent utiliser une méthode de contraception efficace.

Informez votre médecin si vous planifiez une grossesse. Il est possible que votre médecin vous conseille d'arrêter de prendre Onpattro. Votre médecin s'assurera que vos taux de vitamine A sont revenus à la normale avant que vous ne soyez enceinte.

Informez votre médecin si vous êtes enceinte (grossesse non prévue). Il est possible que votre médecin vous conseille d'arrêter de prendre Onpattro. Pendant les 3 premiers mois de votre grossesse, le médecin peut vous dire d'arrêter la supplémentation en vitamine A. Pendant les 6 derniers mois de votre grossesse, vous pouvez reprendre la supplémentation en vitamine A si les taux de vitamine A dans le sang ne sont pas revenus à la normale, car il existe un risque augmenté de carence en vitamine A pendant les 3 derniers mois de votre grossesse.

Vous trouverez dans chaque boîte de médicament, la notice destinée au patient laquelle ne mentionne pas l'indication du présent CPC mais vous informe notamment des contre-indications, mises en garde et effets indésirables. Elle est également consultable sur la base de données publique des médicaments : <https://base-donnees-publique.medicaments.gouv.fr/extrait.php?specid=62111751>

Il est indispensable que vous la lisiez attentivement. En effet, cette notice contient des informations importantes pour votre traitement et vous devez la montrer ainsi que la présente note d'information à tous les médecins que vous pouvez être amené à consulter.

Modalités de signalement des effets indésirables par le patient

Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin ou à votre pharmacien.

Vous avez également la possibilité de signaler directement tout effet indésirable susceptible d'être lié au médicament via le portail de signalement signalement.social-sante.gouv.fr

Votre déclaration doit préciser que vous êtes pris en charge dans le contexte d'un CPC. En signalant les effets indésirables, vous contribuez à fournir davantage d'informations sur la sécurité de ce médicament.

Bien sûr, votre décision d'accepter un traitement par Onpattro est totalement libre et vous pouvez refuser le traitement si vous le souhaitez.

Traitement de vos données personnelles

Le traitement par un médicament dans un cadre de prescription compassionnelle avec un protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP) implique le recueil de données personnelles concernant votre santé.

Vous trouverez des informations complémentaires relatives à vos droits dans l'annexe 4 : « [Note d'information sur le traitement des données personnelles](#) ».

Vous pouvez contacter le délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire à l'adresse suivante EUdataprivacy@alnylam.com.