Le dispositif des RTU est destiné à sécuriser l'accès à des traitements dans des indications ou des conditions d'utilisation différentes de celles de leur autorisation de mise sur le marché (AMM).
La première RTU concernant une maladie rare, est publiée aujourd'hui sur le site internet de l'Agence. Elle concerne la spécialité Roactemra du laboratoire Roche dans l'indication « traitement de la maladie de Castleman inflammatoire (à CRP[1] élevée) non associée au virus HHV8 ».

La spécialité Roactemra est autorisée au niveau européen et est commercialisée en France depuis août 2009 pour le traitement de certaines formes de polyarthrite rhumatoïde active et d'arthrite juvénile idiopathique systémique. Dans ce cadre, cette spécialité fait l'objet d'un plan de gestion des risques européen et est réservée à l'usage hospitalier et à certains spécialistes.

La maladie de Castleman est un syndrome lymphoprolifératif rare dont le traitement des formes disséminées n'est pas standardisé. Roactemra n'est pas indiquée en Europe dans cette maladie, mais l'est au Japon. Plusieurs études font apparaître qu'elle offre une alternative à la chimiothérapie dans les formes non plasmocytaires, non associées au virus HHV8, inflammatoires (CRP élevée) et symptomatiques de la maladie de Castleman. Le mécanisme d'action du principe actif (inhibition des récepteurs de l'interleukine-6) explique l'amélioration observée sur divers symptômes et anomalies biologiques associés à la maladie de Castleman. Le nombre de patients potentiellement concernés est de l'ordre d'une dizaine par an.

L'utilisation de cette spécialité dans le cadre de la RTU est soumise à un protocole de suivi qui définit les modalités pratiques de prescription, de délivrance, d'administration du médicament et de suivi des patients. Il précise également le rôle des différents acteurs notamment de l'ANSM, du laboratoire Roche et des prescripteurs.

Le protocole mentionne également les éléments scientifiques qui ont fondé la décision d'octroi de cette RTU, les informations destinées aux professionnels de santé et aux patients dans le cadre de la RTU, ainsi que les différentes fiches de suivi médical (initiation, suivi, formulaires de déclaration d'effet indésirable par les professionnels et les patients, arrêt du traitement).

Une première RTU concernant la spécialité baclofène dans le traitement de la dépendance à l'alcool a été publiée le 14 mars 2014 , plusieurs autres RTU sont en cours d'instruction ou en phase de finalisation de convention entre l'ANSM et des laboratoires.

Une nouvelle mission de l'ANSM

Les RTU constituent une nouvelle disposition législative[2] dont l'élaboration a été octroyée à l'ANSM. Elles concernent toutes les spécialités ayant une AMM en France. Une RTU permet d'encadrer la prescription d'un médicament en dehors de son AMM et n'est élaborée que lorsque le rapport bénéfice/risque dans l'indication considérée est présumé favorable et qu'il n'existe pas d'alternative médicamenteuse appropriée (AMM, autorisation temporaire d'utilisation (ATU) de cohorte). Ce dispositif novateur permet, tout en sécurisant les prescriptions hors AMM, d'objectiver leur intérêt thérapeutique. Une RTU est accordée pour une période maximale de 3 ans à l'issue de laquelle une demande d'extension de l'AMM peut être déposée pour cette nouvelle indication.

C'est l'ANSM qui prend l'initiative d'élaborer une RTU à partir de signaux transmis par différents acteurs institutionnels ou des associations de patients agréées.

Lire aussi

- ROACTEMRA, 20 mg/ml solution à diluer pour perfusion
- Principes généraux des RTU

[1] - Protéine réactive C

[2] - Loi du 29 décembre 2011 relative au renforcement de la sécurité sanitaire du médicament

et des produits de santé