

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'HEMLIBRA

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.

Votre médecin vous a proposé un traitement par HEMLIBRA 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, HEMLIBRA est disponible dans l'indication suivante : « **Traitement pour prévenir les épisodes hémorragiques et en diminuer la sévérité, chez les patients adultes atteints d'hémophilie A acquise par auto-anticorps anti-facteur VIII** ».

L'utilisation d'HEMLIBRA 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 d'HEMLIBRA en collaboration avec le Centre Régional de Pharmacovigilance (CRPV) de Toulouse 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 HEMLIBRA

HEMLIBRA dispose d'une AMM en prophylaxie pour prévenir les épisodes hémorragiques chez les patients atteints d'hémophilie A (déficit congénital en facteur VIII) :

- Avec inhibiteurs anti-facteur VIII
- Sans inhibiteur anti-facteur VIII qui ont :
 - Une forme sévère (FVIII < 1 %)
 - Une forme modérée (FVIII ≥ 1 % et ≤ 5 %) avec un phénotype hémorragique sévère

HEMLIBRA peut être utilisé dans toutes les tranches d'âge.

Il est important de noter que, contrairement à une utilisation conforme à son AMM, la sécurité et l'efficacité d'HEMLIBRA 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.

Posologie recommandée dans le cadre du CPC dans l'hémophilie A acquise

La dose d'HEMLIBRA dépend de votre poids et votre médecin calculera la quantité (en mg) et le volume correspondant de solution d'HEMLIBRA (en mL) à injecter.

- Dose de charge :
 - 6 mg/kg au jour 1
 - 3 mg/kg au jour 2
- Dose d'entretien : 1,5 mg/kg une fois par semaine à partir du jour 8

Toutes les doses sont administrées par injection sous-cutanée.

Pour plus d'information, se référer aux sections "3. Comment utiliser HEMLIBRA" et "7. Instructions d'utilisation" de la notice du médicament.

Contre-indications et mises en garde

N'utilisez jamais HEMLIBRA si vous êtes allergique à l'emicizumab ou à l'un des autres composants contenus dans ce médicament (mentionnés dans la rubrique 6 de la notice). En cas de doute, adressez-vous à votre médecin, votre pharmacien ou votre infirmier/ère avant d'utiliser HEMLIBRA.

Avertissements et précautions

Avant de débuter un traitement par HEMLIBRA, **il est très important de parler avec votre médecin de l'utilisation des « agents by-passants » (médicaments facilitant la coagulation du sang mais fonctionnant différemment du facteur VIII)**, car le traitement par ces agents by-passants peut nécessiter d'être modifié lors du traitement par HEMLIBRA. Les exemples d'agents by-passants comprennent : le « concentré de facteurs du complexe prothrombinique activé » (aPCC) et le « FVIIa recombinant » (rFVIIa).

Effets indésirables potentiellement graves lors de l'utilisation de l'aPCC au cours du traitement par HEMLIBRA

- **Microangiopathie thrombotique (maladie entraînant une obstruction des petits vaisseaux sanguins)**
 - Il s'agit d'une affection grave pouvant engager le pronostic vital.
 - Lorsque les personnes présentent cette affection, la paroi des petits vaisseaux sanguins peut être endommagée et des caillots sanguins peuvent s'y développer. Dans certains cas, cette affection peut entraîner des atteintes au niveau des reins et d'autres organes.
 - Soyez vigilants si vous présentez un risque élevé de développer cette affection (si vous avez déjà eu une microangiopathie thrombotique ou si un membre de votre famille en a présenté), ou si vous prenez des médicaments qui en augmentent le risque, tels que ciclosporine, quinine, ou tacrolimus.
 - **Plusieurs signes cliniques doivent vous alerter** : confusion, faiblesse, gonflement des bras et des jambes, jaunissement de la peau et des yeux, douleur vague au niveau du ventre (abdomen) ou du dos, mal au coeur (nausées), vomissements ou diminution de la quantité d'urine.

- **Événements thromboemboliques (caillots sanguins)**
 - Dans de rares cas, un caillot sanguin peut se former à l'intérieur des vaisseaux et les obstruer, engageant ainsi le pronostic vital.
 - **Plusieurs signes cliniques doivent vous alerter :**
 - Gonflement, chaleur, douleur ou rougeur – ces symptômes peuvent être les signes de la présence d'un caillot sanguin dans une veine à proximité de la surface de la peau ;
 - Maux de tête, engourdissement du visage, douleur ou gonflement au niveau des yeux ou altération de la vision – ces symptômes peuvent être les signes de la présence d'un caillot sanguin dans une veine située derrière votre œil ;
 - Noircissement de la peau – ce symptôme peut être le signe d'une lésion sévère du tissu cutané.

Si vous ressentez un ou plusieurs de ces symptômes, arrêtez immédiatement vos traitements par HEMLIBRA et par aPCC (FEIBA) et contactez en urgence le médecin qui vous suit pour votre hémophilie acquise.

Les risques présentés ci-dessus étant similaires à ceux observés dans les indications approuvées d'HEMLIBRA, votre médecin prescripteur vous remettra les documents de minimisation du risque suivants :

- **Carte patient HEMLIBRA**
- **Guide destiné aux patients et aidants - HEMLIBRA**

Comme il vous est expliqué dans ce guide, certaines recommandations doivent être respectées pour une bonne sécurité d'utilisation d'HEMLIBRA : il est donc indispensable de partager ces informations avec tous les professionnels de santé que vous seriez amené à consulter, y compris pour des examens biologiques, en leur montrant votre Carte Patient. Conservez cette carte avec vous en permanence.

Ces documents sont par ailleurs disponibles sur le site de l'ANSM (<https://ansm.sante.fr/tableau-marr/emicizumab>) ou sur le site roche (<https://rochepro.fr/information-medicale/marr.html>)

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 : <http://base-donnees-publique.medicaments.gouv.fr/>.

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 HEMLIBRA 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 ».

Pour exercer vos droits sur vos données, vous pouvez contacter le Délégué à la Protection des Données (DPO) du laboratoire Roche par courrier (Roche, 4 Cours de l'Île Seguin 92650 Boulogne-Billancourt) ou par email (france.donneesp personnelles-pharma@roche.com).