

Protocole d'Utilisation Thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP)

Autorisations d'accès compassionnel
nérandomilast

La demande	
Spécialité	Nérandomilast (BI 1015550) 9 mg, comprimés pelliculés Nérandomilast (BI 1015550) 18 mg, comprimés pelliculés
DCI	Nérandomilast
Critères d'octroi *	Traitement de la fibrose pulmonaire idiopathique ou de la fibrose pulmonaire progressive chez les adultes dont la maladie s'aggrave malgré un traitement par antifibrosant, ou qui ne peuvent bénéficier d'un traitement par antifibrosants en raison d'une contre-indication ou d'une intolérance.
Périodicité des rapports de synthèse	Annuelle
Renseignements administratifs	
Contact laboratoire titulaire ou CRO	Cellule AC NERANDOMILAST : Numéro vert : 08.01.30.01.68 Numéro de fax : 02.46.99.03.50 E-mail : ac-nerandomilast@euraxipharma.fr Plateforme électronique à destination des professionnels de santé : www.acces-derogatoires-nerandomilast.fr
Contact à l'ANSM	Guichet usager
CRPV en charge du suivi du médicament en AAC, le cas échéant	CRPV AMIENS
Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire	Numéro de téléphone : 04.28.67.46.30

	E-mail :protection_donnees@boehringer- ingelheim.com
--	---

Dernière date de mise à jour : 30/01/2026.

Retrouvez toutes les informations sur ce médicament en AAC :

<https://ansm.sante.fr/documents/reference/referentiel-des-autorisations-dacces-compassionnel>

** En cas de non-conformité aux critères d'octroi ci-dessus ou autres situations thérapeutiques, le prescripteur peut faire une demande d'AAC en justifiant sa demande.*

Glossaire

AAC : Autorisation d'Accès Compassionnel

AMM : Autorisation de Mise sur le Marché

ANSM : Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé

E-saturne : application de téléservice de demandes d'AAC

RCP : résumé des caractéristiques du produit

NIP : note d'information prescripteur

PUT-SP : protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients

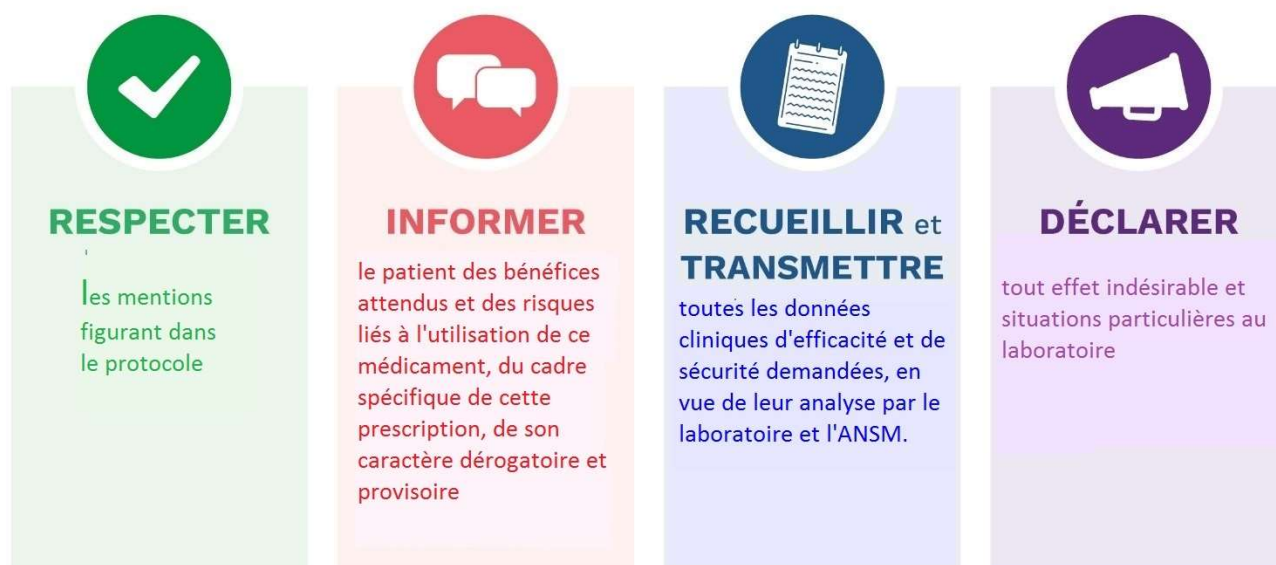
Sommaire

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur	5
Le médicament	7
Calendrier des visites	9
Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients	10
Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données	11
Annexe 2. Rôle des différents acteurs	29
Annexe 3. Documents d'information à destination des patients avant toute prescription d'un médicament en autorisation d'accès compassionnel : nérandomilast	33
Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières	42

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur

Vous souhaitez prescrire ou dispenser un médicament disponible au titre d'une autorisation d'accès compassionnel.

Cette autorisation vous engage à



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 compassionnel est toujours temporaire, délivrée pour une durée d'un an maximum et renouvelable. Elle peut être retirée ou suspendue si les conditions qui ont conduit à son octroi ne sont plus remplies ou pour des motifs de santé publique.

Pour plus d'informations sur le dispositif d'accès compassionnel, veuillez consulter le site internet de l'ANSM (<https://ansm.sante.fr/vos-demarches/professionel-de-sante/demande-dautorisation-dacces-compassionnel>).

L'autorisation d'accès compassionnel est une procédure permettant l'utilisation, à titre exceptionnel, d'un médicament dans une indication précise en l'absence d'autorisation de mise sur le marché (AMM) en France, quelle que soit l'indication thérapeutique, 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 présumées favorables au regard des données cliniques disponibles (résultats des essais thérapeutiques) ;

- le médicament ne fait pas l'objet d'une recherche impliquant la personne humaine à des fins commerciales,
- ou lorsque le médicament fait l'objet d'une recherche impliquant la personne humaine dans l'indication à des fins commerciales, le laboratoire s'est engagé à demander une autorisation d'accès précoce auprès de la HAS, le patient ne peut participer à cette recherche et la mise en œuvre du traitement ne peut pas être différée.

L'AAC est subordonnée au respect d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP), 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 les conditions d'utilisation et de prescription du médicament,
 - 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 du médicament dans le cadre des autorisations d'accès compassionnel. Les prescripteurs et les pharmaciens sont tenus de participer au recueil de ces informations et de les transmettre aux laboratoires via les fiches de suivi médical (cf [annexe 1](#)). Ces informations sont analysées par le laboratoire et transmises à l'ANSM (à Contact-LABO-AAC@ansm.sante.fr) sous la forme d'un rapport périodique de synthèse ; un résumé de ce rapport, validé par l'ANSM en concertation avec le Centre Régional de Pharmacovigilance (CRPV) désigné en charge du suivi national le cas échéant, qui est ensuite publié sur son site Internet et transmis par le laboratoire aux professionnels de santé concernés. Une convention entre le laboratoire et l'établissement peut définir les modalités de dédommagement de l'établissement pour le temps consacré à la collecte de données¹.

¹ Conformément au II de l'article R. 5121-74-5 du Code de la Santé Publique

Le médicament

Spécialité(s) concernée(s)

Nérandomilast (BI 1015550) 9 mg, comprimés pelliculés

Nérandomilast (BI 1015550) 18 mg, comprimés pelliculés

Caractéristiques du médicament

FORME PHARMACEUTIQUE

Nérandomilast (BI 1015550) 9 mg, comprimés pelliculés

Comprimés pelliculés jaune clair, ovales et biconvexes, portant l'inscription « F9 » gravée sur une face et le logo de Boehringer Ingelheim sur l'autre (longueur du comprimé : 9,5 mm, largeur du comprimé : 4,6 mm).

Nérandomilast (BI 1015550) 18 mg, comprimés pelliculés

Comprimés pelliculés rouge clair, ovales et biconvexes, portant l'inscription « F18 » gravée sur une face et le logo de Boehringer Ingelheim sur l'autre (longueur du comprimé : 12 mm, largeur du comprimé : 5,9 mm).

PROPRIÉTÉS PHARMACODYNAMIQUES

Mécanisme d'action

Se référer à la section « Mécanisme d'action » de la note d'information au prescripteur (NIP).

Critères d'octroi

Traitement de la fibrose pulmonaire idiopathique ou de la fibrose pulmonaire progressive chez les adultes dont la maladie s'aggrave malgré un traitement par antifibrosant, ou qui ne peuvent bénéficier d'un traitement par antifibrosants en raison d'une contre-indication ou d'une intolérance.

En cas de non-conformité aux critères d'octroi ci-dessus ou autres situations thérapeutiques, le prescripteur peut faire une demande d'AAC en justifiant sa demande.

Posologie

Se référer à la section « Posologie et mode d'administration » de la note d'information au prescripteur (NIP).

Contre-indication

Hypersensibilité à la substance active ou à l'un des excipients.

Mise en gardes et précautions d'emploi

Se référer à la section « Mises en garde spéciales et précautions d'emploi » et « Fertilité, grossesse et allaitement » de la note d'information au prescripteur (NIP).

Effets indésirables

Se référer à la section « Effets indésirables » de la note d'information au prescripteur (NIP).

Conditions de prescription et de délivrance

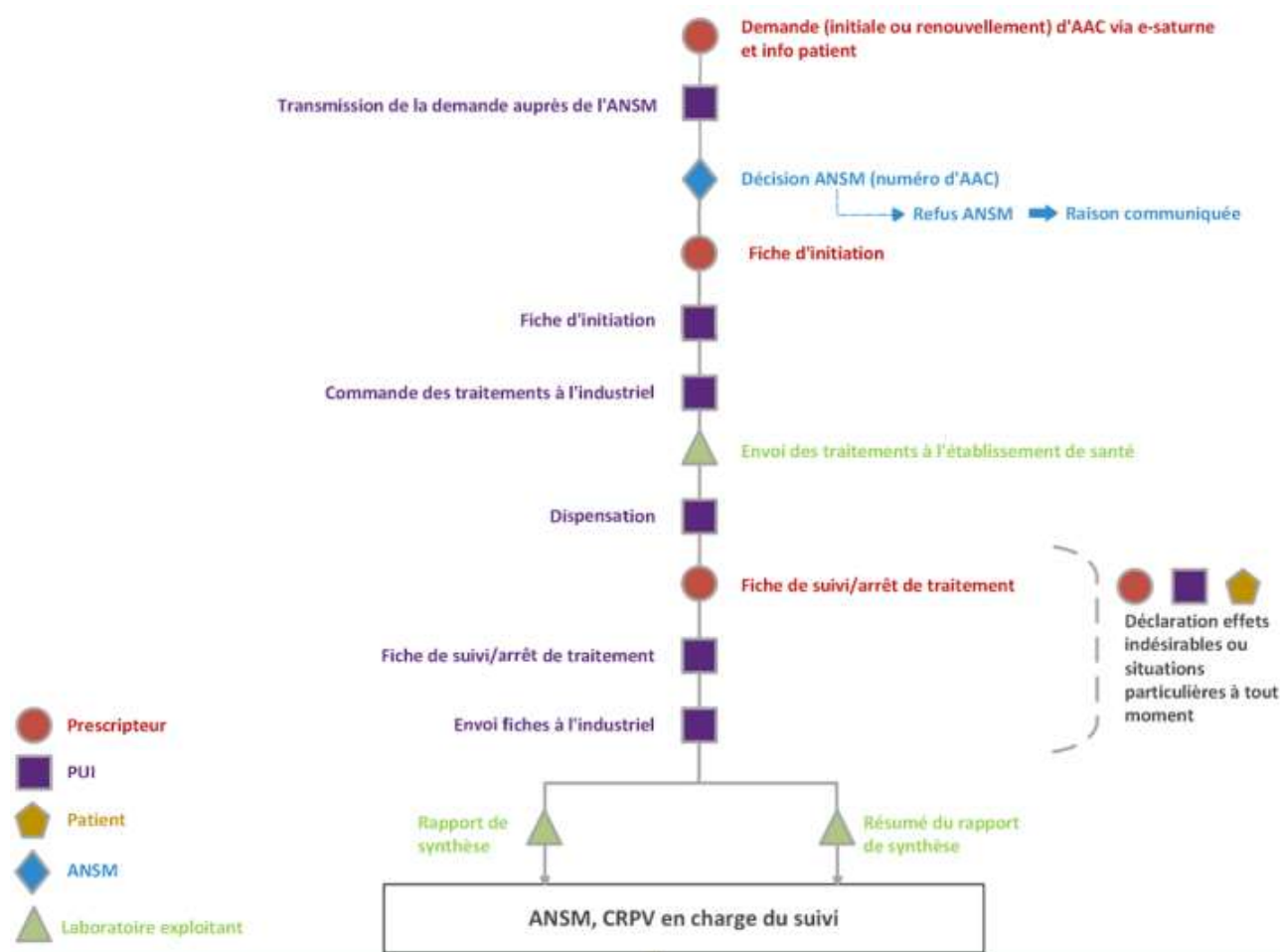
En complément des conditions de prescription et de délivrance, se rapporter à [l'annexe 2](#) pour plus d'informations sur les mentions obligatoires à porter sur l'ordonnance.

Médicament à prescription réservée aux spécialistes en pneumologie, médecine interne, rhumatologie.

Calendrier des visites

	Demande d'autorisation auprès de l'ANSM	Première administration (Fiche d'initiation)	Suivi du traitement et/ou arrêt (Fiches de suivi) Mois 3, Mois 6, Mois 12, Mois 18, Mois 24
Remise de la note d'information destinée au patient par le médecin prescripteur		X	
Collecte de données sur les caractéristiques des patients			
Déclaration de conformité aux critères d'octroi du référentiel AAC	X		
Fonction pulmonaire		X	
Antécédents de traitement et histoire de la maladie	X	X	
Test de grossesse (le cas échéant)		X	
Collecte de données sur les conditions d'utilisation			
Posologie et traitements associés	X	X	X
Interruption de traitement			X
Collecte de données de tolérance/situations particulières			
Suivi des effets indésirables/situation particulières		X	X

Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients



Annexes

Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données

- [Fiche d'initiation de traitement](#)
- [Fiches de suivi de traitement](#)
- [Fiche d'arrêt définitif de traitement](#)
- [Fiche de déclaration d'effet indésirable](#)
- [Fiche de signalement de situations particulières](#)

Le recueil des données dans le cadre du PUT-SP, se fait via une plateforme électronique prévue à cet effet : www.acces-derogatoires-nerandomilast.fr

Dans le cas de la mise en place d'une plateforme, en cas d'impossibilité de connexion à cette plateforme, les fiches doivent être transmises par mode de transmission : 02.46.99.03.50 (numéro fax) ou ac-nerandomilast@euraxipharma.fr (adresse mail)

Fiche d'initiation de traitement

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Fiche à transmettre avec l'AAC au laboratoire

Date de la demande : _ / _ / _ _ _ _ / _ / _ _

Identification du patient

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

Date de naissance : _ _ / _ _ _ _ (MM/AAAA) Poids (kg) : _ _ | _ _ Taille (cm) : _ _ | _ _

Sexe : M ☐ F ☐

L'autorisation d'accès compassionnel ne remplace pas l'essai clinique, le prescripteur doit vérifier que le patient n'est pas éligible à un essai clinique avec ce médicament dans la situation qui fait l'objet de la demande d'autorisation d'accès compassionnel, dont les inclusions sont ouvertes en France.

<https://www.clinicaltrialsregister.eu/> ou <https://clinicaltrials.gov/>

Dans le cas d'impossibilité d'inclure le patient dans un essai clinique en cours dans la situation qui fait l'objet de la demande d'autorisation d'accès compassionnel, précisez les motifs de non-éligibilité à l'essai clinique

: **Eligibilité**

☐ Oui ☐ Non,

Si Non, précisez

le motif :

☐

Centre ne participant pas à l'essai clinique

☐ Patient ne répondant pas aux critères d'inclusion

☐ Patient présentant au moins un critère d'exclusion

☐ Autre, préciser : _____

Maladie

en lien avec les critères d'octroi

Diagnostic et état du patient

DIAGNOSTIC

☐ Patient ayant un diagnostic de fibrose pulmonaire idiopathique (FPI)*

OU

☐ Patient ayant un diagnostic de fibrose pulmonaire progressive (FPP)**

Etiologie sous-jacente à l'atteinte de pneumopathies interstitielles diffuses (PID)

☐ Pneumopathie interstitielle non spécifique (PINS) idiopathique

☐ PID idiopathique inclassable

☐ Pneumopathie d'hypersensibilité

☐ PID associée à une maladie auto-immune

☐ PID associée à la polyarthrite rhumatoïde

☐ PID associée à une connectivite mixte

- ☐ PID associée à la sclérodermie systémique
- ☐ PID fibrosante associée à d'autres maladies auto-immunes
- ☐ Autres PID
 - ☐ PID liée à une exposition
 - ☐ Sarcoïdose
 - ☐ PID fibrosante associée à d'autres maladies non auto-immunes

* Selon les recommandations nationales [Recommandations pratiques pour le diagnostic et la prise en charge de la fibrose pulmonaire idiopathique – Actualisation 2021](#), et le [PNDS disponible sur le site de la HAS](#)

** Selon les recommandations nationales [Recommandations pratiques pour le diagnostic et la prise en charge de la fibrose pulmonaire idiopathique – Actualisation 2021](#), et les recommandations internationales [Idiopathic Pulmonary Fibrosis \(an Update\) and Progressive Pulmonary Fibrosis in Adults: An Official ATS/ERS/JRS/ALAT Clinical Practice Guideline](#), published in the *American Journal of Respiratory and Critical Care Medicine*, Volume 205, Issue 9, pages e18–e47, on May 1, 2022

Date du diagnostic : __ / __ / __ (MM/AAAA)

ETAT CLINIQUE DU PATIENT

Pour que la demande soit recevable, au moins une des trois conditions suivantes doit être vérifiée :

- ☐ Oui ☐ Non - Le patient présente une contre-indication aux antifibrosants.
- ☐ Oui ☐ Non - Le patient a arrêté un(les) antifibrosant(s) pour intolérance.
- ☐ Oui ☐ Non - La maladie du patient s'aggrave malgré un traitement par antifibrosant.

Fonction pulmonaire du patient

CVF : |__| |__| |__|, |__| % de la valeur prédite

DLCO (corrigée pour l'hémoglobine (Hb)) : |__| |__|, |__| % de la valeur prédite ou ☐ Non disponible

Si Non disponible, précisez le motif

☐ Incapacité du patient à réaliser le test

☐ Autre, préciser : _____

FEMMES EN AGE DE PROCREER / CONTRACEPTION / ALLAITEMENT

☐ Oui ☐ NA - Je certifie que la patiente en âge de procréer a été informée du risque de fausse couche et que les points suivants ont été communiqués/vérifiés :

Faire pratiquer pour toute femme en âge de procréer un test de grossesse avant le début du traitement par nérandomilast.

Les femmes en âge de procréer doivent être informées que la grossesse doit être évitée et que des méthodes de contraception efficaces doivent être utilisées pendant le traitement par nérandomilast.

L'efficacité des contraceptifs hormonaux par voie orale peut être diminuée en cas de vomissements et/ou de diarrhée ou d'autres troubles modifiant l'absorption. Il doit être recommandé aux femmes qui prennent des contraceptifs hormonaux par voie orale et qui présentent ces troubles, d'utiliser une autre méthode de contraception hautement efficace.

L'allaitement doit être interrompu au cours du traitement par nérandomilast.

Voir note d'information au prescripteur (NIP).

Comorbidités

☐ Oui ☐ Non

Si oui, patient atteint de :

☐ Hypertension non contrôlée

☐ Insuffisance rénale terminale (DFGe < 15 mL/min)

☐ Insuffisance hépatique sévère (Child-Pugh C)

☐ Cardiopathie sévère

☐ Autres maladies respiratoires

☐ Autre(s) maladie(s) sévère(s) en cours, préciser : _____

Traitement par nérandomilast

Date d'initiation prévue : ____/____/____ (JJ/MM/AAAA)

Posologie envisagée

☐ 18 mg deux fois par jour

☐ 9 mg deux fois par jour

Se référer à la section « Posologie et mode d'administration » de la note d'information au prescripteur (NIP).

Traitements antérieurs, concomitants et/ou soins de support

	Traitements antérieurs / concomitants
Traitements antifibrosants	Pirfénidone* <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non
	Date de début : ____/____/____ (JJ/MM/AAAA)
	Date d'arrêt : ____/____/____ (JJ/MM/AAAA)
	ou <input type="checkbox"/> En cours
	Nintédanib <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non
	Date de début : ____/____/____ (JJ/MM/AAAA)
	Date d'arrêt : ____/____/____ (JJ/MM/AAAA)

	ou <input type="checkbox"/> En cours
Inhibiteurs puissants du CYP3A** (exemples : clarithromycine, itraconazole, ritonavir, ...)	<input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Non
Inducteurs puissants ou modérés du CYP3A*** (exemples : bosentan, métamizole, carbamazépine, millepertuis, rifampicine, phénytoïne, ...)	<input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Non
Oxygénothérapie	<input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Non
Autres traitements concomitants	<input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Non - Immunosuppresseurs <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Non - Antiémétique <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Non - Antidiarrhéique <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Non - Anticoagulant <input type="checkbox"/> En cours <input type="checkbox"/> Non - Anti-inflammatoire <input type="checkbox"/> Autres, préciser : _____

*** Utilisation concomitante avec la pirfénidone**

L'utilisation concomitante de NERANDOMILAST avec de la pirfénidone diminue l'exposition au nérandomilast d'environ 50%. Chez les patients utilisant de la pirfénidone, la dose recommandée de NERANDOMILAST est de 18 mg deux fois par jour et ne doit pas être réduite à 9 mg deux fois par jour.

**** Utilisation concomitante avec des inhibiteurs du CYP3A**

En cas d'utilisation concomitante avec des inhibiteurs puissants du CYP3A, la dose de NERANDOMILAST doit être réduite à 9 mg deux fois par jour.

***** Utilisation concomitante avec des inducteurs du CYP3A**

En cas d'utilisation concomitante avec des inducteurs puissants ou modérés du CYP3A, la dose recommandée de NERANDOMILAST est de 18 mg deux fois par jour et ne doit pas être réduite à 9 mg deux fois par jour.

Voir NIP. |

Engagement du prescripteur

J'ai remis les documents d'information au patient (disponible en [annexe 3](#)) et certifie que le patient a été informé de la collecte de ses données à caractère personnel : ☐ Oui ☐ Non

Médecin prescripteur Nom/Prénom : _____	Pharmacien Nom/Prénom : _____
---	---

Spécialité : <input type="text"/>	N° RPPS : <input type="text"/>
N° RPPS : <input type="text"/>	
Hôpital :	Hôpital :
<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé	<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé
Numéro FINESS : <input type="text"/>	Numéro FINESS : <input type="text"/>
Tel: <input type="text"/> Numéro de téléphone.	Tel: <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"/> / <input type="text"/> / <input type="text"/>	Date : <input type="text"/> / <input type="text"/> / <input type="text"/>
Cachet et signature du médecin :	Cachet et signature du pharmacien :

Nous collectons les données personnelles (patients et professionnels de santé ci-dessus) pour la gestion des contacts avec les professionnels de santé intervenant dans le cadre du suivi des patients bénéficiant des médicaments en accès compassionnel.

Vous pouvez accéder à vos données, les rectifier et limiter leur traitement en contactant le laboratoire à l'adresse suivante protection_donnees@boehringer-ingelheim.com

Dans la mesure où le traitement de vos données est fondé sur une obligation légale et poursuit un objectif d'intérêt public dans le domaine de la santé vous ne disposez pas du droit d'opposition, d'effacement ou de portabilité.

Fiche de suivi de traitement

(Visites après la première administration)

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Fiche à transmettre au laboratoire

Date de la visite : _/ _/ _

Visite de suivi n° M3 ☐ M6 ☐ M12 ☐ M18 ☐ M24 ☐

...

Identification du patient

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

N° AAC dernièrement octroyée: _ _ _ _ _

Conditions d'utilisation de nérandomilast

Date de la première administration de nérandomilast : _/ _/ _ (JJ/MM/AAAA)

Posologie prescrite

Y a-t'il eu des modifications depuis l'initiation du traitement/depuis la dernière consultation ?

☐ Non ☐ Oui

Si oui, préciser.

Nouvelle posologie de nérandomilast	Date de début de la nouvelle posologie	Raisons de modifications
<input type="checkbox"/> 18 mg deux fois par jour <input type="checkbox"/> 9 mg deux fois par jour	_/ _/ _ (JJ/MM/AAAA)	<input type="checkbox"/> Survenue d'un effet indésirable suspecté d'être lié au traitement* <input type="checkbox"/> Instauration ou arrêt d'administration concomitante de la pirfénidone <input type="checkbox"/> Instauration ou arrêt d'administration concomitante d'un inhibiteur puissant du CYP3A <input type="checkbox"/> Instauration ou arrêt d'administration concomitante d'un inducteur puissant ou modéré du CYP3A <input type="checkbox"/> Autre, préciser : _ _ _ _ _

* En cas d'effet indésirable, compléter la fiche de déclaration des effets indésirables.

Traitements concomitants et/ou soins de support

[Cliquez ici pour entrer du texte.](#)

Y –a-t'il eu des modifications depuis l'initiation du traitement ou la dernière consultation ?

☐ Non ☐ Oui

Si oui, préciser.

	Traitements concomitants
<input type="checkbox"/> Pirféridone*	<input type="checkbox"/> Augmentation de la dose <input type="checkbox"/> Diminution de la dose <input type="checkbox"/> Ajout <input type="checkbox"/> Arrêt
<input type="checkbox"/> Nintédanib	<input type="checkbox"/> Augmentation de la dose <input type="checkbox"/> Diminution de la dose <input type="checkbox"/> Ajout <input type="checkbox"/> Arrêt
<input type="checkbox"/> Inhibiteurs puissants du CYP3A** (exemples : clarithromycine, itraconazole, ritonavir, ...)	<input type="checkbox"/> Ajout <input type="checkbox"/> Arrêt Précisez le(s) médicament(s) concerné(s) : ...
<input type="checkbox"/> Inducteurs puissants ou modérés du CYP3A*** (exemples : bosentan, métamizole, carbamazépine, millepertuis, rifampicine, phénytoïne, ...)	<input type="checkbox"/> Ajout <input type="checkbox"/> Arrêt Précisez le(s) médicament(s) concerné(s) : ...
<input type="checkbox"/> Oxygénothérapie	<input type="checkbox"/> Ajout <input type="checkbox"/> Arrêt
<input type="checkbox"/> Autres traitements concomitants	<input type="checkbox"/> Ajout <input type="checkbox"/> Arrêt - Antiémétique <input type="checkbox"/> Ajout <input type="checkbox"/> Arrêt - Antidiarrhéique <input type="checkbox"/> Ajout <input type="checkbox"/> Arrêt - Anticoagulant <input type="checkbox"/> Ajout <input type="checkbox"/> Arrêt - Anti-inflammatoire <input type="checkbox"/> Autres, préciser : _____

*** Utilisation concomitante avec la pirféridone**

L'utilisation concomitante de NERANDOMILAST avec de la pirféridone diminue l'exposition au nérandomilast d'environ 50%. Chez les patients utilisant de la pirféridone, la dose recommandée de NERANDOMILAST est de 18 mg deux fois par jour et ne doit pas être réduite à 9 mg deux fois par jour.

**** Utilisation concomitante avec des inhibiteurs du CYP3A**

En cas d'utilisation concomitante avec des inhibiteurs puissants du CYP3A, la dose de NERANDOMILAST doit être réduite à 9 mg deux fois par jour.

***** Utilisation concomitante avec des inducteurs du CYP3A**

En cas d'utilisation concomitante avec des inducteurs puissants ou modérés du CYP3A, la dose recommandée de NERANDOMILAST est de 18 mg deux fois par jour et ne doit pas être réduite à 9 mg deux fois par jour.

Voir NIP.

| |

Interruption/arrêt temporaire de traitement nérandomilast

☐ Oui

☐ Non

| Si oui, préciser les raisons.

Interruption/arrêt temporaire du traitement par nérandomilast	Date	Motif
Date d'interruption	__/__/____ (JJ/MM/AAAA)	<input type="checkbox"/> Survenue d'un effet indésirable suspecté d'être lié au traitement*
Date de reprise	__/__/____ (JJ/MM/AAAA)	<input type="checkbox"/> Autre, préciser : _____ _____

Si un arrêt définitif du traitement a eu lieu, faire un renvoi vers la fiche d'arrêt de traitement

Si l'arrêt est dû à un effet indésirable, faire un renvoi à la fiche de déclaration des effets indésirables.

Évaluation de l'effet du traitement par nérandomilast

Variable d'efficacité

Fonction pulmonaire du patient si disponible : ☐ Oui ☐ Non

Si oui, Date de l'EFR : __/__/____ (JJ/MM/AAAA)

CVF : |__|__|__, |__| % de la valeur prédite

DLCO (corrigée pour l'hémoglobine (Hb)) : |__|__|__, |__| % de la valeur prédite ou ☐ Non disponible

Si Non disponible, précisez le motif :

☐ Incapacité du patient à réaliser le test

☐ Autre, préciser : _____

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 1

En cas de survenue d'une grossesse faire la déclaration à l'aide de la fiche de signalement de situations particulières en annexe 1.

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

Si oui, préciser et compléter la fiche d'arrêt définitif.

Vérification du suivi de la contraception, le cas échéant.

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"/>	Hôpital :
Hôpital : <input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé	<input type="checkbox"/> CHU <input type="checkbox"/> CHG <input type="checkbox"/> CLCC <input type="checkbox"/> centre privé
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"/> __/__/__
Cachet et signature du médecin :	Cachet et signature du pharmacien :

Fiche d'arrêt définitif de traitement

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Fiche à transmettre au laboratoire

Date de l'arrêt définitif de traitement : __/__/__

Date de la première administration de nérandomilast : __/__/__ (JJ/MM/AAAA)

Identification du patient

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

N° dernière AAC de l'ANSM: _____

Posologie à l'arrêt du traitement : ☐ 18 mg deux fois par jour ☐ 9 mg deux fois par jour

Raisons de l'arrêt du traitement

☐ 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

☐ Survenue d'une contre-indication

Préciser : _____

☐ Effet thérapeutique non satisfaisant

Si considéré comme un manque d'efficacité, procéder à sa déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe 1

☐ 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 1

☐ 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'octroi, préciser :

☐ Autre, préciser : _____

Médecin prescripteur

Nom/Prénom : _____

Spécialité : _____

N° RPPS : _____

Hôpital : _____

☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé

N° FINESS : _____

Pharmacien

Nom/Prénom : _____

N° RPPS : _____

Hôpital : _____

☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé

N° FINESS : _____

<p>Tél : <input type="text" value="Numéro de téléphone"/></p> <p>E-mail: xxx@domaine.com</p> <p>Date : <input type="text" value="__/__/____"/></p> <p>Cachet et signature du médecin :</p>	<p>Tél : <input type="text" value="Numéro de téléphone"/></p> <p>E-mail: xxx@domaine.com</p> <p>Date : <input type="text" value="__/__/____"/></p> <p>Cachet et signature du pharmacien :</p>
---	--

Fiche de déclaration des effets indésirables

Fiche à transmettre au laboratoire

Veillez envoyer ce formulaire à Boehringer Ingelheim France par Fax au 03 26 50 38 71 ou par mail sécurisé à pv_local_france@boehringer-ingelheim.com DANS UN DELAI DE 1 JOUR OUVABLE (EI GRAVE) / 7 JOURS (EI NON GRAVE) APRES EN AVOIR PRIS CONNAISSANCE

 Boehringer Ingelheim	Rapport d'Événement Indésirable (EI) pour les Accès Compassionnels (AC)	N° centre : <input type="text"/>	Notificateur: _____
		N° patient : <input type="text"/>	Téléphone: _____
			Email: _____
			BI CTMS No.: 1305-0079
			Pays: _____

Sexe 1 <input type="checkbox"/> Homme 2 <input type="checkbox"/> Femme	Année de naissance (aaaa) <input type="text"/>	Taille (cm) <input type="text"/>	Poids (kg) <input type="text"/> Si inconnu, indiquer "UNK"	Grossesse <input type="checkbox"/> non <input type="checkbox"/> oui, semaines <input type="text"/>
---	--	--	--	---

☐ Rapport initial (1ère fois que vous déclarez un EI pour ce patient)

☐ Rapport de suivi (information additionnelle concernant un EI déjà déclaré pour ce patient)

EVENEMENT(S) Décrivez tous les événements, signes ou symptômes observés	Date de l'événement				Traitement de l'EI 0 = non 1 = oui <i>Si oui, spécifier dans « Description » page 2</i>	Mesure prise suite à l'événement: 1=dose inchangée 2=dose diminuée 3=médicament arrêté 4=dose augmentée	Evolution de l'événement 1= récupération 2= absence de récupération 3= récupération avec séquelles 4= décès (merci de joindre une copie du certificat de décès) 5= inconnue	L'EVENEMENT EST-IL GRAVE ?		Causalité Existe-t-il une relation causale raisonnable avec le médicament BI? 0 = non 1 = oui
	Date de début <small>jj/mm/aaaa</small>	Heure <small>hh:mm</small>	Date de fin <small>Si l'EI est en cours, indiquer 'cont' ici)</small> <small>jj/mm/aaaa</small>	Heure <small>hh:mm</small>				0 = non 1 = oui	Si oui, indiquer le(s) code(s) approprié(s) 1= décès (merci de joindre une copie du certificat de décès) 2= menace immédiate du pronostic vital 3= handicap/incapacité persistant(e) ou significatif(ve) 4= hospitalisation/prologation d'hospitalisation 5= anomalie congénitale 6= autre raison médicalement comparable (spécifier dans «description »)	
1.										
2.										
3.										
4.										

Veuillez envoyer ce formulaire à Boehringer Ingelheim France par Fax au 03 26 50 38 71 ou par mail sécurisé à pv_local_france@boehringer-ingelheim.com DANS UN DELAI DE 1 JOUR OUVRABLE (EI GRAVE) / 7 JOURS (EI NON GRAVE) APRES EN AVOIR PRIS CONNAISSANCE

 Boehringer Ingelheim	Rapport d'Événement Indésirable (EI) pour les Accès Compassionnels (AC)	N° centre: _ _ _	BI CTMS No.: 1305-0079
		N° patient: _ _ _	

Description du ou des événements indiqués ci-dessus et de toute information supplémentaire pouvant contribuer à l'évaluation du cas, y compris, mais sans s'y limiter, les résultats pertinents du diagnostic/des tests de laboratoire (avec les valeurs de référence) et les mesures thérapeutiques prises pour traiter l'événement. Le numéro de l'événement de la première page (première colonne) doit être fourni à côté de sa description.

Produit Boehringer Ingelheim utilisé dans l'AC	Formulation	Posologie	Voie d'administration	N° de lot	Date de début jj / mmm / aaaa	Date de fin jj / mmm / aaaa	Indication

Veuillez envoyer ce formulaire à Boehringer Ingelheim France par Fax au 03 26 50 38 71 ou par mail sécurisé à pv_local_france@boehringer-ingelheim.com DANS UN DELAI DE 1 JOUR OUVRABLE (EI GRAVE) / 7 JOURS (EI NON GRAVE) APRES EN AVOIR PRIS CONNAISSANCE

 Boehringer Ingelheim	Rapport d'Événement Indésirable (EI) pour les Accès Compassionnels (AC)	N° centre : <input type="text"/>	BI CTMS No.: 1305-0079 Pays : <input type="text"/>
		N° patient : <input type="text"/>	

Médicaments concomitants et antérieurs pertinents (<i>ne pas inclure les médicaments utilisés uniquement en tant que traitements <u>correcteurs</u> de l'EI</i>)	Formulation	Posologie	Voie d'administration	Date de début jj / mmm / aaaa	Date de fin jj / mmm / aaaa	Indication	Existe-t-il une relation causale raisonnable entre l'événement et le médicament concomitant ? 0 = non 1 = oui, si oui, indiquer le n° de l'EI
1.							
2.							
3.							
4.							

Maladies concomitantes pertinentes:

1. _____

2. _____


3. _____

4. _____

Commentaires (facteurs confondants, autre explication possible, re-challenge etc...) _____ _____	Nom du médecin: _____ _____ Signature	Date : ____ / ____ / ____ jj / mmm / aaaa
---	--	---

Fiche de signalement de situations particulières

Fiche à transmettre au laboratoire

	Formulaire de suivi de grossesse pour les Accès Compassionnels (AC) Partie A	N° centre : <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/>
		N° patient : <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/> <input type="text"/>
		BI CTMS No.: 1305-0079
		Pays FRANCE

► Ce formulaire doit être rempli par le médecin ou l'établissement pour signaler toute exposition au médicament pendant la grossesse après l'exposition au médicament. **Veuillez envoyer ce formulaire à Boehringer Ingelheim France par Fax au 03 26 50 38 71 ou par mail sécurisé à pv_local_france@boehringer-ingelheim.com dans un délai de 7 jours après en avoir pris connaissance.**

► Si, de plus, un événement indésirable se produit, il faut également remplir le formulaire EI.

La grossesse est survenue chez	<input type="checkbox"/> une patiente participant au programme <input type="checkbox"/> une partenaire d'un patient participant au programme
--------------------------------	---

Information démographique :

Année de naissance (aaaa) : _____	Taille (cm) : _____	Poids (kg) : _____
--------------------------------------	------------------------	-----------------------

Traitements: Veuillez lister tous les traitements administrés pendant la grossesse à ce jour, si disponibles

Continuez sur une feuille séparée si nécessaire.


Médicaments	Voie d'administration	Posologie	Indication	Date de début (jj mmm aaaa)	Date de fin (jj mmm aaaa)
Médicament(s) BI utilisé(s) dans l'AC					
	1.				
	2.				
	3.				
Médicaments	4.				
	5.				
	6.				

Antécédents médicaux maternels pertinents: *Tout problème de santé maternelle, maladie sous-jacente et médicaments, tabagisme, consommation de drogues et/ou d'alcool pendant la grossesse, traitement antérieur de l'infertilité, antécédents obstétricaux y compris les fausses couches antérieures et les antécédents familiaux pertinents:*

Date des dernières règles:	Date (jj mmm aaaa) : _____
Date prévue de l'accouchement:	Date (jj mmm aaaa) : _____
Nbre de semaines de grossesse au moment de l'exposition initiale (si connu):	Nbre de semaines : _____
	Si nbre de semaines non connu :
	<input type="checkbox"/> 1 ^{er} trimestre <input type="checkbox"/> 2 ^{ème} trimestre <input type="checkbox"/> 3 ^{ème} trimestre

Date (jj mmm aaaa) :

Signature du médecin :

 Boehringer Ingelheim	Formulaire de suivi de grossesse pour les Accès Compassionnels (AC) Partie B	N° centre : _ _ _
		N° patient : _ _ _ BI CTMS No.: 1305-0079 Pays FRANCE

» Ce formulaire doit être rempli par le médecin/l'établissement après l'accouchement/l'interruption de grossesse.
Veillez envoyer ce formulaire à Boehringer Ingelheim France par Fax au 03 26 50 38 71 ou par mail sécurisé à pv_local_france@boehringer-ingelheim.com dans un délai de 7 jours après en avoir pris connaissance.

» Si, de plus, un événement indésirable se produit, il faut également remplir le formulaire EI.

La grossesse est survenue chez	<input type="checkbox"/> une patiente participant au programme <input type="checkbox"/> une partenaire d'un patient participant au programme
--------------------------------	---

Information démographique :

Année de naissance (aaaa): _____	Taille (cm): _____	Poids (kg): _____
-------------------------------------	-----------------------	----------------------

Information sur la grossesse :

Evolution de la grossesse (cocher la case appropriée)		
Inconnue	<input type="checkbox"/>	
Avortement thérapeutique	<input type="checkbox"/>	Veillez remplir le formulaire EI
Enfant né vivant		
Nouveau-né normal	<input type="checkbox"/>	
Malformation/Anomalie Congénitale	<input type="checkbox"/>	Veillez remplir le formulaire EI
Avortement Spontané/Fausse Couche	<input type="checkbox"/>	Veillez remplir le formulaire EI
Enfant mort-né	<input type="checkbox"/>	Veillez remplir le formulaire EI

Grossesse multiple	non <input type="checkbox"/>	oui <input type="checkbox"/>	Indiquer l'âge gestationnel à la naissance (semaines): _____
--------------------	------------------------------	------------------------------	--

Si oui, veuillez remplir une page supplémentaire / des pages supplémentaires pour chaque nouveau-né supplémentaire

Année de naissance (aaaa): _____	Poids à la naissance (grammes): _____	Taille à la naissance (cm): _____	Score APGAR (1-10): _____	Sexe: Masc. <input type="checkbox"/> fem. <input type="checkbox"/>
-------------------------------------	--	--------------------------------------	------------------------------	---

Date (jj mmm aaaa) :

Signature du médecin :

Annexe 2. Rôle des différents acteurs

1. Rôle des professionnels de santé

1.1. Le prescripteur

L'autorisation d'accès compassionnel implique le strict respect des mentions définies figurant dans le protocole, notamment les critères d'octroi, les contre-indications, mises en garde et précautions d'emploi, conditions de prescription et de délivrance, ainsi que le suivi prospectif des patients traités tels que prévus par le PUT-SP.

Avant tout traitement, le prescripteur :

- prend connaissance du présent PUT-SP et du RCP ou de la NIP, le cas échéant
- vérifie l'éligibilité de son patient aux critères d'octroi du médicament disposant d'une autorisation d'accès compassionnel ;
- 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 des bénéfices susceptibles d'être apportés par le médicament ;
 - du caractère dérogatoire de la prise en charge par l'Assurance maladie du médicament prescrit dans le cadre de l'autorisation d'accès compassionnel ;
 - 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.

Le prescripteur veille à la bonne compréhension de ces informations.

- soumet la demande d'AAC via e-saturne à l'ANSM ; En cas de demande non conforme aux critères ou en l'absence de critères, justifie sa demande.

Après réception de l'autorisation de l'ANSM, le prescripteur :

- informe le médecin traitant du patient
- remplit la fiche d'initiation de traitement, qu'il transmet à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné

Le prescripteur indique sur l'ordonnance la mention suivante : « Prescription au titre d'un accès compassionnel en dehors du cadre d'une autorisation de mise sur le marché ».

Le prescripteur est tenu de participer au recueil des données collectées dans le cadre du PUT-SP. Il transmet les données de suivi des patients traités, selon des modalités assurant le respect du secret médical au laboratoire exploitant le médicament.

Suite à l'initiation du traitement, le prescripteur planifie des visites de suivi (voir calendrier de suivi dans le PUT-SP) 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.

Les fiches de suivi et d'arrêt sont envoyées systématiquement et sans délai à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné pour transmission au laboratoire selon les modalités décrites en page 9.

Si le prescripteur souhaite poursuivre le traitement, il soumet, avant la date d'échéance de l'AAC, la demande de renouvellement de l'AAC via e-saturne à l'ANSM.

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 faisant l'objet d'une AAC.

Le pharmacien :

- complète la fiche d'initiation de traitement ainsi que les fiches de suivi préalablement remplies par le prescripteur lors de chaque visite, et les transmet au laboratoire exploitant le médicament
- commande le médicament auprès du laboratoire sur la base de l'AAC ;
- 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 selon les modalités prévues en [annexe 4](#).

Le pharmacien est tenu de participer au recueil des données lorsqu'il est exigé dans le cadre du PUT-SP.

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](#)) ;
- informe les professionnels de santé de tout effet indésirable ou le déclare lui-même sur le portail de signalement : www.signalement-sante.gouv.fr.

3. Rôle du laboratoire

L'entreprise qui assure l'exploitation du médicament :

- réceptionne les fiches d'initiation de traitement, de suivi et d'arrêt définitif, et intègre les données dans sa base de suivi
- est responsable du traitement des données au sens du règlement général sur la protection des données (RGPD) ;
- collecte et analyse toutes les informations recueillies dans le cadre du PUT-SP, notamment les données d'efficacité et de pharmacovigilance. Il établit selon la périodicité définie en 1^{ère} page, le rapport de synthèse accompagné d'un projet de résumé qu'il transmet à l'ANSM et le cas échéant au CRPV en charge du suivi de l'accès compassionnel et transmet après validation par l'ANSM le résumé de ce rapport, également publié sur le site internet de l'ANSM, aux

médecins, aux pharmacies à usage intérieur concernées ainsi qu'à l'ensemble des CRPV et Centres antipoison ;

- sur demande du CRPV, lui soumet les éléments complémentaires requis,
- 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 (à pharmacovigilance@ansm.sante.fr) sans délai et le cas échéant 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 AAC (médecins, pharmaciens, patients), conformément aux GVP Module IX (*Emergent Safety Issues*) ;
- organise et finance le recueil des données dans le cadre des AAC, s'assure de l'assurance qualité et de la collecte rigoureuse et exhaustive des données ;
- s'assure du bon usage du médicament dans le cadre des AAC ;
- approvisionne en conséquence la PUI et assure le suivi de lots ;
- s'est engagé, en cas de développement en cours dans l'indication en vue d'une demande d'AMM, à demander une autorisation d'accès précoce auprès de la HAS et de l'ANSM

4. Rôle de l'ANSM

L'ANSM :

- évalue le médicament notamment les données d'efficacité, de sécurité, de fabrication et de contrôle, pour permettre son utilisation dans le cadre des AAC,
- évalue les demandes d'AAC pour chaque patient,
- valide le présent PUT-SP.

À la suite de la délivrance des AAC, l'ANSM :

- prend connaissance des informations transmises par le laboratoire ainsi que par le CRPV en charge du suivi du médicament en AAC le cas échéant et prend toute mesure utile de manière à assurer la sécurité des patients et le bon usage du médicament ;
- évalue en collaboration avec le CRPV sus cité le cas échéant les rapports périodiques de synthèse fournis par le laboratoire et publie le résumé de ces rapports ;
- informe sans délai le laboratoire et le CRPV sus cité le cas échéant en cas de signal émergent de sécurité qui lui aurait été notifié ou déclaré directement qui pourrait remettre en cause les AAC,
- modifie le PUT-SP en fonction de l'évolution des données disponibles, suspend ou retire les AAC si les conditions d'octroi ne sont plus remplies ou pour des motifs de santé publique

L'ANSM diffuse sur son site internet un référentiel des médicaments en accès dérogatoire (<https://ansm.sante.fr/documents/reference/#collapse-1>) et toutes les informations nécessaires pour un bon usage de ces médicaments, les PUT-SP correspondants ainsi que les résumés des rapports de synthèse périodiques.

5. Rôle du CRPV en charge du suivi du médicament en AAC (*à supprimer si pas de CRPV*)

Le centre régional de pharmacovigilance (CRPV) désigné en 1^{ère} page le cas échéant assure le suivi de pharmacovigilance du médicament en AAC au niveau national. Il est destinataire (via le laboratoire) des rapports périodiques de synthèse et des résumés de ces rapports. 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 avant toute prescription d'un médicament en autorisation d'accès compassionnel : nérandomilast

Cette annexe comprend :

- un document d'information sur le dispositif d'autorisation d'accès compassionnel
- une [note d'information sur le traitement des données à caractère personnel.](#)

Note d'information sur l'autorisation d'accès compassionnel

Dans le cas où le patient serait dans l'incapacité de prendre connaissance de cette information, celle-ci sera donnée 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 nérandomilast dans le cadre d'une autorisation d'accès compassionnel (AAC).

Ce document a pour objectif de vous informer sur cette prescription et ce à quoi elle vous engage. 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 compassionnel ?

Le dispositif d'autorisation d'accès compassionnel (AAC) permet la mise à disposition dérogatoire en France de médicaments ne disposant pas d'autorisation de mise sur le marché (AMM) pour le traitement de maladies graves, rares ou invalidantes. L'efficacité et la sécurité et du médicament que vous propose votre médecin sont présumées favorables par l'ANSM au vu des données disponibles.

L'objectif est de vous permettre de bénéficier de ce traitement à titre exceptionnel en faisant l'objet d'un suivi particulier au cours duquel vos données à caractère personnel concernant votre santé, le traitement et ses effets sur vous seront collectées. L'AAC s'accompagne d'un recueil obligatoire de données pour s'assurer que le médicament est sûr et efficace en conditions réelles d'utilisation et que les bénéfices du traitement restent présumés supérieurs aux risques potentiellement encourus au cours du temps.

Les données sont recueillies auprès des médecins et des pharmaciens par le laboratoire exploitant le médicament via la mise en place d'un Protocole d'Utilisation Thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP) validé par l'ANSM. Ces données sont transmises périodiquement et de manière anonyme par le laboratoire à l'ANSM afin d'évaluer le médicament le temps de sa mise à disposition en accès compassionnel.

Lorsqu'il vous est prescrit un médicament dans le cadre d'une AAC, vous ne participez pas dans un essai clinique. L'objectif principal est de vous soigner et non de tester le médicament. Vous n'avez donc pas à faire d'examens supplémentaires en plus de ceux prévus dans votre prise en charge habituelle.

L'AAC peut être suspendue ou retirée si les conditions initiales ci-dessus ne sont plus remplies, ou pour des motifs de santé publique.

Les médicaments mis à disposition dans ce cadre sont intégralement pris en charge par l'Assurance maladie, sans avance de frais de votre part.

Vous pouvez en parler avec votre médecin. N'hésitez pas à poser toutes vos questions. Il vous donnera des informations sur les bénéfices attendus de ce médicament dans votre situation mais aussi sur les incertitudes ou inconvénients (effets indésirables, contraintes de prise, etc.).

Vous êtes libre d'accepter ou de refuser la prescription de ce médicament.

En pratique, comment allez-vous recevoir ce médicament ?

Demandez des précisions à votre médecin ou reportez-vous à la notice du médicament dans sa boîte s'il y en a une.

L'utilisation de ce médicament est encadrée. Si vous prenez ce médicament chez vous, il est important :

- de respecter les conseils qui vous ont été donnés pour le prendre et le conserver (certains médicaments doivent être conservés au réfrigérateur, sont à prendre à distance ou pendant les repas, etc.) ;
- de demander des précisions sur le lieu où vous pourrez vous le procurer. Les médicaments en accès compassionnel ne sont généralement disponibles que dans des hôpitaux. Au besoin, demandez à l'équipe qui vous suit si votre médicament peut être disponible dans un hôpital près de chez vous.

Nérandomilast (BI 1015550) 9 mg, comprimés pelliculés

Comprimés pelliculés jaune clair, de forme ovale, biconvexe (d'environ 9,5 x 4,6 mm de longueur et de largeur) portant le logo de l'entreprise Boehringer Ingelheim sur une face et la mention gravée « F9 » sur l'autre face.

Nérandomilast (BI 1015550) 18 mg, comprimés pelliculés

Comprimés pelliculés rouge clair, de forme ovale, biconvexe (d'environ 12 x 5,9 mm de longueur et de largeur) portant le logo de l'entreprise Boehringer Ingelheim sur une face et la mention gravée « F18 » sur l'autre face.

Chaque kit contient 56 comprimés pelliculés.

Tenir hors de la vue et de la portée des enfants.

A conserver dans l'emballage d'origine.

Ce médicament ne nécessite pas de précautions particulières de conservation concernant la température. |

À quoi cela vous engage-t-il ? Quelles seront vos contraintes ?

Comme il existe peu de recul sur l'utilisation du médicament qui vous est proposé, son utilisation est sous surveillance et décrite en détail dans le protocole d'utilisation thérapeutique et suivi des patients (PUT-SP) disponible sur le site internet de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM).

Votre retour sur ce traitement est essentiel. C'est pourquoi votre avis sur ce médicament et les effets qu'il a sur vous sera recueilli de deux façons : à chaque consultation avec votre médecin et à tout moment entre les visites en cas d'effets indésirables.

À chaque consultation

- ➔ Votre médecin va vous poser des questions sur la façon dont vous vous sentez avec ce traitement et rassembler des données à caractère personnel sur votre santé. Pour plus de détails sur les données à caractère personnel recueillies et vos droits, vous pouvez lire le

document intitulé « Accès compassionnel d'un médicament - Traitement des données à caractère personnel » (voir en fin de document la rubrique « Pour en savoir plus »).

Chez vous, entre les consultations

Si vous ne vous sentez pas comme d'habitude ou en cas de symptôme nouveau ou inhabituel : parlez-en à votre médecin, 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 autorisation d'accès compassionnel, directement via le portail de signalement - site internet : www.signalement-sante.gouv.fr

Il est important que vous déclariez les effets indésirables du médicament, c'est-à-dire les conséquences inattendues ou désagréables du traitement que vous pourriez ressentir (douleurs, nausées, diarrhées, etc.).

Combien de temps dure une autorisation d'accès compassionnel ?

L'AAC est temporaire, dans l'attente que le médicament puisse le cas échéant disposer d'une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) et être commercialisé. La durée de validité est précisée sur l'autorisation délivrée par l'ANSM et ne peut dépasser un an. Elle peut être renouvelée sur demande du prescripteur qui jugera de la nécessité de prolonger le traitement.

Elle peut être suspendue ou retirée par l'ANSM dans des cas très particuliers, en fonction des nouvelles données, si les conditions d'octroi ne sont plus respectées ou autre motif de santé publique.

Traitement de vos données à caractère personnel

Le traitement par un médicament prescrit dans le cadre d'une AAC implique le recueil de données à caractère personnel concernant votre santé.

Vous trouverez des informations complémentaires relatives à vos droits dans la rubrique suivante : [« Accès compassionnel d'un médicament – Traitement des données à caractère personnel »](#).

Pour en savoir plus

- ➔ Notice du médicament que vous allez prendre (renvoi vers site de l'ANSM, lien à venir), (à supprimer si pas de notice)
- ➔ Protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP) de votre médicament, (lien vers le référentiel des accès dérogatoires)
- ➔ Informations générales sur les autorisations d'accès compassionnel des médicaments (<https://ansm.sante.fr/vos-demarches/professionel-de-sante/demande-dautorisation-dacces-compassionnel>)

Des associations de patients impliquées dans votre maladie peuvent vous apporter aide et soutien. Renseignez-vous auprès de l'équipe médicale qui vous suit.

| Association Fibroses Pulmonaires France - AFPF

Association des Sclérodermiques de France - ASF

Association Française des Polyarthritiques et des rhumatismes inflammatoires chroniques - AFPric
Association nationale de défense contre la polyarthrite rhumatoïde - Andar

Ce document a été élaboré par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé,
en collaboration avec le laboratoire Boehringer Ingelheim France

Note d'information destinée au prescripteur

Se référer à la note d'information au prescripteur (NIP).

Note d'information à destination des patients sur le traitement des données à caractère personnel

Un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès compassionnel (AAC) vous a été prescrit. Ceci implique un traitement de données à caractère personnel sur votre santé, c'est à dire des informations qui portent sur vous, votre santé, vos 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 [Boehringer Ingelheim France](#). Il s'agit du laboratoire exploitant le médicament en accès compassionnel.

À quoi vont servir vos données ?

Pour pouvoir relever d'une AAC un médicament doit remplir plusieurs critères : présenter plus de bénéfices que de risques et le traitement ne peut attendre que le médicament soit autorisé au titre de l'AMM. Vos données à caractère personnel et en particulier les informations sur votre réponse au traitement, permettront d'évaluer en continu si ces critères sont toujours remplis.

Vos données à caractère personnel pourront-elles être réutilisées par la suite ?

Vos données à caractère personnel, pseudo-anonymisées, pourront également être utilisées ensuite pour faire de la recherche, étude ou de l'évaluation dans le domaine de la santé.

Cette recherche se fera dans les conditions autorisées par le Règlement européen général sur la protection des données (RGPD) et la loi du 6 janvier 1978 modifiée dite loi « informatique et liberté » et après accomplissement des formalités nécessaire auprès de la CNIL. Dans ce cadre, elles pourront être utilisées de manière complémentaire avec d'autres données vous concernant. Cela signifie que vos données à caractère personnel collectées au titre de l'accès compassionnel 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 à cette réutilisation à des fins de recherche auprès du médecin qui vous a prescrit ce médicament.

Les informations relatives à une nouvelle recherche à partir de vos données seront disponibles sur le site du *Health Data Hub* qui publie un résumé du protocole de recherche pour tous les projets qui lui sont soumis : <https://www.health-data-hub.fr/projets> et à l'adresse suivante : [Registre des recherches avec traitement de données personnelles | Boehringer Ingelheim FR](#)

Sur quelle loi se fonde le traitement des données ?

Ce traitement de données est fondé sur une obligation légale à la charge de l'industriel, responsable du traitement, (article 6.1.c du [RGPD](#)) telle que prévue aux articles [L. 5121-12-1 et suivants du Code de la santé publique](#) relatifs au dispositif d'accès compassionnel.

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 et le pharmacien qui vous 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 : numéro, les trois premières lettres de votre nom et les deux premières lettres de votre prénom, sexe, poids, taille, âge ou année et mois de naissance
- les informations relatives à votre état de santé : notamment l'histoire de votre maladie, vos antécédents personnels, vos autres maladies ou traitements ;
- les informations relatives aux conditions d'utilisation du médicament impliquant notamment : l'identification des professionnels de santé vous prenant en charge (médecins prescripteurs et pharmaciens dispensateurs, etc.), vos autres traitements, 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 désagréables du traitement que vous pourriez ressentir : douleur, nausées, diarrhées, etc.) ;
- les motifs des éventuels arrêts de traitement.

Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités de [Boehringer Ingelheim France](#) et ses éventuels sous-traitants (société de recherche sous contrat) sous une forme pseudo-anonymisées. Vous ne serez identifié que par les trois premières lettres de votre nom et les deux premières lettres de votre prénom, ainsi que par votre âge.

Vos données pourront également être transmises au personnel habilité des autres sociétés du groupe [Boehringer Ingelheim](#) auquel appartient [Boehringer Ingelheim 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 [Boehringer Ingelheim France](#) à l'ANSM ainsi qu'au centre régional de pharmacovigilance désigné en charge du suivi du médicament le cas échéant.

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.

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.

À cette fin, le laboratoire met en place les garanties nécessaires 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.

SCC, Standard Contractual Clauses seront mises en place si nécessaire |

Vous avez le droit de demander une copie de ces garanties au laboratoire pharmaceutique |Boehringer Ingelheim France|.

Combien de temps sont conservées vos données ?

Vos données à caractère personnel sont conservées pendant une durée de |conforme à la durée légale| pour une utilisation active. Les données seront ensuite archivées durant |conformément à la durée légale de conservation|. À l'issue de ces délais, vos données seront supprimées ou anonymisées.

Les données seront-elles publiées ?

L'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé publie sur son 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.

Quels sont vos droits et vos recours possibles ?

Le médecin qui vous a prescrit le médicament est votre premier interlocuteur pour faire valoir vos droits sur vos données à caractère personnel.

Vous pouvez demander à ce médecin :

- à consulter vos données à caractère personnel;
- à les modifier ;
- à limiter le traitement de certaines données.

Si vous acceptez d'être traité par un médicament dispensé dans le cadre d'AAC, vous ne pouvez pas vous opposer à la transmission des données listées ci-dessus ou demander leur suppression. Le droit à l'effacement et le droit à la portabilité ne sont également pas applicables à ce traitement.

Vous pouvez cependant vous opposer à la réutilisation de vos données pour de la recherche.

Vous pouvez contacter directement votre médecin pour exercer ces droits.

Vous pouvez, par ailleurs, contacter le délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire à l'adresse suivante protection_donnees@boehringer-ingelheim.com pour exercer ces droits, ce qui implique la transmission de votre identité au laboratoire.

Vous pouvez également faire une réclamation à 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-SP auprès du laboratoire.

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 le portail de signalement : www.signalement-sante.gouv.fr en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'une autorisation d'accès compassionnel.

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.

|