



## Description des variables du SDM-T

**Accès précoce**  
**SKYCLARYS<sup>®</sup> (omaveloxolone)**

Décembre 2023

# Table des matières

<b>Table des abréviations</b> .....	<b>5</b>
<b>Informations générales</b> .....	<b>5</b>
1. Contexte de prescription .....	5
1.1. Contexte de prescription* .....	5
2. Identification .....	5
2.1. N° accès précoce* .....	5
<b>Fiche d'accès au traitement</b> .....	<b>6</b>
1. Demande.....	6
1.1. Date de la demande* .....	6
1.2. Traitement déjà débuté dans le cadre d'un accès compassionnel ou dans une autre situation* .....	6
2. Etat du patient .....	6
2.1. Score SARA à l'inclusion* .....	6
2.2. Date du score SARA à l'inclusion* .....	6
2.3. Traitements antérieurs pour la même maladie rare* .....	6
2.4. Traitements concomitants en lien avec la même maladie rare et/ou soins de support* ...	7
2.5. Comorbidités* .....	7
2.6. Taille du patient (cm) .....	7
2.7. Poids du patient (kg)* .....	7
3. Biologie .....	7
3.1. ALAT (UI/L)* .....	7
3.2. Date du dosage ALAT* .....	8
3.3. ASAT (UI/L)* .....	8
3.4. Date du dosage ASAT* .....	8
3.5. Biomarqueur* .....	8
3.6. Valeur du biomarqueur* .....	8
3.7. Date de dosage du biomarqueur* .....	8
4. Traitement .....	8
4.1. Posologie envisagée* .....	8
4.1.1. Dose* .....	9
4.1.2. Fréquence* .....	9
4.1.2.1. Fréquence à préciser .....	9
4.2. Administration unique .....	9
4.3. Durée envisagée du traitement* .....	9
5. Engagement du prescripteur.....	9
5.1. Nom du prescripteur* .....	9
5.2. Le patient remplit les critères d'éligibilité et ne remplit aucun des critères de non-éligibilité* .....	9
5.3. Les documents d'information du PUT-RD ont été remis au patient qui a été informé de la collecte de ses données à caractère personnel* .....	10
<b>Fiche d'instauration de traitement</b> .....	<b>11</b>
1. Maladie et biologie .....	11

1.1.	<i>Date de la visite d'instauration du traitement*</i> .....	11
1.2.	<i>Survenue de modifications majeures (maladie ou biologie) depuis la demande d'accès précoce *</i> .....	11
1.3.	<b>Précision des modifications majeures *</b> .....	11
2.	Engagement du prescripteur .....	11
2.1.	<i>Le patient remplit toujours les critères d'éligibilité à l'accès précoce et tous les prérequis (test/imagerie/contraception/remise du matériel éducationnel) ont été réalisés si applicables, conformément au RCP*</i> .....	12
3.	Traitement .....	12
3.1.	<i>Date de 1ère administration ou d'instauration de traitement*</i> .....	12
3.2.	<i>Administration d'une posologie différente de celle renseignée sur la fiche d'accès au traitement*</i> .....	12
3.2.1.	<b>Posologie administrée</b> .....	12
3.2.2.	<i>Dose*</i> .....	12
3.2.3.	<i>Fréquence*</i> .....	12
3.2.4.	<i>Raison de la modification de la posologie</i> .....	12
3.2.5.	<i>Administration unique</i> .....	13
3.2.6.	<i>Durée envisagée du traitement*</i> .....	13
4.	Etat du patient .....	13
4.1.	<i>Modification des traitements concomitants depuis la fiche d'accès au traitement*</i> .....	13
4.2.	<i>Traitements concomitants modifiés en lien avec la même maladie rare et/ou soins de support*</i> .....	13
5.	Critères d'efficacité .....	13
5.1.	<b>Évaluation du score SARA</b> .....	13
5.2.	<i>Date du score SARA à l'inclusion*</i> .....	14
5.3.	<i>Évaluation de la qualité de vie du patient (SF-12)*</i> .....	14
6.	Effet(s) indésirable(s)/ Situation(s) particulière(s) .....	14
6.1.	<i>Survenue d'événement(s) indésirable(s) immédiat(s) ou d'une situation particulière à déclarer *</i> .....	14
6.2.	<i>Description clinique de l'événement indésirable ou de la situation particulière*</i> .....	14
	<b>Fiche de suivi</b> .....	<b>15</b>
1.	Date .....	15
1.1.	<b>Visite correspondant à*</b> .....	15
1.2.	<i>Date du suivi*</i> .....	15
2.	Arrêt définitif .....	15
2.1.	<i>Arrêt définitif du médicament*</i> .....	15
2.2.	<i>Date de l'arrêt*</i> .....	15
2.3.	<i>Raisons de l'arrêt définitif*</i> .....	15
2.3.1.	<i>Date du décès*</i> .....	16
2.3.2.	<i>Raison du décès*</i> .....	16
2.3.3.	<i>Autre raison du décès</i> .....	16
2.3.4.	<i>Nouveau médicament*</i> .....	17
2.3.5.	<i>Raisons du changement de médicament*</i> .....	17
2.4.	<i>Posologie à l'arrêt différente de la dernière visite</i> .....	17
2.5.	<i>Posologie administrée</i> .....	17
2.6.	<i>Dose*</i> .....	17
2.7.	<i>Fréquence*</i> .....	18
3.	Modification du traitement .....	18
3.1.	<i>Modification du traitement*</i> .....	18

3.2.	Type de modification*	18
3.3.	Raisons de l'interruption*	18
3.4.	Intervalle d'interruption*	19
3.5.	Poids du patient à la date du changement	19
3.6.	Précisez la posologie administrée*	19
3.7.	Dose*	19
3.8.	Fréquence*	19
3.9.	Administration unique	19
3.10.	Durée envisagée du traitement*	20
3.11.	Raisons du changement de posologie*	20
4.	Etat du patient	20
4.1.	Survenue de modifications majeures (maladie ou biologie) depuis la dernière visite *	20
4.2.	Précision des modifications majeures*	20
4.3.	Traitements concomitants modifiés depuis la dernière visite*	21
4.4.	Traitements concomitants modifiés en lien avec la même maladie rare et/ou soins de support*	21
5.	Critère d'efficacité	22
5.1.	Évaluation du score SARA	22
5.2.	Date du score SARA à l'inclusion*	22
5.3.	Évaluation de la qualité de vie du patient (SF-12)*	22
6.	Effet(s) indésirable(s)/ Situation(s) particulière(s)	22
6.1.	Survenue d'évènement(s) indésirable(s) ou d'une situation particulière à déclarer depuis la dernière visite*	22
6.2.	Nombre d'évènements indésirables	22
6.3.	Description clinique de l'évènement indésirable	22
	<b>Qualité de vie</b>	<b>23</b>

## Légende :

\* : requis pour qu'un dossier soit valide

Xxx : items du SDM-T personnalisés pour le médicament

ⓘ : indications sur l'usage possible de l'information recueillie

💡 : astuces pour mieux utiliser l'application

| Item : item conditionnel

*Nota : Les items sont obligatoires ou requis que s'ils sont visibles, c'est-à-dire si le bloc d'informations qui les concerne est créé.*

## Table des abréviations

AMM	Autorisation de Mise sur le Marché
ANSM	Agence Nationale de Sécurité des Médicaments et des Produits de Santé
CIM 10	Classification Internationale des Maladies, version 10
CPC	Cadre de Prescription Compassionnelle
DCI	Dénomination Commune Internationale
HAS	Haute Autorité de Santé
HPO	<i>Human Phenotype Ontology</i>
PUT-RD	Protocole d'utilisation Thérapeutique et de Recueil de Données
RCP	Résumé des Caractéristiques du Produit
SDM-T	Set de Données Minimum Traitement
SF-12	Short Form 12
UNK	<i>Unknown (inconnu)</i>

## Informations générales

### 1. Contexte de prescription

#### 1.1. Contexte de prescription\*

- **Accès précoce** : le médicament a reçu de la part des autorités de santé (HAS, ANSM) une autorisation d'accès précoce pré-AMM (AP1) ou post-AMM (AP2) pour cette indication

*N.B. : Ce champ est pré-rempli et non modifiable*

### 2. Identification

#### 2.1. N° accès précoce\*

Numéro d'identification du patient (code alphabétique ou alphanumérique) fourni par le laboratoire.

*N.B. : Le champ apparaît une fois que la Fiche d'accès au traitement est complétée. Le numéro d'accès précoce est nécessaire pour pouvoir avoir accès ensuite à la fiche d'instauration.*

# Fiche d'accès au traitement

## 1. Demande

---

### 1.1. Date de la demande\*

Date à laquelle le prescripteur du médicament effectue la demande d'accès au traitement en accès précoce pour un patient donné, au format jj/mm/aaaa.

### 1.2. Traitement déjà débuté dans le cadre d'un accès compassionnel ou dans une autre situation\*

Le traitement a déjà débuté pour ce patient avant l'accès précoce :

- **Oui** : le patient a déjà bénéficié de ce traitement dans le cadre d'un accès compassionnel ou dans une autre situation (ex : essai clinique)
- **Non** : le patient n'a jamais bénéficié de ce traitement

## 2. Etat du patient

---

### 2.1. Score SARA à l'inclusion\*

Valeur numérique du score du test SARA à réaliser au moment de l'inclusion ou réalisé au maximum un mois auparavant.

### 2.2. Date du score SARA à l'inclusion\*

Date à laquelle le test SARA a été réalisé, au format jj/mm/aaaa.

### 2.3. Traitements antérieurs pour la même maladie rare\*

Tableau à compléter. Les soins de supports ne sont pas à lister dans ce tableau.

- **Traitement antérieur\*** : Nom du médicament (nom commercial ou substance active (DCI) du thésaurus Thériaque) pour la même maladie rare que le patient a pris dans le passé et qu'il a arrêté avant la demande d'accès précoce
- **Date de début\*** : date à laquelle le patient a débuté le traitement antérieur
- **Date d'arrêt\*** : date à laquelle le patient a arrêté le traitement antérieur
- **Aucun** : le patient n'a eu aucun traitement pour la même maladie rare avant la demande d'accès précoce

*Si la date n'est pas connue précisément, vous avez la possibilité d'indiquer UNK (pour unknown, inconnu) pour le jour, le mois et/ou l'année.*

## 2.4. Traitements concomitants en lien avec la même maladie rare et/ou soins de support\*

Tableau à compléter. Les soins de supports peuvent être indiqués ici.

- **Traitement concomitant\*** : Nom du médicament (nom commercial ou substance active du thésaurus Thériaque) pour la même maladie rare que le patient prend au moment de la demande d'accès précoce
- **Date de début\*** : date à laquelle le patient a débuté le traitement concomitant
- **Dose journalière moyenne** : estimation de la dose quotidienne reçue par le patient, en tenant compte de la fréquence et de la durée. L'unité est à préciser.
- **Aucun** : aucun traitement concomitant n'est en cours au moment de la demande d'accès précoce

*Si la date n'est pas connue précisément, vous avez la possibilité d'indiquer UNK (pour unknown, inconnu) pour le jour, le mois et/ou l'année.*

## 2.5. Comorbidités\*

Indiquer la ou les comorbidités que présente le patient lors de la demande d'accès précoce selon la liste personnalisée suivante :

- **Patient non ambulatoire** : le patient n'est pas en capacité de se déplacer
- **Cardiopathie** : le patient présente une cardiopathie
- **Pes cavus** : le patient présente un pied creux caractérisé par une voûte plantaire courbée en arc et peu flexible
- **Aucune** : le patient ne présente aucune comorbidité à la date de la demande d'accès précoce

## 2.6. Taille du patient (cm)

Taille du patient à la date de la demande, en centimètres (renseigner une valeur numérique comprise entre 1 et 250 cm).

## 2.7. Poids du patient (kg)\*

Poids du patient à la date de la demande, en kilogrammes (renseigner une valeur numérique comprise entre 1 et 500 kg).

# 3. Biologie

---

## 3.1. ALAT (UI/L)\*

Valeur numérique correspondante au résultat du dosage des ALAT en UI/L.

### 3.2. Date du dosage ALAT\*

Date de réalisation du dosage des ALAT, au format jj/mm/aaaa.

L'examen devra avoir été réalisé au maximum 1 mois auparavant.

*Valeurs acceptées dans le cadre de l'accès précoce du Skyclarys : 1 à 175 UI/L.*

### 3.3. ASAT (UI/L)\*

Valeur numérique correspondante au résultat du dosage des ASAT en UI/L

*Valeurs acceptées dans le cadre de l'accès précoce du Skyclarys : 1 à 150 UI/L.*

### 3.4. Date du dosage ASAT\*

Date de réalisation du dosage des ALAT, au format jj/mm/aaaa.

L'examen devra avoir été réalisé au maximum 1 mois auparavant.

### 3.5. Biomarqueur\*

Indiquer le biomarqueur selon la liste personnalisée suivante :

- **BNP** : *Brain Natriuretic Neptide* ou peptide natriurétique de type B
- **Pro BNP** : *Pro-Brain Natriuretic Peptide* ou pro-peptide natriurétique de type B

### 3.6. Valeur du biomarqueur (pg/mL)\*

Valeur numérique correspondante au résultat du biomarqueur en pg/ml.

*Valeurs acceptées dans le cadre de l'accès précoce du Skyclarys : BNP :1 à 200 pg/ml ; ProBNP : 1 à 350 pg/ml.*

### 3.7. Date de dosage du biomarqueur\*

Date de réalisation du dosage du biomarqueur, au format jj/mm/aaaa.

L'examen devra avoir été réalisé au maximum 1 mois auparavant.

## 4. Traitement

---

### 4.1. Posologie envisagée\*

Indiquer la posologie prescrite selon la liste personnalisée suivante :

- **150 mg une fois par jour (3 gélules de 50 mg)**
- **Autre**



Si Autre :

#### 4.1.1. Dose\*

Indiquer la dose exprimée en mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, ou autre unité (à préciser)

#### 4.1.2. Fréquence\*

Indiquer la fréquence envisagée du traitement selon la liste personnalisée suivante :

- **Tous les jours** : le traitement est pris une fois par jour
- **1 jour sur deux** : le traitement est pris une fois tous les deux jours
- **Autre**

Si Autre :

##### 4.1.2.1. Fréquence à préciser

Préciser toute autre fréquence prescrite

## 4.2. Administration unique

Cocher cette case en cas d'administration unique

## 4.3. Durée envisagée du traitement\*

Préciser la durée envisagée du traitement en accès précoce, exprimée en jour(s) ou semaine(s) ou mois, ou encore en administration unique.

# 5. Engagement du prescripteur

---

*Pour être éligible à l'accès précoce, le patient doit remplir l'ensemble des critères d'éligibilité et aucun des critères de non éligibilité listés dans le PUT-RD*

### 5.1. Nom du prescripteur\*

Renseigner le nom du médecin prescripteur du traitement par Skyclaris.

### 5.2. Le patient remplit les critères d'éligibilité et ne remplit aucun des critères de non-éligibilité\*

En cochant cette case, le médecin prescripteur engage sa responsabilité.



*Si, au regard de ces critères, le patient n'est pas éligible à l'accès précoce, le prescripteur peut, par l'intermédiaire du pharmacien de l'établissement de santé, faire d'emblée une demande d'autorisation d'accès compassionnel auprès de l'ANSM en justifiant la demande.*

### 5.3. Les documents d'information du PUT-RD ont été remis au patient qui a été informé de la collecte de ses données à caractère personnel\*

- **Oui** : le prescripteur a remis les documents d'information au patient (disponibles en annexe 3 du PUT-RD) et certifie que le patient a été informé de la collecte de ses données à caractère personnel
- **Non** : le prescripteur n'a pas remis les documents d'information au patient

① Si le prescripteur n'a pas remis les documents d'information au patient, la demande d'accès précoce ne peut pas être générée.

💡 *Une note d'information à destination des médecins prescripteurs et des pharmaciens sur le traitement de leurs données à caractère personnel est également disponible en annexe 3 du PUT-RD.*

# Fiche d'instauration de traitement

## 1. Maladie et biologie

### 1.1. Date de la visite d'instauration du traitement\*

Date à laquelle le praticien a vu le patient pour instaurer le traitement.

### 1.2. Survenue de modifications majeures (maladie ou biologie) depuis la demande d'accès précoce \*

- **Oui** : des modifications majeures de l'état du patient sont survenues depuis la demande d'accès précoce
- **Non** : aucune modification majeure de l'état du patient n'est survenue depuis la demande d'accès précoce

Si oui :

### 1.3. Précision des modifications majeures \*

Indiquer la raison de la modification selon la liste personnalisée suivante :

- ASAT > 5 fois la limite supérieure de la normale
- Taux de bilirubine > 2 fois la limite supérieure de la normale
- Patient présentant une atteinte hépatique modérée ou sévère (classes B et C sur la classification de Child-Pugh)
- Administration concomitante d'inhibiteurs puissants du CYP3A4 tels que : itraconazole, pamplemousse ou millepertuis (liste non exhaustive)
- Grossesse et allaitement
- Hypersensibilité au principe actif omaveloxolone ou à l'un des excipients mentionnés à la rubrique 6.1 du RCP
- Perte de poids non expliquée ou significative définie par une perte de poids de 5% dans les 6 à 12 mois
- Présence d'une cardiopathie gauche cliniquement significative et/ou d'une cardiomyopathie légère à modérée en raison de l'AF. La cardiomyopathie doit être confirmée par une échocardiographie ou ECG
- BNP > 200 pg/mL

## 2. Engagement du prescripteur

*Pour être éligible à l'accès précoce, le patient doit remplir l'ensemble des critères d'éligibilité et aucun des critères de non éligibilité listés dans le PUT-RD*

## 2.1. Le patient remplit toujours les critères d'éligibilité à l'accès précoce et tous les prérequis (test/imagerie/contraception/remise du matériel éducationnel) ont été réalisés si applicables, conformément au RCP\*

Engagement du prescripteur sur le fait que le patient peut toujours recevoir le traitement et que tous les prérequis au traitement ont été réalisés.

## 3. Traitement

### 3.1. Date de 1ère administration ou d'instauration de traitement\*

Date à laquelle le patient s'est vu administrer le traitement ou date à laquelle il a commencé à le prendre pour la première fois.

### 3.2. Administration d'une posologie différente de celle renseignée sur la fiche d'accès au traitement\*

L'administration à l'instauration est-elle différente de celle renseignée sur la fiche d'accès au traitement ?

- **Oui** : la posologie administrée est différente de celle indiquée dans la fiche d'accès au traitement
- **Non** : la posologie administrée est identique de celle indiquée dans la fiche d'accès au traitement

Si oui :

#### 3.2.1. Posologie administrée\*

- **Posologie 1 du RCP** : 150 mg une fois par jour (3 gélules de 50 mg)
- **Autre** : posologie non définie dans le RCP

Si Autre :

#### 3.2.2. Dose\*

Dose exprimée en mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, ou autre unité (à préciser)

#### 3.2.3. Fréquence\*

Fréquence envisagée du traitement

- **Tous les jours** : le traitement est pris une fois par jour
- **1 jour sur deux** : le traitement est pris une fois tous les deux jours
- **Autre**

Si Autre :

Fréquence à préciser

#### 3.2.4. Raison de la modification de la posologie\*

Choix multiple : souhait du patient ou condition médicale ou progression maladie ou grossesse

### 3.2.5. Administration unique

Cocher cette case en cas d'administration unique

### 3.2.6. Durée envisagée du traitement\*

Précision de la durée envisagée du traitement en accès précoce : administration unique ou durée exprimée en jour(s) ou semaine(s) ou mois.

## 4. Etat du patient

---

### 4.1. Modification des traitements concomitants depuis la fiche d'accès au traitement\*

Des modifications des traitements concomitants ont-elles été effectuées depuis la demande d'accès précoce au traitement ?

- **Oui** : des modifications des traitements concomitants ont eu lieu depuis la demande d'accès au traitement. Cela peut concerner un changement de posologie ou l'arrêt d'un traitement déjà renseigné ou l'ajout d'un nouveau traitement.
- **Non** : les traitements concomitants restent inchangés depuis la demande d'accès au traitement

*Si oui :*

### 4.2. Traitements concomitants modifiés en lien avec la même maladie rare et/ou soins de support\*

Tableau à compléter. Les soins de supports peuvent être indiqués ici.

- **Traitement concomitant\*** : Nom du médicament (nom commercial ou substance active (DCI) du thésaurus Thériaque) pour la même maladie rare que le patient prend au moment de l'instauration du traitement
- **Date de début\*** : date à laquelle le patient a débuté le traitement concomitant
- **Date d'arrêt\*** : si un traitement concomitant a été arrêté depuis la demande d'accès au traitement, date à laquelle le patient a arrêté le traitement concomitant
- **Dose journalière moyenne** : estimation de la dose quotidienne reçue par le patient, en tenant compte de la fréquence et de la durée. L'unité est à préciser.
- **Aucun** : aucun traitement concomitant n'est en cours

*Si la date n'est pas connue précisément, vous avez la possibilité d'indiquer UNK (pour unknown, inconnu) pour le jour, le mois et/ou l'année.*

## 5. Critères d'efficacité

---

### 5.1. Évaluation du score SARA\*

Valeur numérique du score du test SARA au moment de l'instauration.

## 5.2. Date du score SARA à l'inclusion\*

Date à laquelle le test SARA a été réalisé.

## 5.3. Évaluation de la qualité de vie du patient (SF-12)\*

Remettre le questionnaire SF12 au patient du test SF12 à son arrivée dans la salle d'attente ou dans la salle de consultation pour le compléter et ensuite reporter ses réponses dans BaMaRa.

# 6. Effet(s) indésirable(s)/ Situation(s) particulière(s)

---

## 6.1. Survenue d'événement(s) indésirable(s) immédiat(s) ou d'une situation particulière à déclarer \*

Des événements indésirables ou situations particulières sont-ils survenus immédiatement après la première administration du traitement selon la classification HPO.

- **Oui** : immédiatement après la première administration du traitement, des événements indésirables ou situations particulières sont survenus.

*Pour les AP pré-AMM : Procéder à la déclaration via la fiche de déclaration du laboratoire <https://www.cevidra.com/aap-omav/>*

*Pour les AP post-AMM : Procéder à la déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>*

- **Non** : aucun événement indésirable ou situation particulière ne sont survenus immédiatement après la première administration du traitement.

## 6.2. Description clinique de l'événement indésirable ou de la situation particulière\*

Description de l'événement indésirable ou de la situation particulière avec le référentiel HPO.

# Fiche de suivi

## 1. Date

### 1.1. Visite correspondant à\*

Etape du calendrier des visites détaillé dans le PUT-RD à laquelle correspond la visite selon la liste personnalisable suivante :

- **Arrêt définitif** : le traitement a été arrêté et cet arrêt est rapporté en dehors d'une visite programmée
- **Décès** : le patient est décédé et ce décès est rapporté en dehors d'une visite programmée
- **M3** : visite réalisée 3 mois après l'instauration du traitement
- **M6** : visite réalisée 6 mois après l'instauration du traitement
- **M12** : visite réalisée 12 mois après l'instauration du traitement
- **M18** : visite réalisée 18 mois après l'instauration du traitement
- **M24** : visite réalisée 24 mois après l'instauration du traitement
- **M30** : visite réalisée 30 mois après l'instauration du traitement
- **M36** : visite réalisée 36 mois après l'instauration du traitement
- **Non réalisée** : la visite n'a pas pu être réalisée et ne le sera pas

### 1.2. Date du suivi\*

Date de la visite de suivi du patient auprès du médecin prescripteur au format jj/mm/aaaa.

## 2. Arrêt définitif

### 2.1. Arrêt définitif du médicament\*

Le traitement a-t-il été définitivement arrêté pour le patient ?

- **Oui** : le traitement a été définitivement arrêté
- **Non** : le traitement n'a pas été définitivement arrêté

*Si oui*

### 2.2. Date de l'arrêt\*

| Date à laquelle le patient a définitivement arrêté le traitement

### 2.3. Raisons de l'arrêt définitif\*

| Raisons qui ont conduit à l'arrêt définitif du traitement chez le patient :

- **Fin de traitement (définie dans le RCP)** : le patient a terminé le traitement selon la durée prévue par le RCP
- **Changement de traitement (nouveau médicament)** : le traitement en accès précoce a été arrêté au profit d'un autre médicament

- **Déménagement ou changement de centre de référence/compétence** : le patient n'est plus suivi par le centre de prise en charge qui a prescrit le traitement en accès précoce
- **Souhait du patient** : le patient a exprimé son souhait d'arrêter définitivement le traitement
- **Patient perdu de vue** : le centre de prise en charge n'a plus de contact avec le patient
- **Problèmes d'observance** : le patient n'a pas pris le traitement selon la prescription du médecin
- **Patient ne remplissant plus les critères d'éligibilité** : le patient ne remplit plus les critères d'éligibilité à l'accès précoce du médicament concerné (listés dans le PUT-RD) ou remplit désormais au moins l'un des critères de non éligibilité
- **Condition médicale (infection, chirurgie, autres, ...)** : le traitement a dû être arrêté suite à la survenue d'une condition médicale particulière chez le patient
- **Effet thérapeutique non satisfaisant** : le traitement n'a pas donné un effet thérapeutique satisfaisant chez le patient
- **Progression de la maladie** : la pathologie pour laquelle le médicament en accès précoce est prescrit s'est aggravée
- **Grossesse** : la patiente est enceinte
- **Événement indésirable suspecté d'être lié au médicament** : suite à la prise du traitement, le patient a subi un ou des événements indésirables suspectés d'être liés à celui-ci
- **Décès** : le patient est décédé
- **Autre** : une autre raison a causé l'arrêt définitif du traitement (à préciser dans le champ texte)

### Si Décès

#### 2.3.1. Date du décès\*

Date à laquelle le (la) patient(e) est décédé(e).

#### 2.3.2. Raison du décès\*

Identification de la raison du décès :

- **Décès lié à un effet indésirable** : le patient est décédé d'un effet indésirable du traitement
- **Décès lié à la progression de la maladie** : le patient est décédé suite à la progression de la maladie rare pour laquelle il recevait le traitement en accès précoce
- **Autre raison** : une autre raison explique le décès

#### 2.3.3. Autre raison du décès

Précision de la raison autre du décès avec le référentiel CIM-10.



### Si changement de traitement (nouveau médicament)

#### 2.3.4. Nouveau médicament\*

Nom du médicament (nom commercial ou substance active (DCI) du référentiel Thériaque) que le patient prend désormais.

#### 2.3.5. Raisons du changement de médicament\*

Raisons qui ont conduit au changement de médicament :

- **Souhait du patient** : le patient a exprimé son souhait d'arrêter le traitement en accès précoce.
- **Problèmes d'observance** : le patient n'a pas pris le traitement selon la prescription du médecin
- **Patient ne remplissant plus les critères d'éligibilité** : le patient ne remplit plus les critères d'éligibilité à l'accès précoce du médicament concerné (listés dans le PUT-RD) ou remplit au moins l'un des critères de non éligibilité
- **Effet thérapeutique non satisfaisant** : le traitement n'a pas donné un effet thérapeutique satisfaisant chez le patient
- **Progression de la maladie** : la pathologie pour laquelle le médicament en accès précoce est prescrit s'est aggravée
- **Grossesse** : la patiente est enceinte
- **Événement indésirable suspecté d'être lié au médicament** : suite à la prise du traitement, le patient a subi un ou des événements indésirables suspectés d'être liés à celui-ci
- **Autre** : une autre raison a entraîné le changement de médicament (à préciser dans le champ texte)

#### 2.4. Posologie à l'arrêt différente de la dernière visite\*

La posologie lors de l'arrêt du traitement chez le patient est-elle différente de celle indiquée lors de la dernière visite ?

Si oui :

#### 2.5. Posologie administrée\*

- **Posologie 1 du RCP** : 150 mg une fois par jour
- **Autre** :

Si Autre :

#### 2.6. Dose\*

Dose exprimée en mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, ou autre unité (à préciser)

## 2.7. Fréquence\*

Fréquence à laquelle le traitement doit être pris.

- **Tous les jours** : le traitement est pris une fois par jour
- **1 jour sur deux** : le traitement est pris une fois tous les deux jours
- **Autre**

*Si Autre :*

Fréquence à préciser

## 3. Modification du traitement

---

### 3.1. Modification du traitement\*

Le traitement a-t-il été modifié depuis la dernière visite du patient ?

- **Oui** : une modification a été apportée au traitement (arrêt temporaire ou interruption, changement de posologie...)
- **Non** : aucune modification n'a été apportée au traitement

*Si oui*

### 3.2. Type de modification\*

Quel type de modification de traitement a été fait ?

- **Interruption/arrêt temporaire** : le traitement a été stoppé pour un temps donné
- **Changement de posologie** : la posologie a été modifiée
- **Autre** : autre modification de traitement (à préciser dans le champ texte)

### *Si Interruption/arrêt temporaire*

---

### 3.3. Raisons de l'interruption\*

Raisons qui ont conduit à l'interruption / arrêt temporaire du médicament chez le patient :

- **Déménagement ou changement de centre de référence/compétence** : le traitement a été interrompu le temps d'adapter les modalités de prise en charge du patient
- **Souhait du patient** : le patient a exprimé son souhait d'interrompre temporairement le traitement
- **Problèmes d'observance** : le patient n'a pas pris le traitement selon la prescription du médecin
- **Condition médicale (infection, chirurgie, autres, ...)** : le traitement a dû être arrêté temporairement suite à la survenue d'une condition médicale particulière chez le patient
- **Effet thérapeutique non satisfaisant** : le traitement ne donnait pas un effet thérapeutique satisfaisant chez le patient

- **Progression de la maladie** : la pathologie pour laquelle le médicament en accès précoce est prescrit s'est aggravée
- **Grossesse** : la patiente est enceinte
- **Événement indésirable suspecté d'être lié au médicament** : suite à la prise du traitement, le patient a subi un ou plusieurs événements indésirables suspectés d'être liés à celui-ci
- **Autre** : une autre raison a causé l'arrêt temporaire du traitement (à préciser dans le champ texte)

### 3.4. Intervalle d'interruption\*

- **Début** : Date de l'interruption du traitement
- **Fin** : Date de la reprise du traitement

### *Si changement de posologie*

---

### 3.5. Poids du patient à la date du changement\*

Poids du patient à la date du changement de posologie, en kilogrammes.

### 3.6. Précisez la posologie administrée\*

- **Posologie 1 du RCP** : 150 mg une fois par jour
- **Autre** : posologie non définie dans le RCP

*Si Autre* :

### 3.7. Dose\*

| Dose exprimée en mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, ou autre unité (à préciser)

### 3.8. Fréquence\*

| Fréquence à laquelle le traitement doit être pris.

- **Tous les jours** : le traitement est pris une fois par jour
- **1 jour sur deux** : le traitement est pris une fois tous les deux jours
- **Autre**

*Si Autre* :

| Fréquence à préciser

### 3.9. Administration unique

Cocher cette case en cas d'administration unique

### 3.10. Durée envisagée du traitement\*

Précision de la durée envisagée du traitement en accès précoce : administration unique ou durée exprimée en jour(s) ou semaine(s) ou mois

### 3.11. Raisons du changement de posologie\*

Raisons qui ont conduit au changement de posologie du médicament chez le patient :

- **Souhait du patient** : le patient a exprimé son souhait de modifier la posologie
- **Problèmes d'observance** : le patient n'a pas pris le traitement selon la posologie prescrite
- **Condition médicale (infection, chirurgie, autres, ...)** : la posologie du traitement a dû être modifiée suite à la survenue d'une condition médicale particulière chez le patient
- **Effet thérapeutique non satisfaisant** : le traitement ne donnait pas un effet thérapeutique satisfaisant chez le patient
- **Progression de la maladie** : la pathologie pour laquelle le médicament en accès précoce est prescrit s'est aggravée
- **Grossesse** : la patiente est enceinte
- **Événement indésirable suspecté d'être lié au médicament** : suite à la prise du traitement, le patient a subi un ou plusieurs événements indésirables suspectés d'être liés à celui-ci
- **Autre** : une autre raison a conduit au changement de posologie (à préciser dans le champ texte)

## 4. Etat du patient

---

### 4.1. Survenue de modifications majeures (maladie ou biologie) depuis la dernière visite\*

Des modifications majeures de l'état du patient sont-elles survenues depuis la dernière visite du patient ?

- **Oui** : des modifications majeures de l'état du patient sont survenues depuis la dernière visite du patient
- **Non** : aucune modification majeure de l'état du patient n'est survenue depuis la dernière visite du patient

*Si oui :*

### 4.2. Précision des modifications majeures\*

Renseigner la raison des modifications majeures survenues depuis la dernière visite du patient selon la liste personnalisée suivante :

- ASAT > 5 fois la limite supérieure de la normale
- Taux de bilirubine > 2 fois la limite supérieure de la normale

- Patient présentant une atteinte hépatique modérée ou sévère (classes B et C sur la classification de Child-Pugh)
- Administration concomitante d'inhibiteurs puissants du CYP3A4 tels que : itraconazole, pamplémousse ou millepertuis (liste non exhaustive)
- Grossesse et allaitement
- Hypersensibilité au principe actif omaveloxolone ou à l'un des excipients mentionnés à la rubrique 6.1 du RCP
- Perte de poids non expliquée ou significative définie par une perte de poids de 5% dans les 6 à 12 mois
- Présence d'une cardiopathie gauche cliniquement significative et/ou d'une cardiomyopathie légère à modérée en raison de l'AF. La cardiomyopathie doit être confirmée par une échocardiographie ou ECG
- BNP > 200 pg/mL

#### 4.3. Traitements concomitants modifiés depuis la dernière visite\*

Des modifications des traitements concomitants ont-elles été effectuées depuis la dernière visite du patient ?

- **Oui** : des modifications des traitements concomitants ont eu lieu depuis la dernière visite du patient. Cela peut concerner un changement de posologie ou l'arrêt d'un traitement déjà renseigné ou l'ajout d'un nouveau traitement.
- **Non** : les traitements concomitants restent inchangés depuis la dernière visite du patient

*Si oui :*

#### 4.4. Traitements concomitants modifiés en lien avec la même maladie rare et/ou soins de support\*

Tableau à compléter. Les soins de supports peuvent être indiqués ici.

- **Traitement concomitant\*** : Nom du médicament (nom commercial ou substance active (DCI) du thésaurus Thériaque) pour la même maladie rare que le patient prend au moment de l'instauration du traitement
- **Date de début\*** : date à laquelle le patient a débuté le traitement concomitant
- **Date d'arrêt** : date à laquelle le patient a arrêté le traitement concomitant
- **Dose journalière moyenne** : estimation de la dose quotidienne reçue par le patient, en tenant compte de la fréquence et de la durée. L'unité est à préciser.
- **Aucun** : aucun traitement concomitant n'est en cours

*Si la date n'est pas connue précisément, vous avez la possibilité d'indiquer UNK (pour unknown, inconnu) pour le jour, le mois et/ou l'année.*

## 5. Critère d'efficacité

---

### 5.1. Évaluation du score SARA

Valeur numérique du score du test SARA réalisé au moment du suivi.

### 5.2. Date du score SARA à l'inclusion\*

Date à laquelle le test SARA a été réalisé.

### 5.3. Évaluation de la qualité de vie du patient (SF-12)\*

Remettre le questionnaire SF12 au patient du test SF12 à son arrivée dans la salle d'attente ou dans la salle de consultation pour le compléter et ensuite reporter ses réponses dans BaMaRa.

## 6. Effet(s) indésirable(s)/ Situation(s) particulière(s)

---

### 6.1. Survenue d'événement(s) indésirable(s) ou d'une situation particulière à déclarer depuis la dernière visite\*

Des événements indésirables ou situations particulières sont-ils survenus depuis la dernière visite du patient ?

- **Oui** : des événements indésirables ou situations particulières sont survenus depuis la dernière visite du patient.

*Pour les AP pré-AMM : Procéder à la déclaration via la fiche de déclaration du laboratoire <https://www.cevidra.com/aap-omav/>*

*Pour les AP post-AMM : Procéder à la déclaration auprès du CRPV géographique via le portail de signalement : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>*

- **Non** : aucun événement indésirable ou situation particulière ne sont survenus depuis la dernière visite du patient.

*Si oui :*

### 6.2. Nombre d'événements indésirables

Précision du nombre d'événements indésirables à déclarer.

- ① *Ce champ détermine le nombre de fois que le champ « Description clinique de l'événement indésirable » sera affiché.*

### 6.3. Description clinique de l'événement indésirable

Description de l'événement indésirable avec le référentiel HPO.

- ① *Champ répété autant de fois que le nombre d'événements indésirables renseigné.*

## Qualité de vie

### Questionnaire qualité de vie SF-12

*À compléter par le patient*

Le questionnaire suivant est à remettre au patient à son arrivée dans la salle d'attente ou dans la salle de consultation. N'hésitez pas à lui laisser quelques minutes afin d'en prendre connaissance, puis reportez ses réponses dans BaMaRa.

#### **Auto-questionnaire de qualité de vie liée à la santé MOS SF-12 V1 Français**

**Comment répondre.** Les questions, qui suivent, portent sur votre état de santé telle que vous la ressentez. Ces informations nous permettront de mieux savoir comment vous vous sentez dans votre vie de tous les jours.

Veuillez répondre à toutes les questions en entourant le chiffre correspondant à la réponse choisie, comme il est indiqué. Si vous ne savez pas très bien comment répondre, choisissez la réponse la plus proche dans votre situation.

**Dans l'ensemble, pensez-vous que votre santé est :** (entourer la réponse de votre choix)

1. Excellente    2. Très bonne    3. Bonne    4. Médiocre    5. Mauvaise

**Voici une liste d'activités que vous pouvez avoir à faire dans la vie de tous les jours. En raison de votre état de santé, êtes-vous limité(e) pour :** (entourer la réponse de votre choix)

- **Des efforts physiques modérés** (déplacer une table, passer l'aspirateur, jouer aux boules...)?

1. Oui, beaucoup limité(e)    2. Oui, un peu limité(e)    3. Non, pas du tout limité(e)

- Monter **plusieurs étages** par l'escalier ?

1. Oui, beaucoup limité(e)    2. Oui, un peu limité(e)    3. Non, pas du tout limité(e)

**Au cours de ces 4 dernières semaines, et en raison de votre état physique :** (entourer la réponse de votre choix)

- Avez-vous **accompli moins** de choses que vous auriez souhaité ?

1. Oui    2. Non

- Avez-vous dû arrêter **certaines** choses ?

1. Oui    2. Non

**Au cours de ces 4 dernières semaines, et en raison de votre état émotionnel (comme vous sentir triste, nerveux(se) ou déprimé(e)) :** (entourer la réponse de votre choix)

- Avez-vous **accompli moins** de choses que vous auriez souhaité ?

1. Oui    2. Non

- Avez-vous eu des difficultés à faire ce que vous aviez à faire **avec autant de soin et d'attention** que d'habitude ?

1. Oui 2. Non

**Tournez la page s'il vous plait.**

**Au cours de ces 4 dernières semaines, dans quelle mesure vos douleurs physiques vous ont-elles limité(e) dans votre travail ou vos activités domestiques ?** (entourer la réponse de votre choix)

1. Pas du tout 2. Un petit peu 3. Moyennement 4. Beaucoup 5. Énormément

**Les questions qui suivent portent sur comment vous vous êtes senti(e) au cours de ces 4 dernières semaines. Pour chaque question, veuillez entourer la réponse qui vous semble la plus appropriée.**

- Y a-t-il eu des moments où vous vous êtes senti(e) **calme et détendu(e)** ?

1. En permanence 2. Très souvent 3. Souvent 4. Quelques fois 5. Rarement 6. Jamais

- Y a-t-il eu des moments où vous vous êtes senti(e) **débordant(e) d'énergie** ?

1. En permanence 2. Très souvent 3. Souvent 4. Quelques fois 5. Rarement 6. Jamais

- Y a-t-il eu des moments où vous vous êtes senti(e) **triste et abattu(e)** ?

1. En permanence 2. Très souvent 3. Souvent 4. Quelques fois 5. Rarement 6. Jamais

**Au cours de ces 4 dernières semaines, y a-t-il eu des moments où votre état de santé, physique ou émotionnel, vous a gêné(e) dans votre vie sociale et votre relation avec les autres, votre famille, vos amis, vos connaissances ?** (entourer la réponse de votre choix)

1. En permanence 2. Une bonne partie du temps 3. De temps en temps  
4. Rarement 5. Jamais

**Veuillez vérifier que vous avez bien fourni une réponse pour chacune des questions.**

**Merci d'avoir répondu au questionnaire.**