



Description des variables du SDM-T

**Accès précoce
TAKHZYRO[®]**

Mars 2024


Table des matières


Table des matières	2
Table des abréviations	4
Informations générales	4
1. Contexte de prescription	4
1.1. Contexte de prescription*	4
2. Identification	4
2.1. N° accès précoce*	4
Fiche d'accès au traitement	5
1. Demande	5
1.1. Date de la demande*	5
1.2. Traitement déjà débuté dans le cadre d'un accès compassionnel ou dans une autre situation*	5
2. Etat du patient	5
2.1. Nombre de crises d'AOH sur les 12 derniers mois*	5
2.2. Nombre de crises ORL sur les 12 derniers mois*	5
2.3. Nombre de crises abdominales sur les 12 derniers mois*	5
2.4. Nombre d'hospitalisations liées à l'AOH dans les 12 derniers mois*	5
2.5. Traitements antérieurs pour la même maladie rare*	5
2.6. Traitements concomitants en lien avec la même maladie rare et/ou soins de support*	6
2.7. Comorbidités*	6
2.7.1. Précision de la (des) comorbidité(s)*	Erreur ! Signet non défini.
2.8. Taille du patient (cm)	6
2.9. Poids du patient (kg)*	6
3. Traitement	6
3.1. Posologie envisagée*	6
3.1.1. Dose*	7
3.1.2. Fréquence*	7
3.1.2.1. Fréquence à préciser	7
3.2. Administration unique	7
3.3. Durée envisagée du traitement*	7
4. Engagement du prescripteur	7
4.1. Nom du prescripteur*	7
4.2. Le patient remplit les critères d'éligibilité et ne remplit aucun des critères de non-éligibilité*	7
4.3. 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*	8

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.

RAPPEL :

En cas d'événement indésirable, vous devez procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration :

<https://signalement.social-sante.gouv.fr/>

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
PUT-RD	Protocole d'Utilisation Thérapeutique et de Recueil de Données
RCP	Résumé des Caractéristiques du Produit
SDM-T	Set de Données Minimum Traitement
UNK	<i>Unknown</i> (inconnu)

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) généré automatiquement.

N.B. : Le champ apparait une fois que la Fiche d'accès au traitement est validée. Le numéro d'accès précoce est nécessaire pour pouvoir passer la commande du médicament.

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. Nombre de crises d'AOH sur les 12 derniers mois*

Chiffre entier positif, compris entre 0 et 120.

2.2. Nombre de crises ORL sur les 12 derniers mois*

Chiffre entier positif, compris entre 0 et 120.

2.3. Nombre de crises abdominales sur les 12 derniers mois*

Chiffre entier positif, compris entre 0 et 120.

2.4. Nombre d'hospitalisations liées à l'AOH dans les 12 derniers mois*

Chiffre entier positif, compris entre 0 et 120.

2.5. 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.

2.6. 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.

2.7. Comorbidités*

Indiquer la ou les comorbidité(s) que présente le patient lors de la demande d'accès précoce à l'aide de la nomenclature CIM-10.

S'il n'a aucune comorbidité, cocher la case « Aucune ».

2.8. 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).

2.9. 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. Traitement

3.1. Posologie envisagée*

Indiquer la posologie prescrite selon la liste personnalisée suivante :

- **10 kg à moins de 20 kg** 150 mg de lanadelumab en administration sous-cutanée toutes les 4 semaines
- **20 kg à moins de 40 kg** 150 mg de lanadelumab en administration sous-cutanée toutes les 2 semaines
- **Autre**

Si Autre :

3.1.1. Dose*

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

3.1.2. 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 :

3.1.2.1. Fréquence à préciser

Préciser toute autre fréquence prescrite

3.2. Administration unique

Cocher cette case en cas d'administration unique

3.3. 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.

4. 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

4.1. Nom du prescripteur*

Renseigner le nom du médecin prescripteur du traitement par TAKHZYRO.

4.2. 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.

4.3. 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

 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.*