

Comment demander une ATU

C. Daniel*

En France, l'utilisation exceptionnelle de spécialités pharmaceutiques ne bénéficiant pas d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) et ne faisant pas l'objet d'un essai clinique est conditionnée à l'obtention préalable d'une autorisation temporaire d'utilisation (ATU).

Les ATU sont délivrées par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) sur la base de critères spécifiques :

- ✓ le médicament est destiné à traiter une maladie grave ou rare : c'est le cas des cancers bronchiques ;
 - ✓ il n'existe pas de traitement approprié disponible sur le marché : ce critère de disponibilité repose sur les algorithmes de prise en charge, mais aussi sur le statut du remboursement des traitements ; son interprétation peut être complexe ;
 - ✓ leur efficacité et leur sécurité d'emploi sont présumées en l'état des connaissances scientifiques : des données sur le médicament doivent être disponibles pour justifier la demande ;
 - ✓ la mise en œuvre du traitement ne peut pas être différée.
- En pratique, il existe 2 types d'ATU : les ATU de cohorte et les ATU nominatives.

ATU nominative ou de cohorte ?

L'ATU nominative

L'ATU dite nominative (ATUn) s'adresse à un seul patient nominativement désigné et ne pouvant participer à une recherche biomédicale. Elle concerne des médicaments dont le rapport efficacité/sécurité est présumé favorable pour ces patients au vu des données disponibles.

C'est le médecin chargé du patient qui demande l'ATUn et en est responsable ; en l'absence de protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations (PUT), il est important de disposer d'éléments suffisants pour assurer l'administration.

La liste des spécialités faisant actuellement l'objet d'une ATUn est disponible sur le site de l'ANSM ([tableau I](#)).

Il est possible de solliciter une ATUn pour des spécialités qui ne sont pas sur la liste proposée dans le [tableau I](#).

L'ATU de cohorte

L'ATU dite de cohorte (ATUc) concerne des médicaments dont l'efficacité et la sécurité d'emploi sont fortement présumées

et s'adresse à un groupe ou sous-groupe de patients traités et surveillés suivant des critères définis dans un PUT.

C'est le laboratoire pharmaceutique qui sollicite l'ouverture d'une ATUc, ce qui l'engage à déposer une demande d'AMM dans un délai fixé.

La liste des spécialités faisant actuellement l'objet d'une ATUc est également disponible sur le site de l'ANSM ([tableau II](#)).

En pratique, comment procéder à la demande d'ATU ?

En pratique, le médecin chargé du patient doit se connecter à la plateforme Internet e-Saturne : <https://icsaturne.ansm.sante.fr/>. Les autres modalités de demande (par fax ou courrier) ne sont plus acceptées.

Cette application est accessible à tous les professionnels de la santé (médecins, pharmaciens, internes en médecine) possédant une carte de professionnel de santé (CPS) ([figure 1, p. 44](#)) et un lecteur de cartes ([figure 2, p. 44](#)).

Il est nécessaire de disposer du code confidentiel associé à la carte.

* Institut Curie, Paris.

Tableau I. Spécialités faisant l'objet d'une ATU nominative en oncologie thoracique (source : ANSM).

Spécialité pharmaceutique	Critères d'octroi
Lurbinectedin	CBPC avancé ayant progressé après chimiothérapie à base de sels de platine.
Capmatinib	CBNPC avancé ou métastatique : <ul style="list-style-type: none"> • porteur d'une mutation de <i>c-MET</i> affectant l'exon 14, • chez les patients ayant déjà reçu une 1^{re} ligne de traitement, • et non éligibles à un essai clinique actuellement en cours en France.
LOXO-292 (selpercatinib)	CBNPC avancé avec réarrangement de <i>RET</i> ayant progressé après chimiothérapie cytostatique par un doublet de platine.

Tableau II. Spécialité faisant l'objet d'une ATU de cohorte en oncologie thoracique (source : ANSM).

Spécialité pharmaceutique	Indication
Durvalumab	En association avec l'étoposide et les sels de platine (carboplatine ou cisplatine), est indiqué dans le traitement de 1 ^{re} intention des patients atteints d'un CBPC à un stade étendu.

Figure 1 ■ Carte de professionnel de santé.



Figure 2 ■ Lecteur de cartes CPS.



Le site internet e-Saturne propose une liste régulièrement actualisée des médicaments disponibles en ATUn ou ATUc. Si un médicament pour lequel le médecin souhaite faire une demande n'est pas mentionné, il est tout à fait possible de soumettre une demande d'ATUn.

Que faire en cas d'arrêt de l'ATU ?

Lorsqu'une AMM est délivrée pour un médicament faisant l'objet d'une ATU, et sous réserve que le laboratoire pharmaceutique dépose une demande de remboursement, le médicament bénéficie d'une prise en charge, en relais de l'ATU, au titre du dispositif post-ATU jusqu'à ce qu'une décision soit prise par les autorités ministérielles au regard de la demande déposée par le laboratoire. Si un médicament fait l'objet d'une ATUc dans plusieurs indications, l'octroi d'une AMM dans une ou plusieurs indications de l'ATUc n'interrompt pas le dispositif post-ATU pour les autres indications de l'ATUc.

Une spécialité ne peut bénéficier du dispositif post-ATU que si elle figure sur le tableau, régulièrement mis à jour, intitulé "Tableau dispositif pérenne", mis en ligne sur le site du ministère des Solidarités et de la Santé ([tableau III](#)).

Tableau III. Spécialités prises en charge au titre du dispositif post-ATU en oncologie thoracique.

Spécialités pharmaceutiques	Critères d'octroi
Atézolizumab	En association avec le carboplatine et l'étoposide, est indiqué en 1 ^{re} ligne de traitement chez les patients adultes atteints d'un CBPC de stade étendu et présentant un score ECOG de 0 ou 1.
Brigatinib	CBNPC avancé ALK+, traitement en monothérapie chez les patients adultes déjà traités par crizotinib pour lesquels il n'existe pas d'alternative thérapeutique appropriée disponible et non éligibles à un essai clinique en cours. Posologie recommandée : 90 mg × 1/j durant les 7 premiers jours puis 180 mg × 1/j tous les jours.
Lorlatinib	Indication AMM éligible à une prise en charge dans le cadre du dispositif post-ATU : • CBNPC métastatique ALK-positif en monothérapie chez l'adulte - non éligible à un essai clinique actuellement en cours en France, - ayant progressé après au moins 2 lignes de traitement par ITK de l'ALK. Indication AMM non éligible à une prise en charge dans le cadre du dispositif post-ATU (sauf en cas d'échec ou de contre-indication des alternatives proposées) • CBNPC avancé ou métastatique ALK+ en monothérapie chez l'adulte dont la tumeur a progressé sous alectinib ou cécitinib comme 1 ^{er} traitement ITK de l'ALK.
Larotrectinib	Indication en monothérapie dans le traitement des patients adultes et pédiatriques à partir d'un mois, atteints de tumeurs solides localement avancées ou métastatiques présentant une fusion NTRK (<i>Neurotrophic Tyrosine Receptor Kinase</i>), réfractaires aux traitements standards ou en l'absence d'alternative thérapeutique appropriée.

C. Daniel déclare ne pas avoir de liens d'intérêts en relation avec cet article.