

## Demande d'ATU de cohorte

### MEDICAMENT

• **Nom du médicament :**

- **Dosage:**

- **Forme pharmaceutique (a) :**

- **Substance(s) active(s) :**

• **Indication revendiquée :**

- **Code ATC (Anatomical Therapeutic Chemical Classification System)**

### DEMANDEUR

- **Entreprise exploitant le médicament**  
(nom, adresse)

- **Personne responsable pour tout contact :**  
(nom, adresse, téléphone, fax, adresse électronique)

\_\_\_\_\_  
Signature

\_\_\_\_\_  
A

\_\_\_\_\_  
Date

### 1. Le médicament au regard du champ d'application de la procédure centralisée d'autorisation de mise sur le marché (AMM) instituée par le règlement (CE) n°726/2004 du 31 mars 2004

1.1 Est issu de l'un des procédés biotechnologiques mentionnés au 1 de l'annexe du règlement (CE) n°726/2004 :  
 oui  non

1.2 Contient une nouvelle substance active indiquée dans le traitement :

- du sida  oui  non
- du cancer  oui  non
- d'une maladie neurodégénérative  oui  non
- du diabète  oui  non

1.3 Est désigné comme médicament orphelin en application du règlement (CE) N°141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 :

oui Date de désignation : .....

Indication : .....

non Une demande de désignation est envisagée  
 oui  non

1.4 Contient une nouvelle substance active non autorisée dans la Communauté européenne au 20 Novembre 2005 (procédure centralisée optionnelle)

oui  non

1.5 Présente une innovation significative sur le plan thérapeutique, scientifique ou technique, ou bien la délivrance d'une AMM selon la procédure centralisée présente pour les patients un intérêt au niveau communautaire (procédure centralisée optionnelle)

oui  non

Justification :

## 2. Critères de délivrance de l'autorisation temporaire d'utilisation (ATU)

Conformément aux dispositions de l'article L.5121-12 1° du I du Code de la santé publique, une autorisation peut être délivrée en vue de l'utilisation à titre exceptionnel de médicaments destinés à traiter des maladies graves ou rares lorsque les conditions suivantes sont remplies : il n'existe pas de traitement approprié, l'efficacité et la sécurité de ces médicaments sont fortement présumées au vu des résultats d'essais thérapeutiques auxquels il a été procédé en vue d'une demande d'AMM et cette demande a été déposée ou le demandeur s'engage à la déposer dans un délai déterminé. Cette ATU doit être sollicitée dans le cadre d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations.

2.1 Il s'agit d'un médicament destiné :

- a) au traitement  oui  non  
à la prévention  oui  non  
au diagnostic  oui  non  
b) d'une maladie grave  oui  non  
d'une maladie rare  oui  non

2.2 Il n'existe pas de traitement approprié :  oui  non

Justification :

2.3 L'efficacité et la sécurité d'emploi sont fortement présumées  oui  non

Justification :

## 3. Renseignements administratifs :

Le médicament fait l'objet d'une demande d'AMM :

oui

Date de soumission à l'ANSM<sup>b</sup>  ou à l'Agence européenne des médicaments<sup>b</sup>  : .....

Nom du médicament : .....

non

Le titulaire s'engage à déposer une demande d'AMM<sup>c</sup> :  oui  non

Si le titulaire s'engage à déposer une demande d'AMM :

Je soussigné(e)....., pharmacien responsable de (*nom de l'entreprise*) m'engage à déposer un dossier de demande d'AMM pour (*nom du médicament*), le (*date prévue de dépôt*), auprès de l'ANSM<sup>b</sup>  ou auprès de l'Agence européenne des médicaments<sup>b</sup>

Signature : .....

3.2 Le médicament fait l'objet d'une ou de recherches biomédicales en France ou à l'étranger :

oui

(Fournir la liste des recherches biomédicales)

non

3.3 Le médicament est autorisé à l'étranger (AMM) :

oui

(Indiquer les pays et noms des médicaments correspondants, ainsi que la date de délivrance de l'autorisation)

Pays	Nom des médicaments	Date de l'AMM

Date prévue pour la soumission des prochains rapports périodiques actualisés de pharmacovigilance (PSUR) ou document équivalent : .....

non

<sup>b</sup> Remplir la case appropriée

<sup>c</sup> l'article L. 5121-12 a) du code de la santé publique précise qu'une ATU de cohorte ne peut être octroyée que si une demande d'AMM a été déposée ou que le demandeur s'engage à la déposer dans un délai déterminé. En l'absence de cet engagement, la demande d'ATU de cohorte n'est pas recevable.

3.4 Il existe une utilisation exceptionnelle, précoce, à l'étranger (pré-AMM) :

oui  
Pays : .....  
Indication : .....  
Statut de l'utilisation : .....

non

3.5 Place du médicament par rapport à l'arsenal thérapeutique disponible en France : .....

3.6 Nombre de patients susceptibles d'être traités en France par ce médicament dans le cadre de l'ATU (par an) : .....

4 . Liste des documents / informations à joindre	Oui	Non
4.1 Copie de la demande d'AMM, le cas échéant	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4.2 Lorsque le médicament est autorisé à l'étranger :		
4.2.1. copie de l'autorisation ou des autorisations délivrées par l'autorité compétente,	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4.2.2. copie du résumé des caractéristiques du produit correspondant,	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4.2.3. dernier PSUR ou document équivalent	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4.3 Projet de protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations rédigé en français	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4.4 Les projets, rédigés en français		
4.4.1. du résumé des caractéristiques du produit	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4.4.2. de la notice d'information des patients	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4.4.3. de l'étiquetage	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4.5 Recherches biomédicales :		
4.5.1. Titres et objectifs des recherches en cours et/ou programmées en France ou à l'étranger dans la même pathologie, et identité du ou des investigateurs principaux,	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4.5.2. pour ce qui concerne les recherches menées en France : identité de l'ensemble des investigateurs et désignation du ou des lieux de recherche et état d'avancement des recherches.	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4.6 Copie de la désignation comme médicament orphelin, le cas échéant	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4.7 Copie de tout avis scientifique relatif au médicament, adressé au demandeur par l'ANSM, l'Agence européenne des médicaments ou toute autorité compétente d'un autre Etat partie à l'Accord sur l'Espace économique européen, le cas échéant,	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4.8 Toute information relative à une utilisation à titre exceptionnel et précoce (pré-AMM) dans un autre pays	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4.9 Dossier relatif au médicament		
a) dossier de demande d'AMM	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
ou		
b) dossier du médicament expérimental actualisé	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
en 5 exemplaires papiers	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
et sous format électronique	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>

## DEMANDE INITIALE D'ATU DE COHORTE ACCUSE DE RECEVABILITE

### I. PARTIE A COMPLETER PAR LE DEMANDEUR

• **Nom du médicament :**

--	--

- **Dosage :**

--	--

- **Forme pharmaceutique :**

**Demandeur :**

--	--

- **Entreprise exploitant le médicament :**

(nom, adresse)

- **Personne responsable pour tout contact :**

(nom, adresse, téléphone, fax, adresse

électronique)

### II. PARTIE A COMPLETER PAR L'ANSM

<b>Date de réception de la demande</b>	
<b>Date de réception des éléments complémentaires demandés</b>	

### Personne chargée du dossier à l'ANSM

Nom :		Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM). ATU Direction Produit : ..... 143 / 147, Boulevard Anatole France 93285 Saint-Denis Cedex France
Adresse électronique :		
Téléphone :		
Fax :		

### Recevabilité

<input type="checkbox"/>	RECEVABLE
<input type="checkbox"/>	NON RECEVABLE

### Éléments à prendre en compte par le demandeur

<input type="checkbox"/>	PIECES MANQUANTES <sup>[1]</sup>	
<input type="checkbox"/>	COMMENTAIRES DE L'ANSM <sup>[1]</sup>	

**Numéro attribué au dossier :**

<b>Fait le :</b>	<b>XII. <u>Signature</u> :</b>
------------------	--------------------------------

[1] Cf. page(s) suivante(s)

### III. PIECES MANQUANTES

<input type="checkbox"/>	1. Formulaire de demande d'ATU cohorte
<input type="checkbox"/>	2. Copie de la demande d'AMM
	3. Lorsque le médicament est autorisé à l'étranger :
<input type="checkbox"/>	3.1. la copie de l'autorisation ou des autorisations délivrées par l'autorité compétente
<input type="checkbox"/>	3.2. la copie du résumé des caractéristiques du produit correspondant
<input type="checkbox"/>	3.3. le dernier PSUR ou document équivalent
<input type="checkbox"/>	4. Le projet de protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations rédigé en français
	5. Les projets, pour l'ATU, rédigés en français, de :
<input type="checkbox"/>	5.1. résumé des caractéristiques du produit
<input type="checkbox"/>	5.2. notice d'information destinée au patient
<input type="checkbox"/>	5.3. étiquetage
	6. Recherches biomédicales
<input type="checkbox"/>	6.2. pour ce qui concerne les recherches menées en France : l'identité du ou des investigateurs principaux en France, la désignation du ou des lieux de recherche concernés et l'état d'avancement de ces essais.
<input type="checkbox"/>	7. La copie de la désignation « médicament orphelin »,
<input type="checkbox"/>	8. La copie de tout avis scientifique relatif au médicament adressé par l'ANSM, l'EMA ou toute autorité compétente d'un autre Etat partie à l'Accord sur l'espace économique européen,
<input type="checkbox"/>	9. Toute information relative à une utilisation à titre exceptionnel et précoce (pré-AMM) dans un autre pays
<input type="checkbox"/>	10. Le dossier relatif au médicament
<input type="checkbox"/>	10.1. dossier d'AMM
<input type="checkbox"/>	ou 10.2. dossier du médicament expérimental actualisé
<input type="checkbox"/>	10.3. Nombres d'exemplaires papier supplémentaires à soumettre :
<input type="checkbox"/>	10.4. Nombres d'exemplaires de CD Rom supplémentaires à soumettre :
<input type="checkbox"/>	11. Autres pièces (voir ci-dessous)

### IV. COMMENTAIRES DE L'ANSM, LE CAS ECHEANT