

14.11.2025

BRUXELLES

# USAGE COMPASSIONNEL ET PROGRAMMES MÉDICAUX D'URGENCE

Tania BRUWIER

afmps 



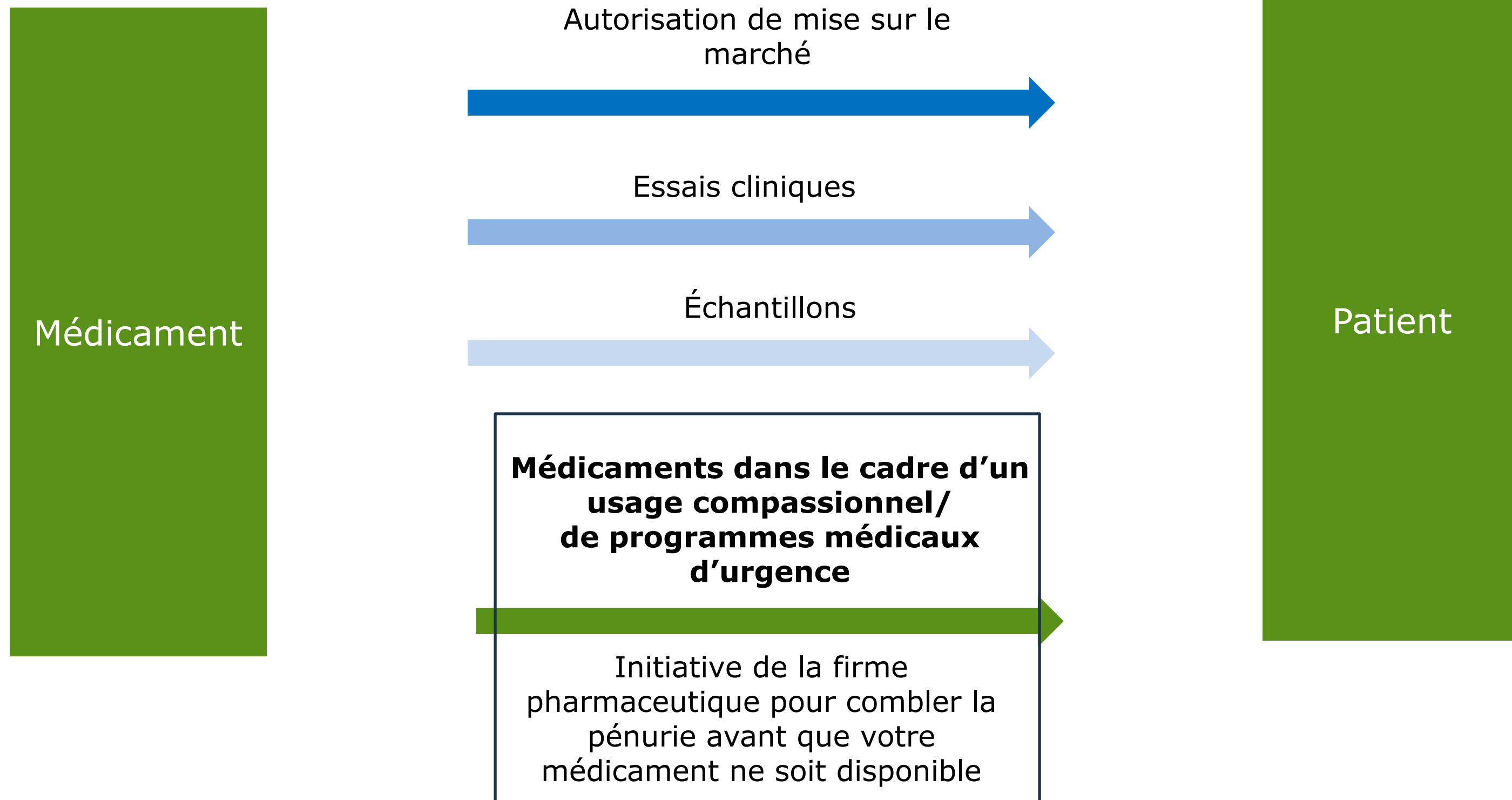
.be



- Accès des patients à un médicament
- Cycle de vie d'un médicament
- Médicaments dans le cadre d'un usage compassionnel (CUP)
- Médicaments dans le cadre de programmes médicaux d'urgence (MNP)
- Incitatif supplémentaire pour les firmes :  
procédure Early and Equitable Fast Access (INAMI)
- Cas urgents
- Où trouver des infos ?
- Importation
- Exemples



# ACCÈS DES PATIENTS À UN MÉDICAMENT



# CYCLE DE VIE D'UN MÉDICAMENT

Recherche et développement d'une substance active  
avant de la tester chez l'homme



Essais cliniques chez l'homme  
Phase 1, 2, 3 ou 4



Autorisation de mise sur le marché  
en **Europe**



Discussion sur le  
remboursement  
en **Belgique**



Disponible en pharmacie en Belgique  
avec remboursement

Usage  
compassionnel



Programmes  
médicaux  
d'urgence



# MÉDICAMENTS DANS LE CADRE D'UN USAGE COMPASSIONNEL (CUP)

- Essais cliniques chez l'homme phase 2/3 ou 4 avec informations pertinentes

OU

- Dossier introduit auprès de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA)  EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

- Maladie gravement invalidante ou considérée comme mettant la vie en danger

- Groupe de patients

- Aucun médicament autorisé et remboursé sur le marché pour un traitement satisfaisant



# MÉDICAMENTS DANS LE CADRE D'UN USAGE COMPASSIONNEL (CUP)

- Le médecin spécialiste est informé par les firmes pharmaceutiques, la publication des essais cliniques, le site web de l'AFMPS...
- La firme pharmaceutique soumet un dossier à l'AFMPS.
- L'évaluation est effectuée par l'AFMPS en collaboration avec la Commission des médicaments et les comités d'éthique.
- Approbation du programme.
  
- Le médecin spécialiste vérifie si vous êtes éligible pour participer au programme.
- Le médecin responsable du programme analyse les demandes d'admission au programme.
- Si l'évaluation est positive, vous pouvez signer le formulaire de consentement.
  
- Le médicament est **gratuit** pour vous.



# MÉDICAMENTS DANS LE CADRE DE PROGRAMMES MÉDICAUX D'URGENCE (MNP)

- Autorisation de mise sur le marché auprès de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA)
  - Première indication ou ;
  - deuxième (ou plusieurs) indication(s)
- Maladie gravement invalidante ou considérée comme mettant la vie en danger
- Groupe de patients
- Aucun médicament autorisé et remboursé sur le marché pour un traitement satisfaisant



# MÉDICAMENTS DANS LE CADRE DE PROGRAMMES MÉDICAUX D'URGENCE (MNP)

- Le médecin spécialiste est informé par les firmes pharmaceutiques, la publication des essais cliniques, le site web de l'AFMPS...
- La firme pharmaceutique soumet un dossier à l'AFMPS.
- L'évaluation est effectuée par l'AFMPS en collaboration avec la Commission des médicaments et les comités d'éthique.
- Approbation du programme.
  
- Le médecin spécialiste vérifie si vous êtes éligible pour participer au programme.
- Le médecin responsable du programme analyse les demandes d'admission au programme.
- Si l'évaluation est positive, vous pouvez signer le formulaire de consentement.
  
- Le médicament est **gratuit** pour vous.



# INCITATIF SUPPLÉMENTAIRE POUR LES FIRMES : PROCÉDURE EARLY AND EQUITABLE FAST ACCESS (INAMI)

- EARLY ACCES

procédure existante pour un remboursement précoce et temporaire lié à une procédure CUP ou MNP

- FAST ACCESS

nouvelle procédure pour un remboursement précoce et temporaire pour certains types de médicaments (Janvier 2026)



# CAS URGENTS

- Pas d'autorisation de mise sur le marché en Europe
- Usage compassionnel impossible (pas d'essais cliniques ni de dossier introduit auprès de l'EMA)
- Pour un patient individuel
- En général : gratuit



# OÙ TROUVER DES INFOS ?

## Usage compassionnel - Programmes médicaux d'urgence

L' [Arrêté Royal du 25 avril 2014](#) modifiant l'[arrêté royal du 14 décembre 2006](#) relatif aux médicaments à usage humain et vétérinaire a été publié le 12 juin 2014 au Moniteur Belge et entre en application dès le 1er juillet 2014.

Tous les programmes d'usage compassionnel et programmes médicaux d'urgence soumis à partir de cette date devront suivre la procédure décrite dans ce texte.

L'AFMPS demandera une contribution pour chaque dossier soumis. L'AFMPS ne demande plus de faire des paiements anticipés, mais d'attendre la facture (ou l'invitation à payer) avec un avis structuré pour le paiement. Vous trouverez [ici](#) plus d'informations sur la nouvelle méthode. Vous trouverez [ici](#) le montant de la contribution pour les fichiers Unmet Medical Need. Veuillez indiquer dans la lettre d'accompagnement à qui la facture doit être envoyée.

Nous mettons à votre disposition la guidance qui décrit entre autre la procédure afin de soumettre les programmes d'usage compassionnel et les programmes médicaux d'urgence. Vous trouverez également ci-dessous les annexes à cette nouvelle guidance :

- [CUP-UMN guidance](#)
- [Annex I](#) : Arrêté Royal du 25 avril 2014 modifiant l'Arrêté Royal du 14 décembre 2006]
- [Annex II](#) : Application form to request a Compassionate Use Program or a Medical Need Program
- [Annex III](#) : Template of Compassionate Use Program protocol. **Nouvelle Version 27/06/2023**
- [Annex IV](#) : Summarized information for publication (EN-FR-NL)
- [Annex V](#) : Labeling
- [Annex VI](#) : Template of Medical Need Program protocol. **Nouvelle Version 27/06/2023**
- [Annex VII](#) : CUP Physician Declaration
- [Annex VIII](#) : MNP Physician Declaration
- [Annex IX](#) : e-submission through the CESP: cette procédure doit être suivie à la lettre
- [Annex X](#) : Application form re-evaluation

Veuillez adresser toute question spécifique à l'adresse [umn@afmps-fagg.be](mailto:umn@afmps-fagg.be).

## FAQ

La liste des questions fréquemment posées concernant les demandes UMN est disponible via le lien suivant et sera régulièrement mise à jour :

[FAQ](#) (version anglaise)

## Programmes approuvés

Nom commercial	Substance active	Indication	Dernière mise à jour
<a href="#">Tepkinly®</a>	Epcoritamab	Epcoritamab monothérapie pour le traitement de Lymphome Folliculaire (LF) récidivant ou réfractaire, précédemment traité par au moins 2 lignes de traitement antinéoplasique systémique (3L) en cas de progression de la maladie signalée et documentée dans les 24 mois suivant le début du traitement initial (POD24) OU par au moins 3 lignes de traitement antinéoplasique systémique (4L+).	09/10/2025
<a href="#">Nubega</a>	Darolutamide	Traitement du cancer de la prostate métastatique hormonosensible (mHSPC) en association avec un traitement par suppression androgénique (ADT).	25/09/2025
		En association avec le nivolumab pour le traitement des patients adultes atteints	

Substance active	Epcoritamab
Titulaire	AbbVie Belgium SA/NV
Statut	En cours
Indication	Epcoritamab monothérapie pour le traitement de Lymphome Folliculaire (LF) récidivant ou réfractaire précédemment traité par au moins 2 lignes de traitement antinéoplasique systémique (3L) en cas de progression de la maladie signalée et documentée dans les 24 mois suivant le début du traitement initial (POD24) OU par au moins 3 lignes de traitement antinéoplasique systémique (4L+).
Documents publics	<a href="#">Approbation</a>
	<a href="#">Information pour le patient</a>
	<a href="#">Consentement éclairé</a>
Dernière mise à jour	09/10/2025

Your letter from	Your reference	Annex	Date
			Cf. digital signature

Onderwerp: Opzetten van een medisch noodprogramma op 6/10/2025  
Titre de l'objet: Mise sur pied d'un programme médical d'urgence le 6/10/2025  
Subject: Set up of a medical need program dated 6/10/2025

Medicinal product : Tepkinly(epcoritamab) (4mg/0,8ml concentrate for solution for injection 48mg solution for injection, concentrate for solution for injection)  
Indication : Relapsed or refractory Follicular Lymphoma (FL), previously treated with at least 2 lines of systemic antineoplastic therapy (3L) in case of a reported and documented progression of disease within 24 months from initial treatment initiation (POD24) OR with at least 3 lines of systemic antineoplastic therapy (4L+)  
Ethics Committee designated: Universitaire Ziekenhuizen K.U.L.  
Reference: MNP-202316

Pharmacovigilance report cut-off date: 6/10/2026  
Pharmacovigilance report deadline submission: 6/11/26

Chère Madame, Cher Monsieur,  
Conformément à l'article 4quater de la loi du 25 mars 1964, relative aux médicaments, j'ai décidé de mettre sur pied le programme ci-dessus mentionné selon les conditions précisées dans l'annexe I.  
Salutations sincères,  
Hugues Malonne  
Administrateur général  
Délégué du Ministre de la Santé publique

Geachte Mevrouw, Geachte Heer,  
In overeenstemming met artikel 4quater van de wet van 25 maart 1964 inzake geneesmiddelen, heb ik besloten het hierboven vermeldde programma op te zetten onder de voorwaarden zoals gepreciseerd in de bijlage I.  
Met de meeste hoogachting,  
Hugues Malonne  
Administrateur-generaal  
Afgevaardigde van de Minister van Volksgezondheid

In accordance with article 4quater of the Law of 25 March 1964 concerning medicinal products, I have decided to set up the above mentioned medical need program following the conditions stated in annex I.  
Company registration number: BE 0884 579 424

.be

### Geïnformeerde toestemming van de patiënt en privacyverklaring voor het medisch noodprogramma

Programma voor het gebruik in medische nood van epcoritamab monotherapie voor de behandeling van patiënten met recidiverend of refractair folliculair lymfoom (FL), eerder behandeld met ten minste 2 lijnen systemische antineoplastische therapie (3L) in geval van een gerapporteerde en gedocumenteerde ziekteprogressie binnen 24 maanden na de eerste start van de behandeling (POD24) OF met ten minste 3 lijnen systemische antineoplastische therapie (4L+)

#### PATIËNTENINFORMATIE

Sponsor van het programma: AbbVie SA/NV, Av Einstein, 14 – 1300 Waver

Dit document bestaat uit 3 delen:

- Essentiële informatie voor uw besluitvorming.
- Uw schriftelijke toestemming om deel te nemen aan het medisch noodprogramma.
- Aanvullende informatie over de vertrouwelijkheid van uw persoonlijke gegevens.

#### A. Essentiële informatie voor uw besluitvorming tot deelname

##### Introductie

Uw behandelende hematoloog nodigt u uit om deel te nemen aan een medisch noodprogramma met een experimenteel geneesmiddel voor de behandeling van uw ziekte. Een medisch noodprogramma biedt toegang onder gedefinieerde voorwaarden en buiten een klinische studie tot een experimenteel geneesmiddel dat nog steeds wordt bestudeerd om zijn werkzaamheid, zijn veiligheid of zijn werkingsmechanisme te evalueren. Uw arts denkt dat dit geneesmiddel een voordeel kan bieden voor uw behandeling. Niettemin, is er geen enkele garantie dat u voordeel zal hebben van uw deelname aan dit programma. Vooraleer u deze behandeling aanvaardt, nodigen wij u uit om over de implicaties in termen van voordelen en mogelijke risico's te lezen, zodat u een weloverwogen beslissing kan nemen. Dit wordt het geven van een « geïnformeerde toestemming » of « informed consent » genoemd. Lees aandachtig de volgende paar pagina's met informatie en stel al uw vragen aan uw arts.

##### Als u aan dit programma deelneemt, dient u het volgende te weten.

- De programma wordt opgestart na evaluatie door een ethisch comité.
- Uw deelname is vrijwillig, er kan op geen enkele manier sprake zijn van dwang. Voor deelname is uw ondertekende toestemming nodig. Ook nadat u hebt getekend, kan u op elk moment de arts laten weten dat u uw deelname wilt stopzetten. Uw beslissing om al dan niet (verder) deel te nemen zal geen enkele negatieve invloed hebben op de kwaliteit van de zorgen noch op de relatie met de behandelende arts.
- De gegevens die in het kader van uw deelname worden verzameld, zijn vertrouwelijk en uw anonimiteit wordt verzekerd.
- De medicatie van het programma wordt gratis verstrekt.
- Indien u extra informatie wenst, kan u altijd contact opnemen met de arts of een medewerker van zijn of haar team.

famhp

Summarized information English  
Informations résumées Français  
Samengevatte informatie Nederlands

UMN request : information to be made public\_EN\_FR\_NL  
Version Number and Date: Version 3 - September 2025

1

# OÙ TROUVER DES INFOS ?

Tepkinly®	
Substance active	Epcoritamab
Titulaire	AbbVie Belgium SA/NV
Statut	En cours
Indication	Epcoritamab monothérapie pour le traitement de Lymphome Folliculaire (LF) récidivant ou réfractaire, précédemment traité par au moins 2 lignes de traitement antinéoplasique systémique (3L) en cas de progression de la maladie signalée et documentée dans les 24 mois suivant le début du traitement initial (POD24) OU par au moins 3 lignes de traitement antinéoplasique systémique (4L+).
Documents publiés	<a href="#">Approbation</a>
	<a href="#">Information pour le patient</a>
	<a href="#">Consentement éclairé</a>
Dernière mise à jour	09/10/2025



[Dutch language information, English](#)  
[Informaties, informatie, Français](#)  
[German language information, Nederlandse](#)



Informations résumées_Français	
Nom du médicament	Tepkinly® 4 mg/0.8 ml & 48mg solution injectable
Nom de la substance active	Epcoritamab
Indication et conditions d'utilisation	Epcoritamab monothérapie pour le traitement de Lymphome Folliculaire (LF) récidivant ou réfractaire, précédemment traité par au moins 2 lignes de traitement antinéoplasique systémique (3L) en cas de progression de la maladie signalée et documentée dans les 24 mois suivant le début du traitement initial (POD24) OU par au moins 3 lignes de traitement antinéoplasique systémique (4L+).
Conditions, délais et modalités selon lesquels les patients sont admis dans le programme	<p><b>Critères d'inclusion :</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Le patient est âgé de 18 ans ou plus.</li> <li>Le patient est diagnostiqué avec un lymphome folliculaire qui est                             <ul style="list-style-type: none"> <li>A. Maladie récidivante ou réfractaire et précédemment traitée par <b>au moins deux lignes de traitement antinéoplasique systémique</b>, y compris au moins un traitement contenant un anticorps monoclonal anti-CD20 (c'est-à-dire ayant reçu R-CHOP ou un traitement équivalent qui serait considéré comme un traitement de première intention adéquat pour le LF) ;</li> <li><b>ET</b> présentent une progression signalée et documentée de la maladie dans les 24 mois suivant le début du traitement initial (<b>POD24</b>).</li> </ul> </li> <li><b>OU</b></li> <li>B. Maladie récidivante ou réfractaire et précédemment traitée par <b>au moins 3 lignes de traitement antinéoplasique systémique</b>, y compris au moins un traitement contenant un anticorps monoclonal anti-CD20 (c'est-à-dire ayant reçu R-CHOP ou un traitement équivalent qui serait considéré comme un traitement de première intention adéquat pour le FL).</li> </ul>
	<ul style="list-style-type: none"> <li>Le site dispose de ressources (par exemple, accès aux soins intensifs et à des médicaments de secours tels que les inhibiteurs de l'IL-6) pour suivre et gérer les effets indésirables d'intérêt particulier [syndrome de libération de cytokines (CRS), syndrome de lyse tumorale (TLS) et syndrome de neurotoxicité associée aux cellules immunitaires (ICANS)] pour ce programme.</li> <li>Le site dispose d'inhibiteurs de l'IL-6 disponibles sur place (par exemple, le tocilizumab).</li> <li>Le patient n'est pas éligible à un essai clinique avec l'epcoritamab ou un autre médicament expérimental (IMP) dans l'indication MNP.</li> <li>Le patient n'est pas éligible au traitement ou ne peut pas être traité de manière satisfaisante avec les options thérapeutiques alternatives approuvées et commercialisées qui sont remboursées pour l'indication concernée, conformément aux directives cliniques, pour des raisons d'efficacité et/ou de sécurité.</li> <li>Le patient est informé que le schéma thérapeutique est fourni sur la base d'un accès préalable à l'approbation conformément aux lois locales et qu'il n'est actuellement pas remboursé en Belgique pour cette indication.</li> <li>Le patient doit être prêt à signer le formulaire de consentement éclairé pour ce programme.</li> <li>Les femmes en âge de procréer doivent utiliser une contraception adéquate pendant le traitement et pendant au moins 4 mois après la dernière dose. Voir l'annexe A pour les méthodes de contraception dans le formulaire 'Physician Request &amp; Declaration'.</li> <li>Un test de grossesse négatif pour les femmes en âge de procréer.</li> </ul>
UMN request : information to be made public_EN_FR_NL Version Number and Date: Version 3 - September 2025	

Nom du médicament	
Nom de la substance active	
Indication et conditions d'utilisation	
Conditions, délais et modalités selon lesquels les patients sont admis dans le programme	
Durée	
Conditions de distribution	
Responsable du programme	
Modalités selon lesquelles les médicaments non utilisés sont traités	
Données pour l'enregistrement des suspicions d'effets indésirables inattendus graves	

# IMPORTATION\*

- Aucun médicament équivalent (substance active et dosage) en Belgique
- En général : charge financière pour le patient

\* hors législation CUP/MNP

## EXEMPLES



# DES QUESTIONS ?



# CONTACT

## Agence fédérale des médicaments et des produits de santé – AFMPS

Avenue Galilée 5/03  
1210 Bruxelles  
+ 32 2 528 40 00

[welcome@afmps.be](mailto:welcome@afmps.be)  
[www.afmps.be](http://www.afmps.be)

DG PRE autorisation – division Recherche et Développement  
[umn@afmps.be](mailto:umn@afmps.be)

Suivez l'AFMPS sur

