

Un cadre de prescription compassionnelle pour Blincyto® (blinatumomab)¹, afin de sécuriser son utilisation dans le traitement de première ligne en consolidation de certaines leucémies aiguës lymphoblastiques pédiatriques.

Amgen France annonce que l'ANSM a établi un cadre de prescription compassionnelle (CPC) concernant l'utilisation de Blincyto® (blinatumomab) en monothérapie dans le traitement des patients pédiatriques à partir de l'âge de 1 mois, présentant une leucémie aiguë lymphoblastique à précurseurs B exprimant le CD19 avec chromosome Philadelphie négatif nouvellement diagnostiquée, dans le cadre du traitement de première ligne, en consolidation des patients présentant un risque intermédiaire ou un haut risque de rechute.

Ce CPC, dispositif d'accès dérogatoire et exceptionnel, entrera en vigueur le 26 septembre 2026 pour encadrer la prescription de Blincyto® (blinatumomab) dans cette indication pédiatrique non couverte à ce jour par son autorisation de mise sur le marché (AMM), tout en assurant un suivi des patients traités et une collecte des données, conformément au protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP).

Les leucémies aiguës lymphoblastiques (LAL) sont des hémopathies malignes rares, mais constituent le cancer le plus fréquemment diagnostiqué chez l'enfant et l'adolescent. Environ 85 % des LAL pédiatriques sont des LAL de la lignée B (LAL-B)². Le traitement de la LAL-B nouvellement diagnostiquée associe plusieurs phases de polychimiothérapie : induction, consolidation puis entretien.

Les progrès accomplis au cours des dernières décennies ont permis d'atteindre des taux de guérison proches de 90 % chez l'enfant^{3,4}. Néanmoins, la maladie reste hétérogène et certains enfants présentent des facteurs associés à un risque accru de rechute. Parmi les enfants ayant obtenu une rémission complète après un traitement de première ligne, environ 15 à 20 % connaîtront une première rechute⁵.

Blincyto® (blinatumomab) : une immunothérapie ciblant les cellules de la LAL-B

Blincyto® (blinatumomab) est un anticorps bispécifique dont le mécanisme d'action repose sur la technologie BiTE® (Bispecific T-cell Engager). Dans l'étude de phase III AALL1731, menée chez des enfants atteints de LAL-B à risque intermédiaire ou élevé, l'ajout de deux cycles de blinatumomab à la chimiothérapie standard a permis d'améliorer la survie sans maladie par rapport à la chimiothérapie seule⁶.

D'autres données suggèrent également que l'intégration du blinatumomab au traitement de consolidation pourrait contribuer à réduire l'exposition à certains blocs de chimiothérapie

¹ Décision du 22/09/2026 – Cadre de prescription compassionnelle du médicament Blincyto 38,5 microgrammes, poudre pour solution à diluer et solution pour solution pour perfusion – [site de l'ANSM](#)

² NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology. Acute Lymphoblastic Leukemia. 2021.

³ National Cancer Institute. Childhood acute lymphoblastic leukemia treatment (PDQ) – Health professional version. 2019

⁴ Pui CH et al. Childhood acute lymphoblastic leukemia: progress through collaboration. J Clin Oncol. 2015;33:2938–2948.

⁵ Locatelli F et al. How I treat relapsed childhood acute lymphoblastic leukemia. Blood. 2012;120:423–438.

⁶ Gupta S et al. Blinatumomab in standard-risk B-cell acute lymphoblastic leukemia in children. N Engl J Med. 2024.

intensive chez des patients pédiatriques à haut risque, tout en maintenant un suivi attentif de la tolérance.

Le CPC : un dispositif d'accès dérogatoire permettant de répondre à un besoin thérapeutique non couvert

Le CPC est un dispositif d'accès dérogatoire exceptionnel prévue par le Code de la santé publique. Il permet d'encadrer et de sécuriser la prescription d'un médicament dans une indication non couverte par son AMM, lorsque l'ANSM considère que son efficacité et sa sécurité sont présumés au regard des données cliniques disponibles et qu'il n'existe pas de traitement approprié. Afin de bénéficier de Blincyto® (blinatumomab) dans cette indication, les centres devront renseigner son utilisation comme relevant du CPC selon les modalités de codage prévues à cet effet, qui seront précisées prochainement.

Dans le cadre de ce CPC, l'utilisation de Blincyto® (blinatumomab) fait l'objet d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients, précisant notamment les modalités de prescription, d'administration et de suivi, ainsi que pour le recueil des données prévues dans le dispositif.

« Chez les enfants atteints de LAL-B nouvellement diagnostiquée présentant un risque intermédiaire ou élevé de rechute, chaque avancée permettant de mieux sécuriser et personnaliser le parcours de soins est importante. Le cadre de prescription compassionnelle établi pour Blincyto® (blinatumomab) répond à cet enjeu en encadrant son utilisation dans le traitement de consolidation de ces jeunes patients », souligne le Dr Béatrice Fiquet, Directrice médicale Onco-Hématologie d'Amgen France.

Amgen France est pleinement mobilisé aux côtés des professionnels de santé pour accompagner la mise en œuvre de ce dispositif, dans le respect du protocole défini par l'ANSM, au bénéfice des enfants concernés et de leurs familles.

Pour en savoir plus :

- Consulter l'autorisation et les conditions du CPC sur le [site de l'ANSM](#)

À propos d'Amgen

Les patients. Depuis plus de 45 ans. De la génétique à la génomique, et aujourd'hui plus que jamais l'intelligence artificielle, Amgen a toujours fait de l'innovation thérapeutique une priorité pour améliorer la vie de millions de personnes à travers le monde. Devenue au fil des décennies un leader mondial des biotechnologies, l'entreprise repousse les frontières de la science pour accélérer la recherche et le développement de nouveaux traitements contre les maladies les plus graves.

En France depuis 1990, Amgen compte aujourd'hui près de 350 collaborateurs dont 20% dédiés à la R&D. Avec près de 20 médicaments commercialisés en France et de nombreux partenariats publics/privés, Amgen France est devenu un acteur clé de l'écosystème de l'innovation en santé, occupant la place stratégique de 3^e filiale européenne d'Amgen en matière de recherche clinique. Une ambition : faire sans cesse progresser la prise en charge des patients atteints de cancers, de maladies cardiovasculaires, inflammatoires ou rénales et des maladies rares.

De quoi sera faite la santé de demain ? Suivez nos actualités sur www.amgen.fr et les réseaux sociaux @AmgenFrance. #WeAreBiotech

Contacts presse Amgen France :

Agence PRPA : Clémence Danvel – clemence.danvel@prpa.fr – 06 61 53 20 74
Amgen France : Julie Soma – jsoma@amgen.com – 06 88 64 81 86