

Accès compassionnel à la droxidopa (DOPS OD®) dans l'amylose

Fiche pratique — Procédure e-Saturne pour les prescripteurs

Cher collègue,

La droxidopa (DOPS OD®) n'a pas d'autorisation de mise sur le marché (AMM) en France ni en Europe — elle n'est approuvée qu'aux États-Unis (Northera®). Dans l'amylose, elle peut être proposée en 3^e ligne de l'hypotension orthostatique neurogène, en cas d'échec ou d'intolérance à la midodrine et à la fludrocortisone. Son accès en France passe obligatoirement par une demande nominative à l'ANSM.

! Un changement de nom à connaître

Depuis le 1^{er} juillet 2021, l'ancienne « ATU nominative » n'existe plus formellement : elle a été remplacée par l'Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC), délivrée par l'ANSM à la demande d'un professionnel de santé, pour un patient unique. Le terme « ATU » reste utilisé par habitude dans le langage courant, mais la procédure et les documents officiels parlent désormais d'AAC.

Le principe de l'accès compassionnel

L'AAC permet, à titre dérogatoire, d'utiliser un médicament sans AMM en France pour traiter une maladie grave ou rare, lorsqu'il n'existe pas de traitement approprié, que le patient ne peut être inclus dans un essai clinique et que la mise en œuvre du traitement ne peut être différée. (*Définition ANSM.*)

La procédure pas à pas

1. Vérifier le référentiel. Consulter le [référentiel des spécialités en accès dérogatoire](#) de l'ANSM pour confirmer les critères d'octroi en vigueur pour la droxidopa dans l'indication hypotension orthostatique neurogène. *Ces critères sont mis à jour régulièrement par l'ANSM : à vérifier avant chaque demande, y compris si la molécule a déjà été obtenue pour un patient précédent.*

2. Réunir le binôme prescripteur / pharmacien. La demande doit être portée conjointement par le médecin prescripteur hospitalier et le pharmacien de la Pharmacie à Usage Intérieur (PUI) de l'établissement. L'accès à la plateforme est strictement réservé à ces deux profils (carte CPS requise), ainsi qu'aux internes en médecine.

3. Déposer la demande sur e-Saturne. Toutes les demandes d'AAC s'effectuent exclusivement via l'application [e-Saturne](#), disponible 24h/24 et 7j/7. Il n'existe plus de formulaire papier à télécharger et joindre : la demande nominative se remplit directement en ligne.

4. Cas d'urgence. En dehors des heures ouvrables, si la demande est jugée conforme aux critères d'octroi par le prescripteur et le pharmacien de la PUI, l'accord oral préalable de l'ANSM n'est pas requis : la régularisation se fait a posteriori via e-Saturne. Le système d'astreinte de l'ANSM reste toutefois maintenu en cas d'urgence vitale.

5. Après obtention de l'AAC. La dispensation est assurée par la PUI de l'établissement. Un suivi du patient (efficacité, tolérance) est requis, comme pour tout accès dérogatoire.

Documentation et liens utiles

[Connexion à e-Saturne](#)

[FAQ e-Saturne \(ANSM\)](#)

[Guide d'utilisation e-Saturne — Prescripteurs \(2024\)](#)

[Guide d'utilisation e-Saturne — Pharmaciens PUI \(2024\)](#)



www.reseau-amylose.org

[Référentiel des spécialités en accès dérogatoire \(ANSM\)](#)

[En savoir plus sur les accès compassionnels \(AAC\) — ANSM](#)

Contact : en cas de doute sur un patient ou sur l'indication amylose, vous pouvez vous rapprocher du Centre de Référence Amylose Cardiaque – CHU Henri Mondor (01 49 81 22 53) avant de déposer votre demande sur e-Saturne.

Le respect strict de cette procédure est essentiel. En tant que centre expert, nous nous y engageons — cela préfigure aussi les négociations pour l'accès à de futurs traitements de l'amylose.