

L.Tourvieille^{1,2}, V.Chamouard¹, J.Chassagne², S.Susen¹, G.Jondeau²

¹Filière de santé maladies rares MHEMO, maladies hémorragiques constitutionnelles, CHU de Lille, France

²Filière de santé maladies rares FAVA-Multi, maladies vasculaires rares à atteinte multisystémique, Assistance Publique des Hôpitaux de Paris, France



Observatoire des traitements:

Pharmaciens: Laura Tourvieille, Valérie Chamouard

Coordonnatrice de la FSMR: Pr Sophie Susen

Centres de références:



Observatoire des traitements:

Pharmacien: Laura Tourvieille

Coordonnateur de la FSMR: Pr Guillaume Jondeau

Centres de références:



Recueil des usages de médicaments hors AMM:

Sollicitation des coordonnateurs de CRMR et de médecins spécialisés dans des usages plus spécifiques ;

Présence en Réunion de Concertation Pluridisciplinaire (RCP)

Implication des associations de patients:

Remontées d'information concernant des ruptures de stock ou des problèmes de prise en charge

ACCES AU TRAITEMENT

1 Prescriptions hors AMM:

Justification bibliographique après validation en RCP, demandes d'entente préalable auprès de la CPAM du patient pour instruction à la CNAM

2 Soumission de signalements en vue d'établir un CPC:

Rédaction par le(s) pharmacien(s) et les médecins experts de la filière (dont CRMR), voire médecins extérieurs ; Suivi de l'avancement

3 Participation aux dossiers d'accès précoces:

Dialogue avec les laboratoires pharmaceutiques, apport de l'expertise médicale et gestion de l'aspect organisationnel au sein de la FSMR

4 Processus de demandes d'AMM:

Participation aux dossiers d'AMM déposés à l'EMA sur sollicitation du laboratoire pharmaceutique

Recueil de données:

Détermination des modalités de suivi des accès dérogatoires et des critères recueillis, en lien avec les experts et le laboratoire ; Mise en avant des registres développés par la FSMR (exemples: FranceCoag pour les maladies hémorragiques, CIROCO pour la maladie de Rendu-Osler, la base Marfan etc...)

EXEMPLES DE PROJETS

MHEMO

Emicizumab

Prescriptions hors AMM dans l'hémophilie acquise validées en RCP nationale

Signalement en vue d'établir un CPC déposé auprès de l'ANSM en avril 2023

FAVA-MULTI

Bévacizumab

Signalement en vue d'établir une RTU déposé par l'équipe Rendu-Osler (>5 ans)

Echanges avec l'ANSM en cours pour mettre en place le CPC

MHEMO

Concizumab

Demandes d'autorisation d'accès compassionnel auprès de l'ANSM pour des patients validés en RCP Hémophilie

Participation au dossier d'accès précoce pré-AMM déposé par le laboratoire

FAVA-MULTI

Plusieurs médicaments

Diffusion d'une procédure intra-filière pour faire des demandes d'entente préalables à la Caisse Nationale d'Assurance Maladie pour que les prescriptions hors AMM soient prises en charge

+ Mise à disposition en France de dispositifs médicaux innovants et problématique du reste à charge dans le traitement du Lymphoedème primaire

Organisation interfilière des Observatoires des Traitements

Réunions tous les 2 mois pour échanger sur les sujets en commun:

- Partage d'expériences et de ressources
- Relai d'informations
- Concertation pour échanger avec les instances et participer au PNMR4