

OBSERVATOIRE DES TRAITEMENTS DE LA FILIÈRE DE SANTÉ DES MALADIES NEUROMUSCULAIRES RARES FILNEMUS

- Rabia Soussi, Cheffe de projet adjoint – FSMR Filnemus, Hôpital de La Timone APHM, Marseille, France
- Lucie Pisella, Cheffe de projet – FSMR Filnemus, Hôpital de La Timone APHM, Marseille, France
- Guillaume Hache, Pharmacien, Hôpital de La Timone APHM, Marseille, France
- Christophe Duguet, Directeur des affaires publiques, AFM-Téléthon, Evry, France
- Hervé Nabarette, Directeur adjoint des affaires publiques, AFM-Téléthon, Evry, France
- Jean-Philippe Plançon, Président de l'Association Française contre les Neuropathies Périphériques, La Baule-Escoublac, France
- Pr. Shahram Attarian, Coordonnateur de la filière Filnemus, Hôpital de La Timone APHM, Marseille, France
- Membres des Commissions Essais thérapeutiques Adultes et Pédiatriques Filnemus



CONTEXTE ET OBJECTIFS

Axe 4 du PNMR3: « promouvoir l'accès aux traitements dans les maladies rares »

Action 4.2: Créer un observatoire des traitements au sein des comités consultatifs multidisciplinaires d'évaluation dans chaque FSMR afin d'identifier les traitements d'intérêt

Action 4.4: Mieux encadrer les pratiques de prescriptions hors-AMM

L'observatoire : « un nouvel organe collaboratif placé au sein des filières »

- **Echange et partage d'information dans la filière**
- **Repérage et suivi de l'arrivée de nouveaux produits**
- **Veille sur les pénuries et ruptures notamment dans les utilisations hors AMM**
- **Information / formation sur les nouveaux dispositifs compassionnels/précoces**
- **Repérage et stratégies d'action pour les produits hors AMM**
- **Expérimentation de pilotes de collecte de données**

EXEMPLES D' ACTIONS MENÉES ET EN COURS

Repositionnement d'un médicament

- Un **PHRC pour l'utilisation de la metformine dans la maladie de Steinert** (ou Dystrophie myotonique de type I) a obtenu un financement en 2022 et est en cours:

« *Evaluation de l'efficacité et de la sécurité de la metformine dans la dystrophie myotonique de type I (maladie de Steinert). Etude de phase III prospective, multicentrique, randomisée, contrôlée en double aveugle* ». Porteur du projet: Pr Laforêt – CRMR Nord-Est-Ile de France

Revue systématique: duloxetine

De nombreuses études ont démontré l'efficacité de la duloxetine pour traiter les douleurs neuropathiques

Une revue systématique de la littérature sur l'utilisation de la duloxetine dans les douleurs neuropathiques a été faite

- Ce travail pourrait conduire à une demande d'autorisation d'accès compassionnel
- Attente des nouvelles consignes de l'ANSM

Registre national de suivi de traitements

Mise en place en cours d'un registre national de suivi des traitements chez les patients atteints de myasthénie auto-immune. Il permettra notamment de générer des collectes de données en vie réelle

Veille sur les risques de pénuries de médicaments hors AMM

- **Objectif: assurer une continuité de traitement pour les patients**

Immunoglobulines (Ig)

Face au risque important de pénurie d'immunoglobulines (Igs) causée par une baisse de la production pendant la pandémie COVID-19, Filnemus s'est fortement investie dans le groupe de travail mis en place par l'ANSM en 2020 (comité scientifique temporaire: CSST-Ig). Cet investissement s'est poursuivi en 2021 et 2022.

Travail en étroite collaboration avec d'autres filières (FAI²R, MaRIH), des associations de patients dont l'AFNP et l'AFM-Téléthon ainsi que d'autres acteurs pour identifier des stratégies afin que l'impact des tensions d'approvisionnement sur la prise en charge des patients soit le plus faible possible.

Actions menées:

- Envoi d'alertes à l'ANSM
- Contribution à la rédaction de recommandations nationales (document de hiérarchisation des indications sur le site de l'ANSM)
- Enquête(s) annuelles auprès des centres Filnemus sur les conditions d'utilisation des immunoglobulines et l'impact sur les pratiques médicales
- Echanges réguliers avec les associations de patients concernées
- AMM transitoires obtenues pour d'autres Ig (s.c ou IV) en contexte de forte tension
- Sollicitation des laboratoires pour mise à disposition de leur stock

- Une demande a été faite à l'ANSM pour avoir une information plus régulière sur l'état de l'offre et la demande

Salbutamol

Fin 2021: rupture de stock du Salbutamol en comprimés et efficacité moindre de l'alternative proposée (salbutamol / sirop) rapportée par des médecins de la filière et par l'association de patients AFM-Téléthon.

Actions menées:

- Nombreuses alertes à l'ANSM et prise de contact avec le laboratoire fabriquant du salbutamol
- Juin 2022: avec l'accord de l'ANSM, remise à disposition par le fabricant d'un stock **limité** de salbutamol comprimés
- Juillet 2023: l'ANSM a identifié 2 nouveaux distributeurs de ce médicament permettant la continuité de traitement des patients dans les hôpitaux français

