



Filnemus
Filière Neuromusculaire

Mise en place de l'observatoire des traitements utilisés dans les MNM



Auteurs : Rabia Soussi, Christophe Duguet, Lucie Pisella, Guillaume Hache, Annamaria Molon, Hervé Nabarette, Agnès Denimal, Shahram Attarian

Contact : rabia.soussi@ap-hm.fr



CONTEXTE et OBJECTIFS

Depuis 2018 : multiplication des thérapies innovantes pour les maladies rares et des pénuries et rupture d'approvisionnement de nombreux médicaments

Depuis le 1er juillet 2021 : une réforme en profondeur du système des ATU

Disparition des ATU nominatives, ATU de cohorte, Post ATU et RTU ...

Accès précoce :

- Avant et après l'AMM
- Pour les produits avec un labo dans une dynamique de commercialisation

Accès compassionnel :

Pour les produits sans labo avec une dynamique de commercialisation

- **Autorisation d'accès compassionnel** : nominative pour un patient donné à la demande d'un clinicien
- **Cadre de prescription compassionnelle** :
 - à l'initiative de l'ANSM, du ministère ou des Filières de santé maladies rares
 - Une prise en charge financière automatique dès la décision de l'ANSM
 - Dans certains cas, une obligation de recueil de données par les prescripteurs



Axe 4: Le PNMR3 a pour ambition de 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

- Etat des lieux, régulièrement mis à jour, des médicaments proposées aux malades dans le traitement des maladies rares

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

- S'efforcer de régulariser les pratiques de prescriptions hors AMM par l'établissement d'un cadre de prescription compassionnelle (ex RTU) lorsque les données disponibles sont jugées suffisantes par l'ANSM ou à défaut, améliorer les connaissances sur ces pratiques

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/précoce**
- **Repérage et stratégies d'action pour les produits hors AMM**
- **Expérimentation de pilotes de collecte de données**

**L'objectif n'est pas de créer des contraintes
mais de permettre des réponses nouvelles pour les acteurs de la filière
pour les anciens et nouveaux traitements**



Le cadre d'intervention de l'observatoire des traitements a été défini dans la **note d'information du 20 Mai 2021 DGS/DGOS**.

Dans un premier temps:

- recenser les pratiques de prescription hors AMM d'intérêt
- bâtir, à partir de ces travaux, une stratégie partagée spécifique à la filière en matière de portage des médicaments concernés en termes de repositionnement, d'accès compassionnel, de mise en place d'un recueil de données complémentaires ou de promotion d'essais cliniques.

METHODOLOGIE



ACTIONS REALISEES

Filnemus collabore avec l'association AFM-Téléthon pour recenser les médicaments prescrits dans les MNM

Recrutement d'une Chargée de Mission en novembre 2021

Groupe de travail IgIV

- En 2020, l'ANSM a été alertée du risque de rupture d'approvisionnement en Immunoglobulines
- Filnemus a travaillé 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 la prise en charge des patients ne soient pas impactées par ce risque de rupture



Filnemus s'est portée volontaire pour travailler sur un projet pilote de mise en place d'un registre des traitements hors-AMM.
3 autres FSMR travaillent également sur ce projet: FAI²R, FIMARAD et G2M

Les objectifs sont de:

- Repérer **deux molécules d'intérêts prescrites hors-AMM**
- Recueillir des données complémentaires sur ces médicaments via la **mise en place d'un registre**
- Suivre en vie réelle des médicaments d'intérêt pour avoir les connaissances scientifiques suffisantes et faire une **demande de cadre de prescription compassionnelle (CPC, ex-RTU)** auprès de l'ANSM

METHODOLOGIE ENVISAGEE

- Concertation des médecins lors de la réunion du Comité de Pilotage et de la commission essais thérapeutiques pour le choix d'une 1^{er} molécule: le **rituximab**
- Le **choix de la pathologie reste à valider** : myasthénies ? Neuropathies autres que neuropathies anti MAG ?...

Mise en place du registre dans le cadre d'un projet **de recherche clinique**

- collecte des données patients/formulaires eCRF
- Le recueil de données serait à la fois **rétrospectif** (4-5 ans) et **prospectif** (1 an)



Septembre
2022



1 an



30
centres



300
patients

Les **ARC présents dans les centres et travaillant sur le projet errance et impasse diagnostique** recueilleraient ces données

- Renforcement du temps des ARC présents dans les centres si nécessaire
- Formation des ARC au recueil des données via eCRF

⇒ Septembre 2023: demande de **cadre de prescription compassionnelle (CPC, ex-RTU)** pour le **rituximab**