

# Utilisation des traitements innovants en vie réelle retour d'expérience : Nerf

David Adams

# Médicaments innovants pour le nerf : une liste qui se rallonge

- Neuropathie amyloïde à TTR : depuis 2012
  - 3 médicaments innovants !
    - VYNDAQEL® ASMR IV stabilisateur de TTR AMM 2012
    - TEGSEDI® ASMR IV : oligonucléotides antisens SC/ sem AMM 2018
    - ONPATTRO® ASMR III : ARN interférent iv/3 sem AMM 2018
- PIDC
  - Formes SC Hizentra® AMM
  - Rituximab® hors AMM
- Neuropathies anti-MAG
  - Rituximab® hors AMM
- CMT1A
  - PXT3003 ?
- Des essais cliniques en cours et à venir : Amylose, SGB, anti-MAG, ...

# Les RCP CRMR incontournables

- Rythme hebdomadaire
- Pour :
  - Initier un traitement innovant
  - Interrompre un traitement innovant
  - switcher d'un traitement T vers un traitement innovant
  - homogénéiser les pratiques (RCP national)
- Adressage vers CRMR pour
  - autorisation utilisation
  - et modalités de suivi

# Pistes de travail

- Collaboration ANSM :

- Le **Sniiram** (*système national d'information interrégimes de l'Assurance Maladie*) est accessible aux régimes d'assurance maladie et à de nombreux partenaires (services ministériels, agences sanitaires, organismes publics de recherche), à l'exclusion de tout organisme poursuivant un but lucratif.
- La Cnamts peut mettre à disposition des données extraites du Sniiram après accord des instances ayant compétences à autoriser ces traitements (CSIS, CCTIRS, IDS, Cnil) et sous certaines conditions juridiques et techniques. Une demi-journée d'information est organisée par la Cnamts pour accompagner les équipes de recherche dans ***l'utilisation des données du Sniiram à des fins d'études et de recherche.***