

Modalités de prise en charge des médicaments dans le traitement de la Maladie de Gaucher



Journée Maladie de Gaucher
24 mars 2006

Christine BROISSAND

Hôpital Necker-Enfants Malades



Maladie de Gaucher

- Maladie rare → Plan maladies rares
- ALD figure sur la liste des 30 affections exonérantes : groupe des maladies métaboliques héréditaires nécessitant un traitement prolongé spécialisé
- Circ. du 28.06.1996 = prise en charge spécifique des MMH



Les traitements disponibles

CEREZYME imiglucérase [60 U/kg/j]

- Flacon de 400 U de poudre pour solution à diluer **pour perfusion**
- Boîte de 1 flacon

ZAVESCA miglustat [3 x 100 mg/j]

- **Gélule** dosée à 100 mg
- Boîte de 84 gélules
- Médicament orphelin

Suivi du patient et Mise en place d'un traitement





Protocole de soins

- = formulaire de demande de prise en charge à 100%
- Précise les soins, les actes nécessaires (le traitement,...)
- Conditions de prise en charge
- Médecin traitant
- Recommandations : HAS en attente



Traitements disponibles : AMM

- CERZYME est indiqué comme ttt enzymatique substitutif à long terme chez des patients qui présentent un diagnostic confirmé de la MG non neuronopathique (type 1) *ou neuronopathique chronique (type 3)* et qui présentent des manifestations non neurologiques cliniquement significatives de la maladie.
- ZAVESCA est indiqué pour le ttt par voie orale de la MG de type 1 légère à modérée. Zavesca ne doit être utilisé que pour le ttt des patients chez lesquels la TRE ne convient pas.



Qui peut prescrire ?

Médicaments à prescription restreinte
de la catégorie

Médicament à prescription hospitalière

☛ donc prescription par tout médecin
hospitalier



Les 5 catégories de médicaments à prescription restreinte

1. médicaments réservés à usage hospitalier (RH)
2. médicaments à prescription hospitalière **(PH)**
3. médicaments à prescription initiale hospitalière (PIH)
4. médicaments à prescription réservée à des médecins spécialistes **(PRS)**
5. médicaments nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement (SP)



Médicaments à PH

(Articles R. 5121-84 à R.5121-86)

- Critères
 - ❖ Nécessité d'effectuer le diagnostic et le suivi dans un établissement disposant de moyens adaptés
 - ❖ Caractéristiques pharmacologiques
 - ❖ Degré d'innovation
 - ❖ Autre motif de santé publique
- Prescription hospitalière d'un Et. public ou privé



Disponibilité des médicaments à prescription restreinte

- Médicaments RH : PUI
 - prescrits et administrés en hospitalisation
- Médicaments des autres catégories :
 - Pour un usage ambulatoire : dispensation en officine de ville sauf si inscrits sur la liste «rétrocession»
 - Usage à l'Hôpital : disponibles à la PUI



Rétrocession

Décret n°2004-546 du 15 juin 2004 (JO du 16 juin 04) relatif aux catégories de médicaments à prescription restreinte et à la vente de médicaments au public par certains établissements de santé

- Autorisation PUI
- Liste JO 6 sept 2005 (CEREZYME+ZAVESCA)
- Prix de vente CEPS + marge
- Taux de remboursement = 100%



Où peut-on administrer le traitement ?

1. À l'hôpital

- en hospitalisation jour
- hospitalisation complète

2. À domicile

- ambulatoire
- en HAD



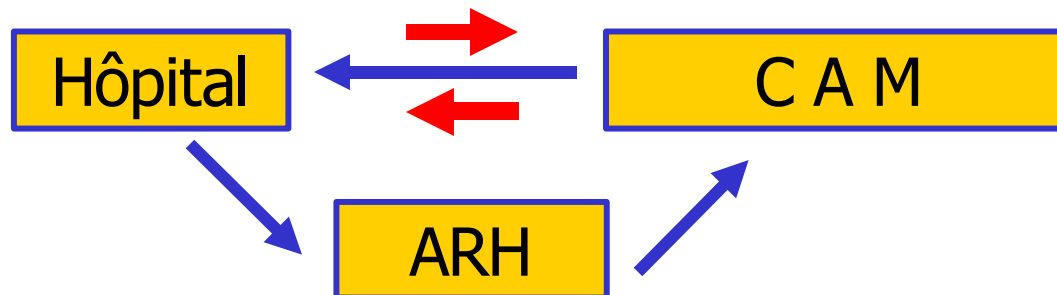
Sur quel support prescrire ?

Prescription nominative

- Pour une administration à l'hôpital :
sur ordonnance T2A
- Pour une administration à domicile :
 - sur ordonnance T2A si HAD
 - sur ordonnance "bi-zone ALD"

Tarification à l'activité T2A

- Se substitut à la DGF depuis 01.01.2004
 - L'activité détermine les ressources
 - Approche médicalisée de l'activité
- Facturation directe des Etabl. vers Caisse d'Ass. Maladie sur présentations des factures





Tarifification à l'activité T2A

- **GHS** Prestations d'hospitalisation

+

- Paiement en sus **Médicaments*et DM***

*onéreux sur liste limitée: Cerezyme et Zavesca

- Subordonné au contrat bon usage des médicaments, produits et prestations de santé mentionné à l'art.L162-22-7 CSS



Contrat Bon Usage

Décret du 24 août 2005

- CBU signé entre Direction et ARH – 3 objectifs :
2. Meilleure maîtrise des dépenses
 3. Sécurisation du circuit du Médicament :
informatisation des prescriptions et suivi du
Médicament → la consommation individuelle
par patient et par service en 2006 doit être
fournie par les PUI
 4. Optimisation de la prescription



Contrat Bon Usage

- Garantir des prescriptions à bon escient des médicaments et DM
- Circ. DHOS du 19/01/06 : « s'agissant des médicaments désignés comme "orphelins", la prescription initiale se fera après avis du centre de référence labellisé pour la maladie rare ou le groupe de maladies rares concerné et sur la base des protocoles thérapeutiques validés par l'HAS quand ils existent »

IMIGLUCERASE :CEREZYME ®

Prescripteur		Patient	
Nom :	Nom :
Hôpital :	Prénom :
Service :	Date de naissance :
UA :	N°P/N°IA :
Téléphone :	Poids (Kg) :

Indications reconnues

Il s'agit d'un traitement enzymatique substitutif à long terme chez des patients présentant un diagnostic confirmé de maladie de Gaucher de type I ou III et qui présentent des manifestations non neurologiques cliniquement significatives de la maladie.

Autre motif de prescription

Préciser

Prescription

Imiglucérase:

Date :

Signature :

Cadre réservé à la Pharmacie

Médicament dispensé	Quantité	Numéro d'ordonnancier
Cérazyme® U

Date :

Signature :



Les 3 niveaux de prescription

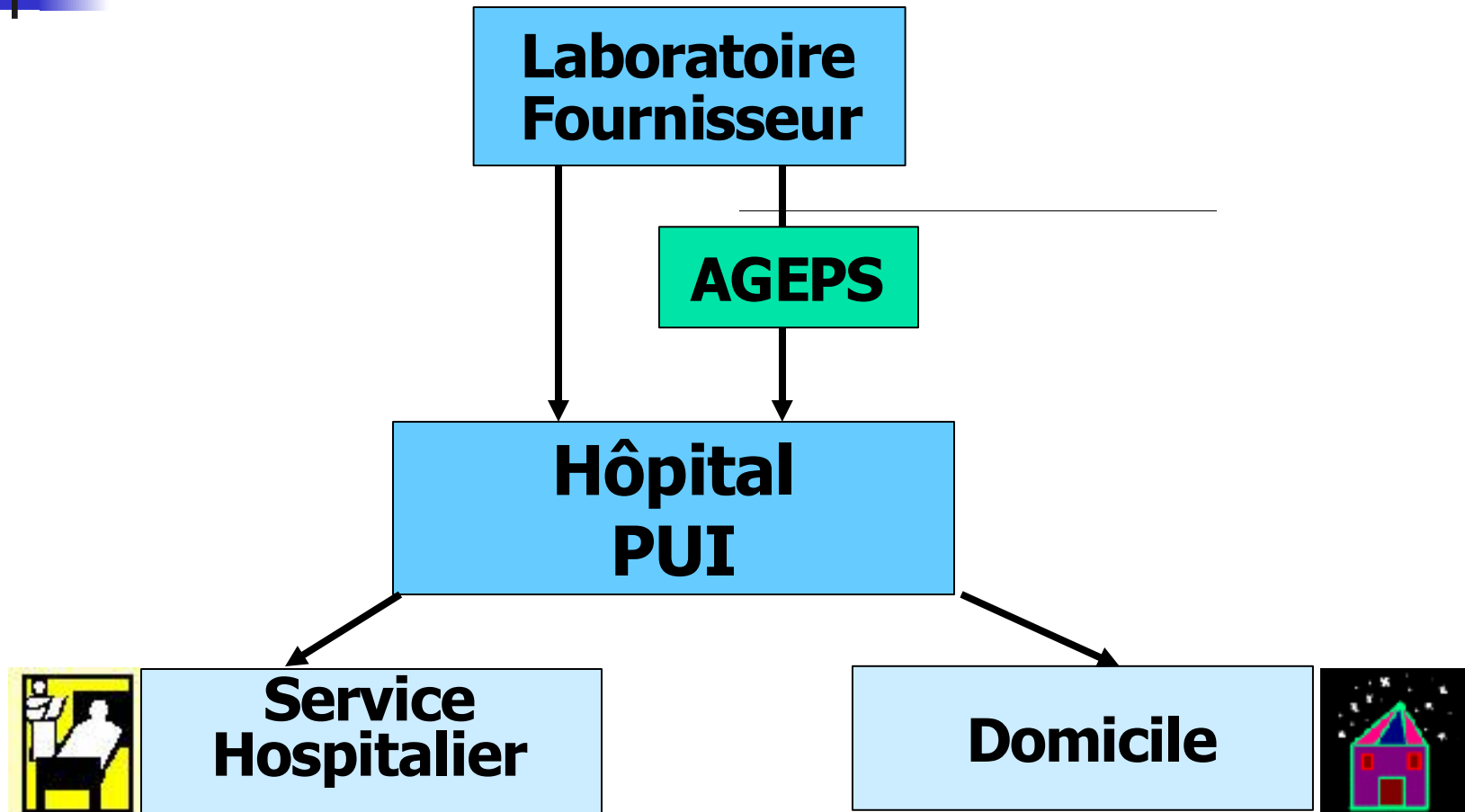
- Gpe I : AMM et protocoles thérapeutiques définis par l'Afssaps, HAS, INCa
 - Gpe II : indications validées scientifiquement et indications sur justification spécifique (pédiatrie, impasse thérapeutique...)
 - Gpe III : indications non validées ou autres
- ⇒ remboursement lié au respect des référentiels



Qui fournit le traitement ?

1. Pour une administration à l'hôpital :
la PUI de l'hôpital
2. Pour une administration à domicile :
une PUI dans le cadre de la
rétrocession ou la PUI de l'HAD

Circuit du médicament



Coût Unitaire : tarif national fixé par le CEPS



- CERZYME 400 U : 1732,743 € le flacon
T2A (Jo du 10/05/05)
Rétrocession (Jo du 24/12/04)
- ZAVESCA 100 mg : 87 € la gélule
T2A (Jo du 16/06/05)
Rétrocession (Jo du 24/12/04)



Coût du Traitement Journalier ou par cure

En hospitalisation

- Coût pour une cure de CERZYME 60 U/kg
Selon le poids du patient de 20 kg à 80 kg
Coût varie de 5 307 à 21 229 €
- Coût de Traitement Journalier pour ZAVESCA
à la dose de 300 mg : 266,48 €



Coût Annuel TTC

- CEREZYME 60 U/kg/15j
20 à 80 kg [137 992 à 551 969 €] hospi
20 à 80 kg [158 691 à 634 764 €] amb
- ZAVESCA 300 mg/j
97 265 € hospitalisation
111 855 € ambulatoire



Conclusion : en pleine réforme

- Hôpital : T2A, liste positive, Contrat Bon Usage
- Ambulatoire : Réorganisation, Liste positive
- Tarification nationale
- Centres labellisés, PNDS
- Pour une amélioration de la prise en charge des patients