

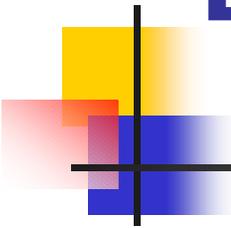
Modalités de prise en charge du traitement de la Maladie de POMPE

**1ère Journée Française
consacrée à la maladie de Pompe**

30 novembre 2006

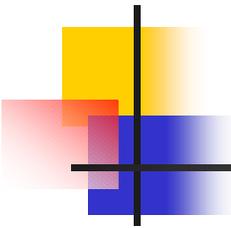
Hôpital Pitié-Salpêtrière

Christine BROISSAND



Le traitement médicamenteux : MYOZYME®

- **Principe actif : alpha alglucosidase**
- **Flacon de 50 mg de poudre pour solution à diluer pour perfusion**
- **50 mg + 10,3 ml EPPI**
- **Puis dans NaCl 0,9% pour une concentration finale de 0,5 mg/ml à 4 mg/ml**
- **Posologie : 20 mg/kg/2 sem en perf IV lente**
- **Laboratoire GENZYME**
- **Médicament orphelin**



AMM de MYOZYME®

- **Obtenue le 29/03/2006 (centralisée)**
- **Myozyme® est indiqué dans le traitement enzymatique substitutif (TES) au long cours chez les patients ayant un diagnostic confirmé de la MP (déficit en α -glucocidase acide [GAA])**
- **Les bénéfices de Myozyme®, pour les patients atteints de la forme tardive de la MP, n'ont pas été établis.**

Qui peut prescrire ?

**Médicaments à prescription restreinte dans la catégorie
Médicaments Réservés à l'usage Hospitalier (RH).**

→ donc prescription par un médecin hospitalier

**Nb : le traitement doit être supervisé par un médecin ayant
l'expérience de la prise en charge des patients atteints
de la MP ou d'autres MMH ou neuromusculaires.**

→ donc administration en milieu hospitalier

- **hospitalisation de jour**
- **hospitalisation complète**



Circuit administratif d'un médicament

ATU



AMM



CT

**Taux de remboursement
Agrément collectivités**



CEPS

**Prix fixé T2A
et/ou prix de cession**

Avis de la Commission de Transparence

20 septembre 2006

- SMR :**
- Important dans la forme infantile de la MP
 - Insuffisant en l'absence de démonstration actuelle d'efficacité dans la forme tardive de la MP (âge de début des symptômes au-delà de 5 ans).

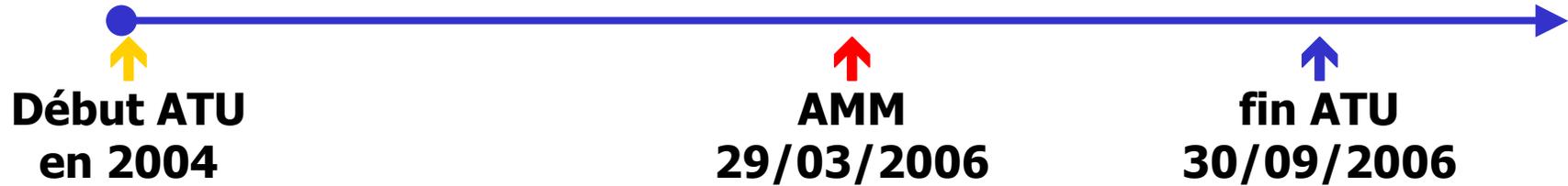
- ASMR :**
- Amélioration importante (niveau II) dans la seule forme infantile de la MP

→ **Avis favorable** pour l'agrément à l'usage des collectivités et divers SP pour la forme infantile de la MP

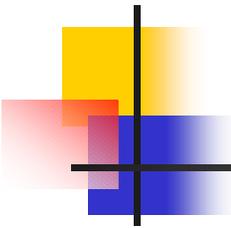
→ **Avis défavorable** pour la forme tardive de la MP

Directive de DHOS du 29 sept. 2006

Fixe les modalités de financement de MYOZYME après la période des ATU



- **Patient avec ATU nominative** → on continue* :
budget MIGAC au titre de l'innovation médicale
* si forme tardive : évaluation périodique (CT)
- **Nouveau patient** → avis d'un centre de référence
ou dans essais cliniques (CT)



Liste des principaux centres de référence maladies rares labellisés concernés par la prescription du MYOZYME

- 1. Maladies héréditaires du métabolisme**
5 centres (Marseille, 1 AP-HP, Lille, Nancy, Lyon)

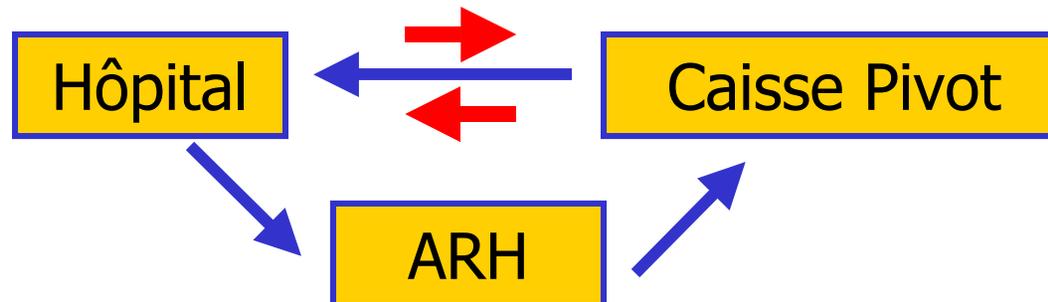
- 2. Maladies neuromusculaires**
10 centres (4 AP-HP, Marseille/Nice, Lille, Fort-de-France, Strasbourg, Nantes, Saint-Etienne)

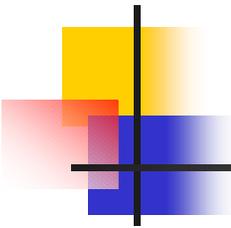
Quel financement ?



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 Établissements vers CAM sur présentations des factures**

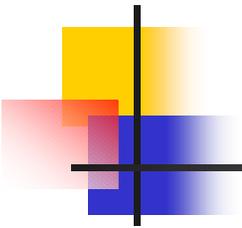




Contrat Bon Usage Décret du 24 août 2005

CBU signé entre Direction et ARH – 2 objectifs :

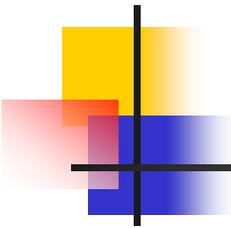
- 1. Engager les Établissements De santé dans une démarche qui favorise le bon usage du médicament et des DM pour une amélioration de la qualité et sécurité des soins.**
- 2. Garantir le bien fondé des prescriptions des spécialités Pharmaceutiques et des DM facturables en sus.**



Contrat Bon Usage

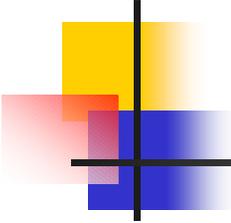
Décret du 24 août 2005

- Engagement d'amélioration et sécurisation du circuit des médicaments et DM validés par l'HAS quand ils existent »
- Développer des pratiques pluridisciplinaires ou en réseau et respect des référentiels : **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 ».



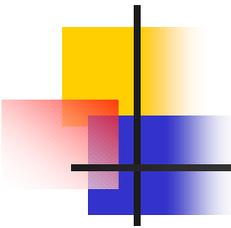
Maladie de Pompe

- **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**



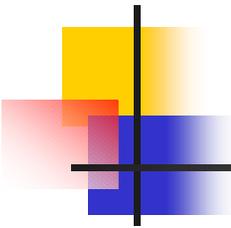
Protocole de soins

- = 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



Coût du traitement

- **575 € HT le flacon**
- **Par cure pour une posologie de 20 mg/kg selon le poids du patient 20 à 60 kg
coût variant de 4 600 à 13 800 €**
- **Coût annuel 1 dose/15 jours
coût variant de 119 600 à 358 800 €**



EN ATTENTE

- **Agrément aux collectivités**
- **Inscription sur la liste « hors GHS »**
- **Prix CEPS**
- **P.N.D.S.**
- **Données complémentaires dans la forme tardive de la maladie de Pompe**