

Direction : Direction Médicale Médicaments 1
Pôle 3 Greffe, thérapie cellulaire, transfusion, médicaments dérivés du plasma, radio-pharmaceutiques, agents de contraste
Personnes en charge : Caroline Matko / Isabelle Sainte-Marie

Comité scientifique temporaire

« Evolution du circuit de dispensation des médicaments indiqués dans le traitement de l'hémophilie et autres maladies hémorragiques rares »

Séance du 08 décembre 2021

Ordre du jour

	Points prévus à l'ordre du jour
1.	Introduction, rappel du contexte et des conclusions de la 1 ^{ère} réunion du CST (ANSM)
2.	Point d'avancement depuis la 1 ^{ère} réunion du CST
3.	Retour sur la consultation des OMÉDIT (DGOS)
4.	Discussion

Participants

Nom des participants		Statut	Présent	Absent /excusé
Monsieur BONNEFOND (Gilles)	USPO	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Monsieur CAMAIONI (Fabrice)	FSPF	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
Madame CHAMOUARD (Valérie)	Hospices Civils de Lyon, Filière MHEMO	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Monsieur DUPORT (Gaëtan)	AFH	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Monsieur GIRAUD (Nicolas)	AFH	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Madame HARO-BRUNET (Elise)	CNOP	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
Madame HARROCHE (Annie)	Hôpital Necker, Filière MHEMO	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Madame LOPEZ (Isabelle)	Hôpital Cochin, Filière MHEMO	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Monsieur NÉGRIER (Claude)	CHU Lyon, Filière MHEMO	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Monsieur PILORGÉ (Fabrice)	AFH	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Madame SUSEN (Sophie)	CHU Lille / Filière MHEMO	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Madame DARGAUD (Yessim)	AFH	Membre (en cours de nomination)	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Madame WITTEVRONGEL (Jocelyne)	FSPF		<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Madame PETIT (Isabelle)	DGOS		<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Madame LAFOREST-BRUNEAUX (Agnès)	DGOS		<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Nom des participants		Statut	Présent	Absent /excusé
Monsieur HARTMANN (Clement)	DGOS		<input checked="" type="checkbox"/>	
Madame SAINTE-MARIE (Isabelle)	ANSM (DMM1)	Directrice Modératrice	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Madame MATKO (Caroline)	ANSM (DMM1)	Cheffe de pôle	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Madame CAVALIER (Julie)	ANSM (DAJR)	Cheffe de pôle	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Madame THAMIN (Manon)	ANSM (DAJR)	Juriste	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Madame DING (Claire-Li)	ANSM (DMM1)	Evaluatrice	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Madame FRANCO (Sara)	ANSM (DMM1)	Evaluatrice	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Madame DUNAND (Anne)	ANSM (DMM1)	Evaluatrice	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

1. Introduction et rappel du contexte et des conclusions de la 1^{ère} réunion du CST

Dans les suites du Comité scientifique temporaire (CST) de mai 2021 et des réunions de concertation des parties prenantes ce deuxième CST a pour objectif de faire un point d'étape.

Des réunions de concertation avec la DGOS et le CNOP (absent de cette réunion) ont permis d'avancer sur le sujet.

A ce stade, le CST a besoin d'éléments complémentaires venant du terrain afin de statuer sur la demande et répondre au mieux aux besoins.

La DGOS présente au cours du CST une enquête en cours d'élaboration avec le concours des OMEDIT. Le PERMEDES évoque de son côté une autre enquête, également en cours d'élaboration, ayant pour objectif d'étudier l'accessibilité aux traitements par médicaments de l'hémophilie en Auvergne-Rhône-Alpes. Les différentes parties prenantes feront un retour d'expérience sur la spécialité Hemlibra depuis sa mise à disposition en ville.

Le PERMEDES propose d'ajouter aux discussions du CST le *Collège de la pharmacie d'officine et pharmacie hospitalière* (CPOPH) composé notamment de représentants de syndicats de pharmaciens d'officine et hospitaliers et des sociétés savantes, pour élargir le débat à toutes les maladies rares. En effet, le Collège a pour missions d'assurer une fonction de représentation, d'expertise et de communication sur tous les sujets concernant la pharmacie et les prises en charge du patient en lien avec les produits de santé, de promouvoir le rôle des pharmaciens et d'assurer la visibilité de la profession dans les parcours de santé des patients. Une saisine du CPOPH permettrait d'obtenir une expertise complémentaire, de représenter toute la profession pharmaceutique et de donner un avis sur l'évaluation du parcours patient.

2. Point d'avancement depuis la 1^{ère} réunion du CST - Retour expérience HEMLIBRA

AFH

Double situation concernant l'hémophilie sévère. Beaucoup de patients sont demandeurs de disposer des médicaments de l'hémophilie en officine. Certaines situations sont simples, d'autres plus compliquées.

La question de l'évaluation du dispositif est en cours de réflexion par l'AFH en lien avec les CRH.

Les patients apprécient la simplicité du parcours pour ce médicament et se demandent pourquoi il n'est pas étendu à d'autres facteurs antihémophiliques.

CRH/PERMEDES :

Formation institutionnelle

Les pharmaciens et les patients

- 247 pharmaciens officinaux sont formés et « habilités » en France. Certaines officines ont plusieurs pharmaciens formés.
Typologie officine : zones de campagne, patient/famille connus = service adapté.
Répartition géographique des 247 Pharmaciens : homogène. Certaines régions plus vite impliquées dans le processus, mais on observe un rattrapage => l'ensemble du territoire français est concerné.

Environ 300 patients (= estimation car les données des patients ne sont pas accessibles : seul le CRC de proximité a l'information).

Un dispositif d'évaluation en cours de réflexion permettra d'affiner les chiffres.

900 patients sont sous Hemlibra, donc 1/3 auraient utilisé le nouveau circuit de ville.

2000 patients hémophiles sévères en France = population cible potentielle.

Liens entre officinaux/PUI

L'organisation

Les Centres de référence régionaux sont en lien avec le Centre de référence national. Toutefois, l'organisation favorise le lien local : si le Centre national est sollicité par le pharmacien d'une région, il est incité à se mettre en lien avec le référent local.

Les questions fréquentes portent sur :

- Complexité des schémas et modalités d'administration (dose et fréquence d'administration, flacons de concentrations différentes qui ne doivent pas être mélangés).
- Problème d'utilisation du kit.
- Surcoût sur le chiffre d'affaire, pouvant entraîner le refus de certaines officines par méconnaissance des dispositions spéciales concernant Hemlibra. Elles doivent être invitées à contacter l'USPO.

Des liens officinaux/PUI qui semblent fonctionner mais qui doivent être évalués

La notion d'urgence et la nécessité de retour d'information vers les hospitaliers semble bien comprise.

A ce stade, pas de problématique identifiée, mais le dispositif nécessite d'être évalué, pour notamment vérifier qu'il fonctionne bien et que le lien avec le CRC est bien conservé.

Le début de l'évaluation est prévu courant 2022.

Communication du laboratoire

L'industriel a un contact systématique avec le pharmacien d'officine pour une formation sur le "Bon usage" en lien avec les mesures additionnelles de réduction du risque dont fait l'objet Hemlibra.

Cette communication serait parfois considérée par les officinaux comme une formation. Ce qui risque alors de concurrencer la formation institutionnelle.

3. Enquêtes de terrain : OMEDIT-DGOS / PERMEDES

Enquête OMEDIT DGOS

Objectifs

1. Evaluer l'impact de l'évolution vers un double circuit de dispensation
 - Rétrocession => double circuit ? ou officine ?
 - Retex Hemlibra
2. Anticiper les conséquences d'une évolution notamment sur :
 - ⇒ La capacité des établissements de santé à détenir de stock destiné à la prise en charge en urgence des patients hémophiles
 - ⇒ Le suivi du patient
 - ⇒ En lien avec les spécificités des certains patients (pédiatrique, avec inhibiteurs....)
 - ⇒ L'adaptation des traitements et les choix thérapeutiques discuté entre la PUI et les équipes des CRTH
 - ⇒ Le parcours du patient
3. Réaliser une enquête sur un panel d'établissements de santé représentatifs des différents profils.

Au préalable un échange sera organisé avec PERMEDES qui a réalisé une enquête similaire.

Elaboration d'un questionnaire

Questions sur l'établissement

1. La typologie de l'établissement : Identification du répondeur, présence d'un CRTH
2. Le stock : Focus sur le stock détenu par la PUI.
 - Références commerciales : largeur et profondeur du stock, valorisation du stock.
 - Stock minimal pour répondre à la prise en charge en urgence d'un patient.
 - Recensement d'éventuelles péremptions du stock (valorisé)
3. La dispensation : Volume d'activité de la PUI.
 - Quantification du nombre de dispensation totale de facteurs antihémophiliques (FAH).
 - Part utilisée en hospitalisation ou rétrocédée → impact de la rétrocession sur la rotation du stock.
4. L'approvisionnement : Normal et urgent.
 - Possibilité de se dépanner en urgence ? A quel coût ? Disponibilité des quantités souhaitées ?
 - Echanges/ dépannages entre PUI ?
5. Les protocoles :
Switch de FAH selon ceux disponibles pour les urgences, patients avec des inhibiteurs de FAH, dosages pédiatrique.

Questions sur les patients et l'équipe médicale

Les patients :

1. La file active : Nombre
2. Les populations particulières : Ages extrêmes et personnes dépendantes.
Identification des populations nécessitant une prise en charge spécifique.
3. Formation et information du patient: Focus sur les actions mises en places par la PUI.
 - Programme d'ETP ? D'action éducative ciblée ? Supports éducatifs pour le patient ?
 - Contrôle du carnet de patient ?

L'équipe médicale :

Lien entre PUI – Médecin/CRTH

Questions sur l'impact du coût du traitement :

Le coût du produit influence-t-il les stratégies thérapeutiques ?

Questions sur le circuit de dispensation d'Hemlibra :

- Depuis sa sortie en ville, Hemlibra est-il toujours référencé et rétrocedé ?
- Evolution du nombre de patients ayant recours à la rétrocession pour cette spécialité ?
- Contact des officines avec la PUI ou le service clinique (si connu) ?

Questions sur la mise en place d'une dispensation en ville des FAH :

Avis de la PUI : Bénéfice pour les patients selon eux ?

PERMEDES : PHAREO Etude d'accessibilité au traitement.

L'objectif de cette étude est d'évaluer la perception des personnes atteintes d'hémophilie et autres déficits de la coagulation vis-à-vis de l'accessibilité aux traitements prophylactiques.

Un questionnaire destiné au Patient pour évaluer le ressenti vis-à-vis des kilomètres, du temps passé, la charge mentale qui pèse sur le patient et la famille.

Un questionnaire destiné aux Pharmaciens hospitaliers pour analyser la rétrocession afin d'avoir une vision globale de la situation et objectiver la problématique du stock.

Une prochaine étude sur HEMLIBRA impliquant Patients, Pharmaciens d'officine, Pharmaciens hospitaliers, et Prescripteurs sera élaborée en 2022.

4. Discussion

Evolution des médicaments de l'hémophilie :

Anticiper l'évolution de l'utilisation des facteurs de coagulation : l'augmentation des patients sous Hemlibra pourrait entraîner une diminution de la disponibilité des facteurs.

Il est probable que l'arrivée prochaine d'autres alternatives et molécules modifiera encore le paysage du traitement de l'hémophilie.

Nécessité d'être inventifs en termes de prise en charge des patients.

Régionalisation de stock obligatoire et tarification des produits :

Maintien de Centres spécifiques (CRH) pour gérer les urgences, les cas complexes :

Faut-il maintenir des PUI qui auraient une obligation de maintien d'un stock de plusieurs produits ?

Problématique : stock d'urgence, risque de péremption, engagement à maintenir stock, gestion des flux produits entre établissements de santé.

Comment financer cette activité ?

Appel d'offre, négociation de prix, remboursement au JO ?

Retrocession sur enveloppe ville ?

Tarification des produits : le CEPS vérifierait que les conditions de ville seraient aussi avantageuses que marché hospitalier actuel ?

Compensation des pertes par solidarité nationale ?

Implication des laboratoires possible pour optimiser la rotation des stocks : les laboratoires seraient contraints de répondre à une demande en urgence.

5. Conclusion - Actions

Attente des résultats des 2 enquêtes

Enquête OMEDIT/DGOS

Le questionnaire de l'étude reste à stabiliser. L'enquête pourrait être lancée début janvier 2022. La réception des questionnaires complétés, puis l'analyse de données pourraient durer 1 mois, mais la DGOS précisera le calendrier dès qu'il sera stabilisé.

Enquête PERMEDES

Lancement en janvier 2022.

Collège de la pharmacie d'officine et pharmacie hospitalière

Saisie du CPOPH à prévoir pour obtenir un avis complémentaire.

Information sur les travaux en cours

L'ANSM informera les membres du CST des éventuelles rencontres, auditions qui seraient réalisées avant la prochaine réunion plénière du CST.

Vision globale et anticipation

Même si cela est difficile, il faut essayer d'anticiper l'évolution du marché pour éviter de créer un nouveau circuit qui risque d'être obsolète rapidement et nécessiterait de refaire le même travail à l'arrivée des nouveaux produits sur le marché dans les années qui viennent.

Les professionnels de santé impliqués dans les essais cliniques en cours, peuvent aider à apporter l'éclairage permettant d'intégrer les nouvelles molécules dans la discussion : la typologie et spécificités de ces molécules sont déjà connues.