

Date document : 19.06.24  
 Direction : Europe et Innovation (DEI)  
 Pôle : Guichet Innovation et Orientation et essais précoces  
 Personnes en charge : Céline CHU / Sylvie BENCHETRIT  
 Numéro du document : 2024\_mars\_29\_CR\_CSP\_Pédiatrie

### Comité scientifique permanent « Pédiatrie »

Séance du 29 mars 2024 - 14h à 17h30, audiovisioconférence

Points	Sujets abordés	Action	Liens DPI
I	<b>Introduction</b>	Pour information	Non
II	<b>Réforme des accès dérogatoires par la direction Europe et Innovation</b>	Pour information	Non
III	<b>Plan National Maladies Rares par l'Alliance Maladies Rares et l'Assistance Publique des Hôpitaux de Paris</b>  Observatoire des traitements Banque nationale de données maladies rares Vers un 4ème Plan National Maladies Rares	Pour information	Non
IV	<b>Stratégie contre le mésusage médicamenteux en pédiatrie par la direction de la surveillance</b>	Pour information / discussion	Non
V	<b>Feuille de route du comité pédiatrique européen 2024</b>	Pour information	Non

<b>VI</b>	<b>Conclusion – Tour de table</b>	Pour information	Non
-----------	-----------------------------------	---------------------	-----

Nom des participants	Statut	Par audio- visioconfé- rence	Absent /excusé
<b>Membres du CSP</b>			
BERRUE-GAILLARD Hélène	Membre représentant associations patients	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
BERTHAUD Romain	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
BOILEAU Pascal	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
BOUQUET Sylvain	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
CALLOT Delphine	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
HUET-SALVETAT Isabelle	Membre représentant associations patients	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
KAGUELIDOU Florentia	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
LEBLANC Claire	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
PINEAU-VINCENT Fabienne	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
PORTEFAIX Aurélie	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
PROT-LABARTHE Sonia	Membre	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/> excusée
SPITZ Marie-Aude	Membre	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Expert auditionné</b>			
JANNOT Anne-Sophie	Direction Banque nationale maladies rares – AP-HP	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>ANSM</b>			
BENCHETRIT Sylvie	Modérateur Réfèrent pédiatrie Direction Europe et Innovation	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
CHU Céline	Modérateur Evaluatrice clinique pédiatrie Direction Europe et Innovation	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
HULIN Nina	Cheffe de Pôle Pepithe Direction Europe et Innovation	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
DENUX Valérie	Directrice Europe et Innovation	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
BOUCLE Sébastien	Chef de Pôle Accès dérogatoires Direction Europe et Innovation	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
POROKHOV Béatrice	Conseillère scientifique Direction de la Surveillance	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
HUEBER Stéphanie	Evaluatrice pharmacovigilance Direction Médicale Médicaments 2	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
FORNACCIARI Roxane	Evaluatrice pharmacovigilance Direction Médicale Médicaments 1	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

## I – Réforme des accès dérogatoires

<b>Directions concernées</b>	<b>DEI</b>
<b>Traitement des DPI</b>	Non applicable (dossier thématique)

### Présentation

La réforme des accès dérogatoires, incluant trois dispositifs : les autorisations d'accès compassionnels (AAC), les autorisations d'accès précoce (AAP) et les cadres de prescription compassionnelle (CPC), permet aux patients en situation d'impasse thérapeutique, notamment atteints d'une maladie grave, rare et/ou invalidante, de disposer de médicaments qui ne sont pas autorisés ou disponibles sur le marché français. Depuis, l'entrée en vigueur de cette réforme, le 1er juillet 2021, plus de 100 000 AAC ont été octroyées, permettant à plus de 7000 patients pédiatriques par an, d'accéder à des traitements ne bénéficiant pas d'AMM en France. Les cadres de prescription compassionnelle et les accès précoces autorisés conjointement avec la HAS, ont également permis de mettre à disposition des traitements innovants pour les patients les plus jeunes, venant renforcer ainsi l'arsenal réglementaire permettant à tous, et notamment cette population pédiatrique, d'accéder à certains traitements sans autorisations.

Liste des spécialités en accès dérogatoire : <https://ansm.sante.fr/documents/referenc/reference/referentiel-des-specialites-en-acces-derogatoire>

### Avis du CSP

---

Non applicable

## II – Plan National Maladies Rares

<b>Directions concernées</b>	<b>DEI</b>
<b>Traitement des DPI</b>	Non applicable (dossier thématique)

### Présentation

Une maladie est dite rare lorsqu'elle touche moins d'une personne sur 2000, soit pour la France moins de 30 000 personnes pour une maladie donnée. Cette définition repose sur la prévalence qui a été fixée par le règlement européen sur les médicaments orphelins de 1999. En France, une personne sur vingt est atteinte par une maladie rare, soient 3 millions de personnes touchées par 7000 maladies rares. Plus de 75% des personnes sont touchées pendant leur enfance. 95% des maladies rares n'ont pas de traitements curatifs<sup>1</sup>.

#### Observatoire des traitements (OT)

Les OT ont été introduits par le plan national des maladies rares 3 (PNMR3) et mis en place à partir de la diffusion de la note d'information de la DGS du 20 mai 2021 par les Filières de Santé Maladies Rares. Le but est de disposer d'un état des lieux des traitements utilisés dans les maladies rares, recenser les

---

<sup>1</sup> <https://alliance-maladies-rares.org/nos-combats/>

pratiques, identifier des candidats aux dispositifs d'accès compassionnel et précoce et réaliser une veille prospective.

Les travaux du groupe PNMR 4 sur les observatoires des traitements ont préconisé :

- Le développement du GRIOT (Groupe Interfilière des Observatoires des Traitements) permettant la création d'un annuaire pour identifier les contacts dans les différentes structures (hospitalières, administratives et associatives) et notamment de faire le lien avec la CNAM et l'ANSM.
- L'encadrement et la sécurisation de l'accès aux traitements (modèle de signalement pour obtenir un CPC, prise en charge par la CNAM, amendement pour les préparations magistrales pédiatriques ...etc)
- De faciliter l'accès à l'innovation (partage de l'information pour favoriser la recherche clinique, capitaliser sur les données en vie réelle pour appuyer des repositionnements de molécules, implication des observatoires des traitements dans le développement des accès précoces par les industriels,...etc.).

L'ensemble de ces actions nécessitent l'obtention de moyens financiers et humains qui sont demandés dans le PNMR4.

### Banque nationale de données maladies rares (BNDMR)

La Banque Nationale de Données Maladies Rares<sup>2</sup> est un projet prioritaire des PNMR réussis, financé par le ministère de la Santé. L'AP-HP a été missionnée par la Direction Générale de l'Offre de Soins pour assurer la maîtrise d'œuvre de la BNDMR, notamment de l'application BaMaRa.

Cette base de données nationale vise à doter la France d'une collection homogène de données sur la base d'un set de données minimum (SDM) pour documenter la prise en charge et l'état de santé des patients atteints de maladies rares dans les centres experts français, et de mieux évaluer l'effet des plans nationaux. Le SDM peut être source de données pour des études épidémiologiques<sup>3</sup>, des études en vie réelle, des études de mortalité (les études en cours ou réalisées, l'ensemble des publications sont publiées sur le site de la BNDMR <https://www.bndmr.fr/communications-scientifiques/publications-scientifiques/>).

A ce jour, le SDM contient une seule variable relative à la prise en charge thérapeutique par un médicament orphelin. Pour compléter les informations sur les médicaments la BNDMR a déployé en partenariat avec la HAS et l'ANSM un module complémentaire, le SDM-Traitement –SDM-T) déjà utilisé pour le suivi de plusieurs traitements en accès précoce<sup>4</sup>. Ses finalités sont le suivi des médicaments hors AMM au sein des Filières de Santé Maladies Rares, la mise en œuvre d'études pharmaco-épidémiologiques en vie réelle (chainées ou non au système national des données de santé, SNDS), d'alimenter le protocole d'utilisation thérapeutique (PUT-RD) dans le cadre des accès précoces et compassionnels.

### Vers un 4ème Plan National Maladies Rares

Le PNMR4 devra renforcer le développement des thérapies et de l'innovation afin que l'accès à des traitements devienne de plus en plus effectif pour les personnes touchées par une maladie rare.

## **Avis du CSP**

---

Non applicable

<sup>2</sup> <https://www.bndmr.fr/le-projet/presentation/>

<sup>3</sup> <https://www.bndmr.fr/exploiter/donnees-bndmr/>

<sup>4</sup> [https://www.bndmr.fr/wp-content/uploads/2022/06/AFCRO\\_juin2022.pdf](https://www.bndmr.fr/wp-content/uploads/2022/06/AFCRO_juin2022.pdf)

### III – Stratégie contre le mésusage du médicament en pédiatrie

<b>Directions concernées</b>	<b>DEI, SURV</b>
<b>Traitement des DPI</b>	Non applicable (dossier thématique)

#### Présentation

L'ANSM a engagé une politique de santé publique qui vise à prévenir le mésusage et améliorer le bon usage des médicaments. Pour rappel, le mésusage est l'usage intentionnel d'un médicament à but thérapeutique et inapproprié au regard des connaissances scientifiques. Suite à une phase de concertation avec différentes parties prenantes (professionnels de santé, institutionnels et patients), une forte demande a été remontée par les professionnels de santé sur la nécessité de fiches d'explication de la prescription à destination des patients et des parents afin de soutenir le bon usage du médicament. Ces fiches auraient également pour but de convaincre de l'efficacité des traitements non pharmacologiques en première ligne pour certaines pathologies, et expliquer leur mise-en-oeuvre.

#### Avis du CSP

---

Les membres du CSP confirment l'intérêt d'outils didactiques à destination des parents/patients afin de lutter contre le mésusage médicamenteux. Des fiches explicatives par pathologie pourraient mentionner la durée et l'évolution des pathologies, l'efficacité des traitements non médicamenteux tels que le lavage de nez dans les infections respiratoires, en explicitant les modalités.

Toutefois, les membres du CSP rappellent :

- les supports existants disponibles et pragmatiques tels que l'ordonnance de non-prescription d'antibiotiques<sup>5</sup> proposée par l'assurance maladie, ou les fiches dédiées par thématique, comme la rhinopharyngite, assurance maladie et has),
- la nécessité de poursuivre la formation des prescripteurs sur le mésusage des médicaments et de se référer aux recommandations nationales telles que les arbres décisionnels commentés par les sociétés de pédiatrie<sup>6</sup> (ex. algorithme de l'utilisation d'un antibiotique face à une toux fébrile de l'enfant),
- la formation des parents sur la mise en œuvre des traitements non pharmacologiques (ex. lavage de nez pour une rhinopharyngite), qui doit débiter dès les premiers symptômes et prévenir autant que possible l'aggravation de la maladie.

Les membres du CSP soulignent la nécessité de multiplier les supports de communication (autres que des supports écrits) afin de toucher une population de jeunes parents et/ou ne sachant lire. Les supports suivants sont proposés : fiches numériques, QR code, carnet de santé numérique, [courtes vidéos de tutoriel à relayer dans les réseaux sociaux, applications.](#)

Les pathologies à cibler se reposent sur les médicaments faisant l'objet de mésusage bien identifiés tels que les antibiotiques, les inhibiteurs de protons, les corticoïdes<sup>7</sup> ou d'automédication tels que les antitussifs, les AINS (notamment le risque liée à l'utilisation de l'ibuprofène dans les infections virales), les décongestionnants nasaux, les anti-acides d'action locale traitant le reflux gastro-œsophagien.

---

<sup>5</sup> [information-antibiotiques-non-prescrits\\_assurance-maladie.pdf \(ameli.fr\)](#)

<sup>6</sup> <https://pap-pediatrie.fr/>

<sup>7</sup> <file:///D:/Users/Cchu/Downloads/20230306-cr-csp-pediatrie-2.pdf>

#### IV – Feuille de route du comité pédiatrique européen 2024

<b>Directions concernées</b>	<b>DEI</b>
<b>Traitement des DPI</b>	Non applicable (dossier thématique)

Sujet reporté.