

A complex network diagram with numerous nodes of various colors (orange, yellow, blue, black) connected by thin lines, set against a red background.

Recenser les pratiques de prescriptions hors-AMM par maladie : une base de données pour les CRMR



BRAIN-TEAM
Filière Nationale de Santé
Maladies rares du système nerveux central

**Lok-Hang Yan, Bénédicte Belloir
& Sophie Bernichtein**

Prescriptions hors AMM

Action 4.2 : Créer un observatoire des traitements

Toutes les filières doivent créer et actualiser un observatoire des traitements afin de rendre plus visibles tous les traitements utilisés pour les maladies rares

❑ Cadre d'intervention pour le médicament (juillet 2021) :

Annexe 2 : Tableau de recensement des pratiques de prescription hors AMM d'intérêt

Nom de la filière de santé maladies rares (à préciser) :

Date :

CARACTERISTIQUES DES TRAITEMENTS										PISTES A EXPLORER EN VUE DE REGULARISER LA PRATIQUE OU D'ENRICHIR LES DONNEES DISPONIBLES SUR L'EFFICACITE ET LA SECURITE DU TRAITEMENT				
Substance active (nom commercial du médicament, dosage, voie d'administration)	Situation clinique hors AMM	Code de la pathologie (code ORPHA)	Population concernée (général/ adultes/ enfants)	Nature du traitement (curatif/ symptomatique)	Existence d'alternative ayant l'AMM dans l'indication considérée (oui/non)	Antériorité de la pratique au sein de la filière (nombre d'années)	Niveau de consensus sur la pratique au sein de la filière (fort, modéré, faible)	Nombre de patients sous traitement hors AMM dans le situation clinique	Suivi de cohorte ou registre en cours (oui/non)	Références des données disponibles étayant le recours au médicament (lit. scientifique, reco. de sociétés savantes ou de la HAS, PND, clinicaltrials.gov...)	Recherche d'un opérateur pour porter le médicament à l'AMM dans l'indication considérée (repositionnement)	Consitution d'un dossier de signalement de la pratique à l'ANSM en vue de l'établissement d'un cadre de prescription compassionnelle	Mise en place d'un suivi de cohorte ou d'un registre (oui/non)	Autre option (à préciser)

❑ Tous les traitements hors AMM doivent être répertoriés dans ce fichier - data set minimum proposé par la DGS/ DGOS :

- Caractéristiques des traitements : 11 items
- Pistes à explorer en vue de régulariser la pratique ou d'enrichir les données disponibles sur l'efficacité et la sécurité du traitement :
 - 4 items : repositionnement, cadre de prescription compassionnelle, cohorte ou registres...

❑ Utilisation du fichier :

- Formaliser le recensement
- Partagé au sein de la FSMR
- Mise à jour régulière

Proposition BRAIN-TEAM

Substituer le fichier Excel par la création d'une base de données

❑ Création d'une base de données :

🌐 À partir de référentiels connus :

❑ thériaque : l'entrée initiale est le **nom de la spécialité**

☞ pas d'erreur de nom générique, DCI, faute d'orthographe...

☞ Faciliter la saisie des données médicaments par les médecins

❑ orphanet : l'entrée initiale est le **code ORPHA de la maladie ou le signe HPO**



☞ homogénéité des entrées maladies par groupes, maladies, sous-types, signes cliniques...

☞ Faciliter la saisie des données maladies par les médecins

🌐 **Complément d'information** : 8 items supplémentaires complétés de manière **automatique** depuis la base Thériaque

☞ DCI, code ATC, prescription, délivrance, dispensation, prix...

☞ Accès à la monographie

🌐 **Homogénéiser les entrées** : tous les autres items demandés (et qq autres intéressants pour la filière) sont complétés manuellement avec des **cases à choix**

❑ **Extraction possible et regroupement** par CRMR / maladie/ spécialité/ DCI ... : analyse et repérage simplifié



Tableau de bord



BRAIN-TEAM

Lok-Hang YAN

Vous déconnecter



Tableau de bord

Prescriptions

Bibliothèque

Utilisateurs

Accueil

Validation par le coordonnateur du CRMR →

Éléments en attente de validation

Maladie ORPHA / Code HPO	Nom commercial (ATC)/DCI	Utilisateur	Date	
Aucun élément en attente de validation				

Facilité d'analyse →

Exports

Maladie ORPHA	<input type="text"/>	Libellé HPO	<input type="text"/>
Centre de Référence Maladies Rares	<input type="text"/>	Nom commercial spécialité	<input type="text"/>
Intention clinique hors AMM	<input type="text"/>	Population concernée	<input type="text"/>
Etat	<input type="text"/>		

Rechercher **Exporter**

Listing général →

ID	Maladie ORPHA / Code HPO	Nom commercial (ATC)/DCI	Centre de référence	Intention clinique	Population concernée	Etat
246	Ataxie cérébelleuse autosomique récessive par déficit en ubiquinone - 139485	# DECORENONE 50 MG, GELULE - UBIDECARENONE	Neurogénétique	cadre de prescription compassionnelle en cours	Population générale	Édition
245	Neurodégénérescence avec surcharge cérébrale en fer - 385	FERRIPROX 100 MG/ML, SOLUTION BUVABLE - DEFERIPRONE	Neurogénétique	hors AMM	Population générale	Édition
244	Dystonie génétique rare - 391799	ARTANE 2 MG, COMPRIME - TRIHEXYPHENIDYL	Neurogénétique	hors AMM	Population générale	Édition
243	HP:0001336 - Myoclonus	ZONEGRAN 100 MG, GELULE - ZONISAMIDE	Neurogénétique	hors AMM	Population générale	Édition
242	Choréoathétose dystonique paroxystique avec ataxie épisodique et spasticité - 53583	FAMPYRA 10 MG, COMPRIME A LIBERATION PROLONGEE - FAMPRIDINE	Neurogénétique	hors AMM	Population générale	Édition
241	Ataxie épisodique type 7 - 209970	FAMPYRA 10 MG, COMPRIME A LIBERATION PROLONGEE - FAMPRIDINE	Neurogénétique	hors AMM	Population générale	Édition
240	Ataxie épisodique type 6 - 209967	FAMPYRA 10 MG, COMPRIME A LIBERATION PROLONGEE - FAMPRIDINE	Neurogénétique	hors AMM	Population générale	Édition

Entrée d'une prescription : « Maladie »

Maladie

Produit

Situation

Centres prescripteurs

Onglet maladie : Sélectionner un code Maladie ORPHA ou un code symptôme HPO

Maladie ORPHA *

HPO (Human Phenotype Ontology) *

HPO (Human Phenotype Ontology) *

Maladie ORPHA *

HPO (Human Phenotype Ontology) *

narc

2073 - Narcolepsie de type 1

314404 - Syndrome d'ataxie cérébelleuse autosomique dominante-surdité-narcolepsie

83465 - Narcolepsie de type 2

93450 - Dysplasie osseuse primaire avec développement anarchique d'un élément du squelette

619284 - Narcolepsie

*HP:0001262 - Excessive daytime somnolence cata

HP:0001113 - obsolete Early cataracts

HP:0001115 - Posterior polar cataract

HP:0001118 - Juvenile cataract

HP:0001134 - Anterior polar cataract

HP:0002524 - Cataplexy

HP:0007648 - Punctate cataract

HP:0007657 - Diffuse nuclear cataract

2073 - Narcolepsie de type 1

*HP:0001262 - Excessive daytime somnolence

*HP:0002524 - Cataplexy

Complétion automatique
orphana.net →

À partir de la maladie

et/ou



À partir du signe clinique

Au final :
description de l'entrée
clinique complète →

Entrée d'une prescription : « Médicament »

Tableau de bord

Prescriptions

Bibliothèque

Utilisateurs

Accueil > Prescriptions

Retour

Maladie

Produit

Situation

Centres prescripteurs

Références

Pistes à explorer

Bilan

Nom commercial *

DCI

Code ATC

Voie d'administration

Condition de prescription et délivrance

Modalité de dispensation

Prix moyen TTC ville de l'unité de dispensation

Prix HT hôpital (rétrocession) de l'unité de dispensation

rital

RITALINE 10 MG, COMPRIME SECABLE

RITALINE LP 10 MG, GELULE A LIBERATION PROLONGEE

RITALINE LP 20 MG, GELULE A LIBERATION PROLONGEE

RITALINE LP 30 MG, GELULE A LIBERATION PROLONGEE

RITALINE LP 40 MG, GELULE A LIBERATION PROLONGEE

Complétion automatique

thériaque

Liste à choix

Entrée d'une prescription : « Médicament- 2 »

Tableau de bord

Prescriptions

Accueil > Prescriptions

Retour

Maladie

Produit

Situation

Centres prescripteurs

Références

Pistes à explorer

Nom commercial *

RITALINE LP 10 MG, GELULE A LIBERATION PROLONGEE

DCI

METHYLPHENIDATE CHLORHYDRATE

Code ATC

N06BA04

Voie d'administration

ORALE

Condition de prescription et délivrance

PRESCR ORDONN SECURISEE/ARR 31/03/1999, MESUSAGE/USAGE DETOURNE CSP L.162-4-2, PRESCRIPTION LIMITEE A 28 JOURS, PRESCR RESTREINTE/CSP R.5121-77 A

Modalité de dispensation

PHARMACIE D'OFFICINE, PHARMACIE A USAGE INTERIEUR, ETABLISSEMENT DE SANTE

Prix moyen TTC ville de l'unité de dispensation

0.5207142850

Prix HT hôpital (rétrocession) de l'unité de dispensation

Monographie Thériaque

<https://www.theriaque.org/apps/monographie/index.php?type=SP&id=29002>

Complétion automatique
Thériaque

- Temps de remplissage < 5 minutes par
« maladie/médicament »
- Satisfaction des médecins ++
- Depuis l'ouverture en novembre 2022 :
 - 8 CRMR ont initié la saisie
 - ~130 prescriptions déclarées
 - 83 spécialités (56 DCI)
 - 37 maladies ou signes cliniques



☐ FSMR ayant déjà contractualisé



☐ FSMR intéressées



Complétion de la base

- Tous les centres peuvent entrer leurs traitements ou ajouter leur centre à une prescription déjà enregistrée
- Nécessité d'une validation par CRMR pour une transmission à la DGS (niveau de consensus, estimation du nombre de patients...)
- Les centres de référence et de compétence peuvent nous contacter pour démo, création de compte, aide pour complétion base...
- Actualisation au fil de l'eau pour un envoi annuel à la DGS.
 - Avant le 30 avril 2023
- Requête à la DGS pour que cet « observatoire des traitements » soit opposable pour une prise en charge. A discuter avec tous les acteurs du médicament...



Merci pour votre attention



Chef de projet

Sophie Bernichtein
sophie.bernichtein@aphp.fr
01 42 16 14 29

Chef de projet adjoint

Bénédicte Belloir
benedicte.belloir@aphp.fr
01 42 16 13 34

Chargées de mission : mission@brain-team.fr

Isabelle Maumy
06 95 50 16 06

Lok-Hang Yan
01 42 16 09 43

Marie Berre
01 42 16 09 43

