



Lok-Hang Yan, Bénédicte Belloir, Marie Berre, Sophie Bernichtein  
 Filière de Santé Maladies Rares BRAIN-TEAM,  
 CHU Angers, 4 rue Larrey, 49933 ANGERS Cedex 9  
 contact@brain-team.fr

# Référencement des traitements hors AMM dans les maladies rares

Dans le cadre du PNMR3, la DGOS et la DGS ont lancé un état des lieux des prescriptions hors AMM pour les maladies rares sous l'appellation « Observatoire des traitements »

## Problématique

Centraliser, faciliter et homogénéiser le recueil des traitements hors AMM par les CRMR

## Notre proposition

Création d'un outil en ligne pour l'observatoire des traitements : une nouvelle base de données BRAIN-TEAM

### Entrée initiale

#### MALADIE



Code ORPHA de la maladie ou signes HPO

- ★ Homogénéité des entrées maladies par groupes, maladies, sous-types, signes cliniques...
- ★ Facilité de saisie des données maladies par les médecins car déjà utilisé pour BaMaRa et PFMG...

#### MÉDICAMENT

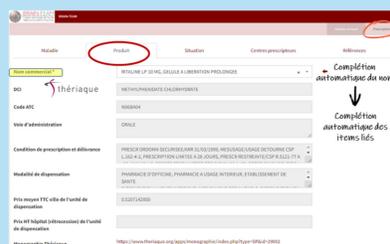
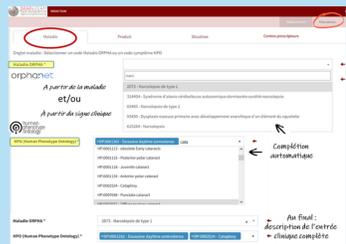
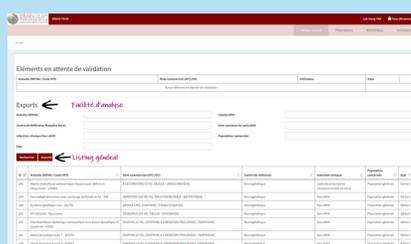


Nom de la spécialité

- ★ Point d'entrée unique : nom de la spécialité liée automatiquement à ses caractéristiques dans la base Thériaque : pas d'erreur de nom, de faute d'orthographe, ...

Les 15 items du tableau de recueil de la DGS sont repris. Données complémentaires demandées par BRAIN-TEAM :

Posologie utilisée, nom des centres prescripteurs et 8 items supplémentaires complétés de manière automatique depuis la base Thériaque : DCI, code ATC, prescription, délivrance, dispensation, prix... & accès à la monographie du médicament en ligne pour plus d'informations



## Avantages

Aucune donnée patient.

Toutes les informations relevant directement du médicament sont implémentées automatiquement à partir de Thériaque.

Diminution des erreurs et du temps de saisie en proposant des complétions automatiques à partir des bases Orphanet, HPO et Thériaque et par cases à cocher avec un minimum de texte libre => optimisation de l'analyse globale.

Formalisation du recensement, partagé au sein de la FSMR.

Extraction possible et regroupement par CRMR/maladie/spécialité/... : analyse et repérage simplifié ; formatage permettant les actualisations annuelles à la DGS.

Mise à jour régulière facilitée car la base unique est accessible par tous en ligne et à tout moment => Pas de multiples fichiers Excel !

## Perspectives

- Créer un guichet traitement au sein de BRAIN-TEAM
- Repérer les molécules d'intérêt pour des demandes d'accès dérogatoires
- Homogénéiser les pratiques de prescriptions au sein des centres de la filière

Juliet 2021 : Proposition de tableau de recueil par le bureau du médicament de la DGS  
 Tableau regroupant 11 items pour les « Caractéristiques des traitements » (médicament, dosage, pathologie associée, antériorité, consensus...) et 4 items de « Pistes à explorer en vue de régulariser la pratique ou d'enrichir les données disponibles sur l'efficacité et la sécurité du traitement »



- Difficultés liées à un fichier Excel « plat »
- Coordonner la participation au recueil de 172 centres
  - Hétérogénéité de remplissage selon les médecins (nom de molécule vs nom de spécialité)
  - Information incomplète / erronée (orthographe incorrecte des noms de médicament et de maladie)
  - Difficulté à analyser des données hétérogènes
  - Difficulté à mettre à jour régulièrement par plusieurs utilisateurs

Septembre 2021 : Décision BRAIN-TEAM  
 → Création d'une base de données de recueil et d'actualisation des prescriptions hors AMM

Septembre 2022  
 → Partage de l'outil aux autres Filières de Santé Maladies Rares

2023 : Résultats BRAIN-TEAM

- À la date du 17/08/23 :
- 8 CRMR participants
  - 187 prescriptions déjà recueillies dont 87 symptomatique, 96 curatif, 4 préventif
  - 97 spécialités citées (68 molécules)
  - 51 maladies ou signes cliniques associés

### FSMR utilisatrices

