



11-13  
SEPT.  
2024

LILLE  
GRAND PALAIS

# CONGRÈS FRANÇAIS d'HÉMOSTASE



## Observatoire des Traitements dans les Maladies Hémorragiques Rares Faciliter l'accès aux innovations thérapeutiques

L. Tourvieille<sup>1</sup>, V. Chamouard<sup>2</sup>, C. Paris<sup>3</sup>, P. Saultier<sup>4</sup>, N. Giraud<sup>5</sup>, M.C. Alessi<sup>4</sup>, Y. Dargaud<sup>2</sup>, S. Susen<sup>6</sup>

<sup>1</sup>Filière de Santé Maladies Rares MHEMO, Maladies Hémorragiques Rares, CHU de Lille, Groupe Interfilière des Observatoires des Traitements (GRIOT) - Lyon (France)

<sup>2</sup>Centre de Référence Hémophilie, Filière MHEMO, Hôpital Louis Pradel, Hospices Civils de Lyon - Lyon (France)

<sup>3</sup>Centre de Référence Maladie de Willebrand, Filière MHEMO, CHU de Lille - Lille (France)

<sup>4</sup>Centre de Référence Pathologies Plaquettaires Constitutionnelles, Filière MHEMO, Hôpital de La Timone, Assistance Publique des Hôpitaux de Marseille - Marseille (France)

<sup>5</sup>Association Française des Hémophiles, Paris - Paris (France)

<sup>6</sup>Filière de Santé Maladies Rares MHEMO, Maladies Hémorragiques Rares, CHU de Lille, Centre de Référence Maladie de Willebrand - Lille (France)

# Observatoire des traitements: mise en place



23 filières de santé  
maladies rares



Plan National Maladies Rares 3  
(2018-2022/23)

**Action 4.2**  
**Création d'un Observatoire des Traitements dans chaque filière de santé maladies rares**



Plan National Maladies Rares 4  
Automne 2024



# Observatoire des traitements: objectifs

1 Recenser les usages de médicaments hors AMM et de dispositifs médicaux hors de leurs indications prévues  
+ veille bibliographique

2 Faciliter l'accès au traitement pour les patients  
Accès compassionnel  
Accès précoce  
Extensions d'AMM ou AMM initiale  
Prise en charge par l'Assurance Maladie

3 Participer au suivi des cohortes de patients traités

4 Retour vis-à-vis des tutelles: ANSM, HAS, ministères



Plan National Maladies Rares 4  
Interventions hors produits de santé  
Vigilance ruptures et tensions d'appro

# Observatoire des traitements: mise en place



**Coordination pharmaceutique**  
Dr Valérie Chamouard  
Dr Laura Tourvieilhe

## En collaboration avec les centres de référence et l'AFH



Pr Yesim Dargaud



**Association française  
des hémophiles**

Nicolas Giraud



Pr Sophie Susen  
Dr Camille Paris



Pr Marie-Christine Alessi  
Dr Paul Saultier

# Filière MHEMO : contribution de l'Observatoire des Traitements

## Cadre de prescription compassionnelle (CPC) ?



### Accès précoce pré-AMM

concizumab (Alhemo®) dans l'hémophilie A ou B avec inhibiteurs en dernier recours

*Depuis septembre 2023*

*Plusieurs patients*

### Accès précoce post-AMM

emicizumab (Hemlibra®) dans l'hémophilie A modérée avec un phénotype hémorragique sévère

*Juin 2023 – janvier 2024*

*25 patients*

# Filière MHEMO : contribution de l'Observatoire des Traitements

## Cadre de prescription compassionnelle: emicizumab (Hemlibra®) dans l'hémophilie A acquise

**Pas d'extension d'AMM européenne** prévue par le laboratoire malgré l'obtention d'une extension d'AMM au Japon (sur la base de l'essai AGEHA - JapicCTI-205151)

33 patients initiés en France dans le cadre des RCP depuis début 2022

Groupe de travail pour la rédaction du signalement à l'**ansm**



- **Pr Hervé Lévesque**, chef de service de médecine interne au CHU Rouen Normandie et expert de l'hémophilie A acquise en France, particulièrement impliqué dans la recherche clinique autour de cette pathologie,
- **Pr Yesim Dargaud**, coordonnatrice du Centre de Référence national Hémophilie aux Hospices Civils de Lyon,
- **Dr Roseline d'Oiron**, membre du site constitutif du Centre de Référence Hémophilie du Kremlin-Bicêtre à Paris,
- **Pr Sophie Susen**, coordonnatrice de la filière MHEMO au CHU de Lille,
- **Dr Valérie Chamouard**, pharmacien du Centre de Référence Hémophilie et de la filière MHEMO aux Hospices Civils de Lyon,
- **Dr Laura Tourvieilhe**, pharmacien en charge de l'Observatoire des Traitements pour la filière MHEMO



→ Dossier déposé le 5 avril 2023

Protocole d'utilisation thérapeutique en cours d'élaboration → recueil de données de vie réelle

# Filière MHEMO : contribution de l'Observatoire des Traitements

## Utilisation des immunoglobulines IV dans le syndrome de Willebrand acquis

**Pourquoi ?** Ajuster la gestion des cas de tensions d'approvisionnement en prenant en compte le SWA

**Comment ?** Questionnaire diffusé aux CRC à l'été 2024



Révision de la hiérarchisation des indications par l'**ansm**

Indication <i>* Situation correspondant à l'AMM</i>	Degré de priorité ● Prioritaire [P] ● A réserver aux urgences vitales et/ou fonctionnelles et/ou en cas d'échec des alternatives thérapeutiques [UV] ● Non prioritaire [NP]	Nécessité d'un avis spécialisé		Posologie
		Initiation	Renouvellement	
<b>Hématologie</b>				
<b>Maladie de Willebrand acquise avec une gammapathie monoclonale IgG</b>  <input type="checkbox"/> Nécessitant une intervention chirurgicale urgente engageant le pronostic vital ou fonctionnel  Ou  <input type="checkbox"/> Avec syndrome hémorragique sévère et échec ou intolérance à desmopressine et/ou concentrés de vWF	● [P]	Avis favorable du réseau de centres de référence (filiale MHEMO)		1,2g/kg en 3 jours soit 0,4g/kg/j

## Recensement des cas de patients recevant du vonicog alfa (Veyvondi®) en prophylaxie (hors AMM)

**Pourquoi ?** Evaluer la possibilité de solliciter le laboratoire pour mettre en place un accès précoce ou compassionnel

**Comment ?** Sollicitation des prescripteurs début 2023



Extension d'indication d'AMM Européenne fin 2023 → données de vie réelle transmises aux autorités de santé

# Observatoire des Traitements: enjeux

- Elargissement du champ des options thérapeutiques des patients confrontés à des besoins médicaux non couverts

Cadre  
réglementaire



Prise en charge  
hospitalière et  
ambulatoire



Evoluer vers  
des demandes  
d'AMM



- Démarche institutionnelle collective incluant les professionnels de santé des CRMR et de la filière MHEMO avec la contribution des patients
- Enjeux des recueils de données
  - Utilisation des registres
  - Patient-related outcomes measures (PROM)

