



Circuit pharmaceutique : médicaments et DADFMS

Journée pour les professionnels paramédicaux et assimilés
18/11/24

Jean-Meidi ALILI

pharmacien équipe d'animation G2m, chargé de mission traitements, recherche, Europe
jean-meidi.alili@aphp.fr



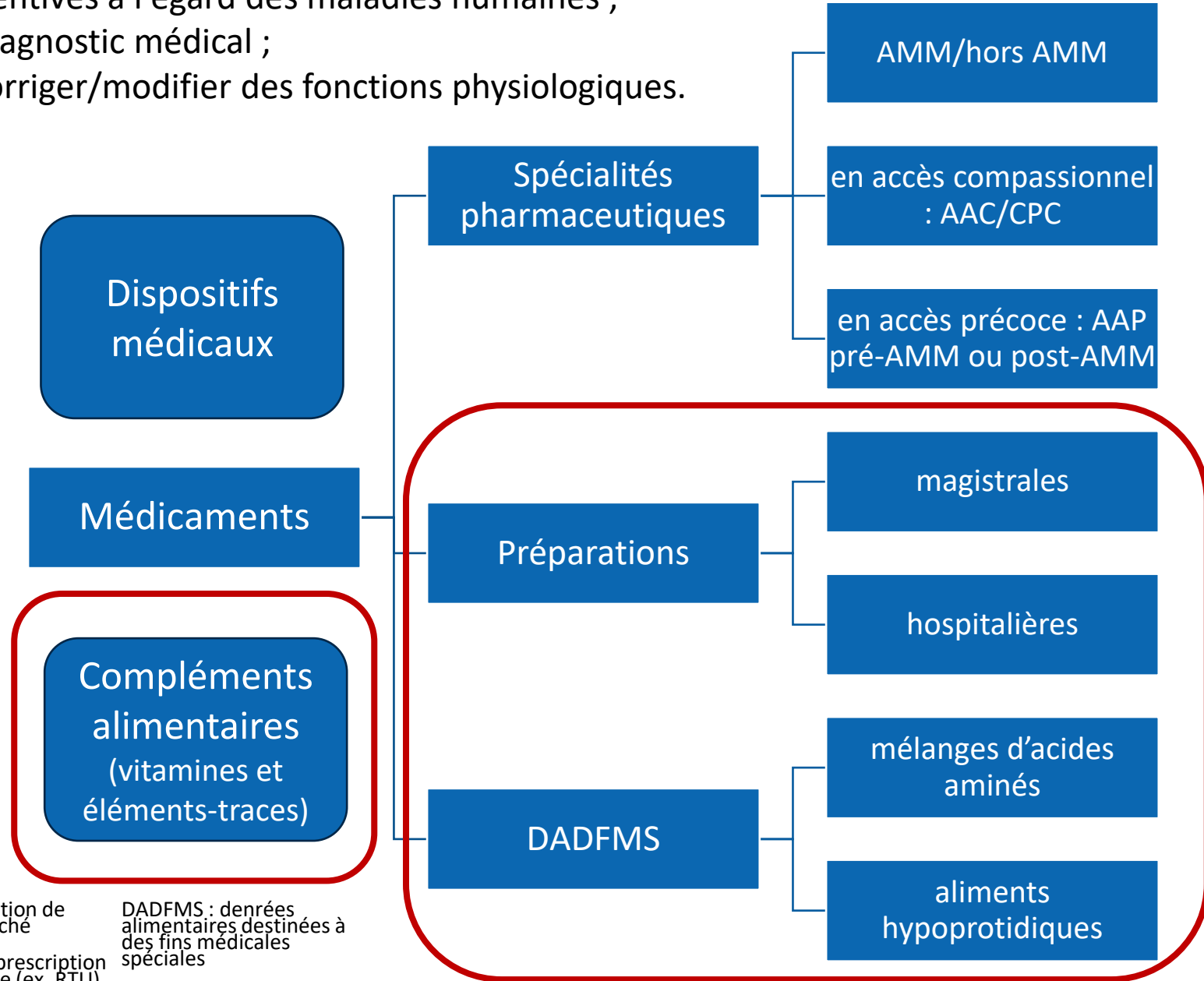
Définitions



• **Médicament = toute substance** (Art. L5111-1 Code de la Santé Publique) :

- propriétés curatives ou préventives à l'égard des maladies humaines ;
- administré pour établir un diagnostic médical ;
- administré pour restaurer/corriger/modifier des fonctions physiologiques.

Spécificités de la filière G2m



AAC : autorisation d'accès compassionnel (ex. ATU)

AAP : autorisation d'accès précoce

AMM : autorisation de mise sur le marché

CPC : cadre de prescription compassionnelle (ex. RTU)

DADFMS : denrées alimentaires destinées à des fins médicales spéciales

DADFMS (denrées alimentaires destinées à des fins médicales spéciales)

- **Contexte réglementaire**

- National

- circulaire DSS/DGS de 1996 (dispensation et remboursement ; **annexe = listes MHM et DADFMS (obsolètes)**)
- articles du Code de la Santé Publique (CSP) **modifiés par loi du 09.03.23**

- Européen

- règlements 609/2013 (définition DADFMS) et 2016/128 (3 catégories de DADFMS)

- **DADFMS utilisées dans les MHM**

- DADFMS incomplètes (Règlement européen 2016/128)

- « ... *aliments incomplets du point de vue nutritionnel qui, avec une composition normale ou adaptée pour répondre aux besoins nutritionnels propres à une maladie, à un trouble ou à un état de santé, ne peuvent pas constituer la seule source d'alimentation...* »
- considérées « à risque » car risque de carence (a minima) si administrées chez patient non concerné par l'indication

- Non inscrites sur la LPPR (liste des produits et prestations remboursables par l'Assurance Maladie)

- **remboursement à titre dérogatoire** ; prise en charge pour 5 ans renouvelable (cf. circulaire de 1996)



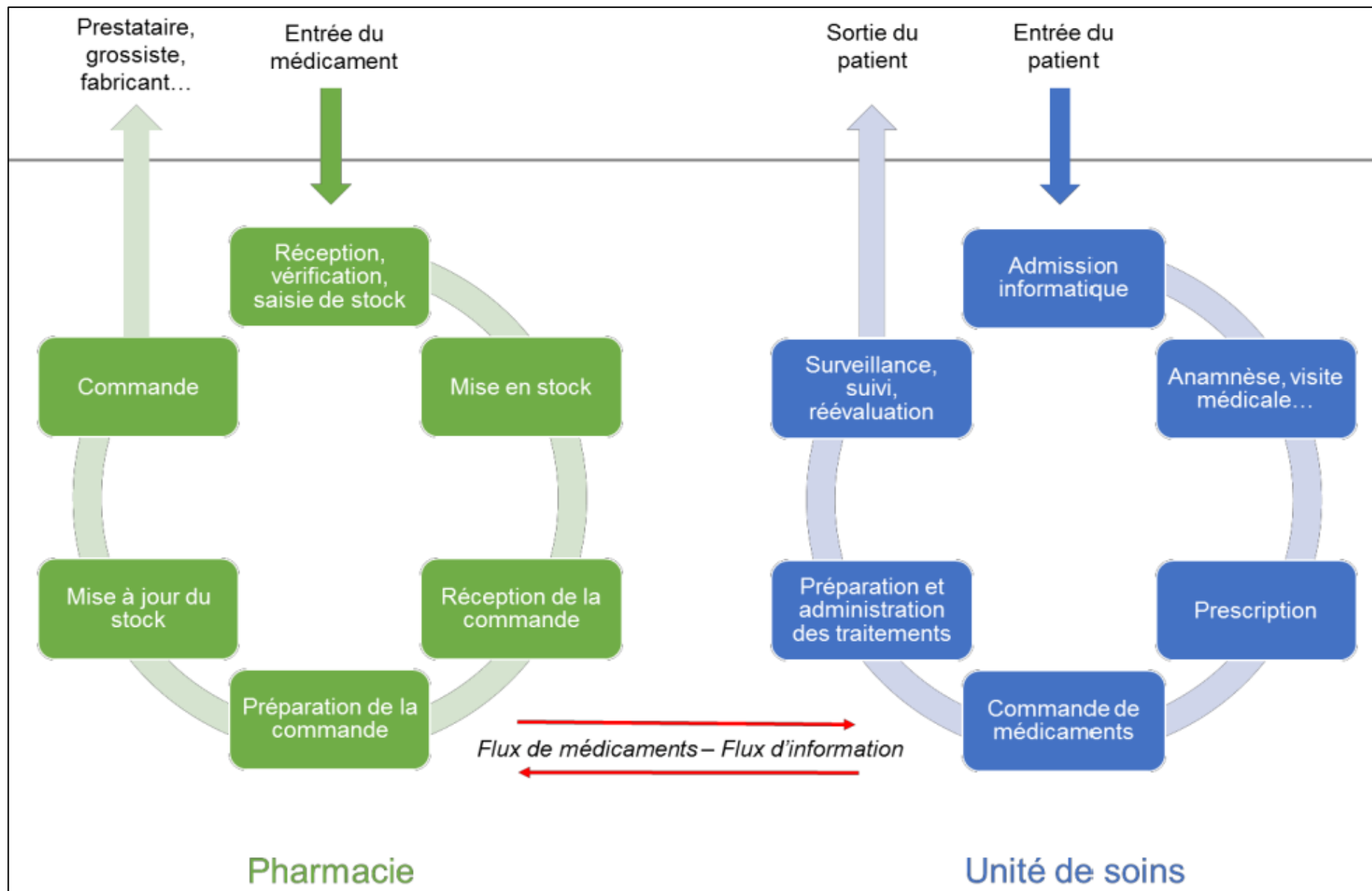
Circuit pharmaceutique



Médicament à l'hôpital

Administration des traitements à domicile

- Interface pharmacie de l'hôpital (PUI, pharmacie à usage intérieur) et HAD (continuité des soins, lien ville/hôpital)
- Rôle indispensable des prestataires (délivrance, administration, etc.)

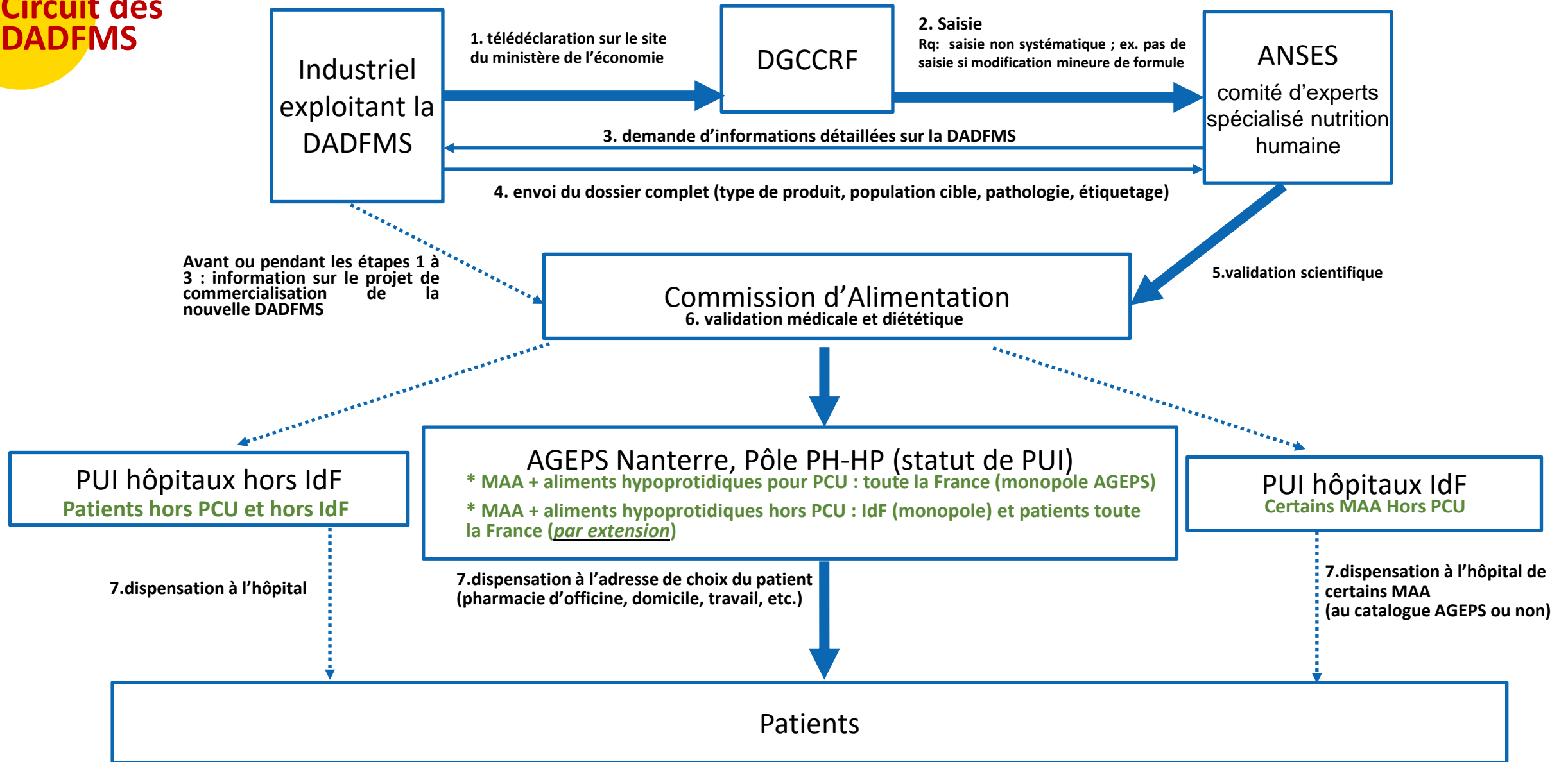


D'après H. M. Ratsimbazafimahefa. Proposition d'un modèle de circuit du médicament dans les hôpitaux publics de Madagascar. 2017

<https://www.semanticscholar.org/paper/Proposition-d-un-modèle-de-circuit-du-médicament-de-Ratsimbazafimahefa/cb5eadbeaa276d4379d1352df467830e972b7a7d>



Circuit des DADFMS



AGEPS : agence générale des équipements et produits de santé
ANSES : agence nationale de sécurité sanitaire de l'alimentation, de l'environnement et du travail
DADFMS : denrée alimentaire destinée à des fins médicales spéciales

DGCCRF : direction générale de la concurrence, de la consommation et de la répression des fraudes
IdF : Ile-de-France
MAA : mélanges d'acides aminés

PCU : phénylcétonurie
PH-HP : pharmacie hospitalière des hôpitaux de Paris
PUI : pharmacie à usage intérieur

Réforme DADFMS 2023

Réforme du circuit de prescription et dispensation des DADFMS

- Loi promulguée le 09/03/2023
- Consultations et réunions avec DGOS/experts/associations patients/AGEPS/Industriels/Cnam
- Discussions avec HAS et ANSES et information de la Mission MR de la DGOS
- Sujet essentiel : nécessaire maintien de conditions de dispensation/délivrance suffisantes pour permettre une offre de soins appropriée
- Fin de la période de transition = mars 2025
- A partir de mars 2025 : **fin du système dérogatoire → les DADFMS utilisées dans les MHM devront être inscrites sur la LPPR**



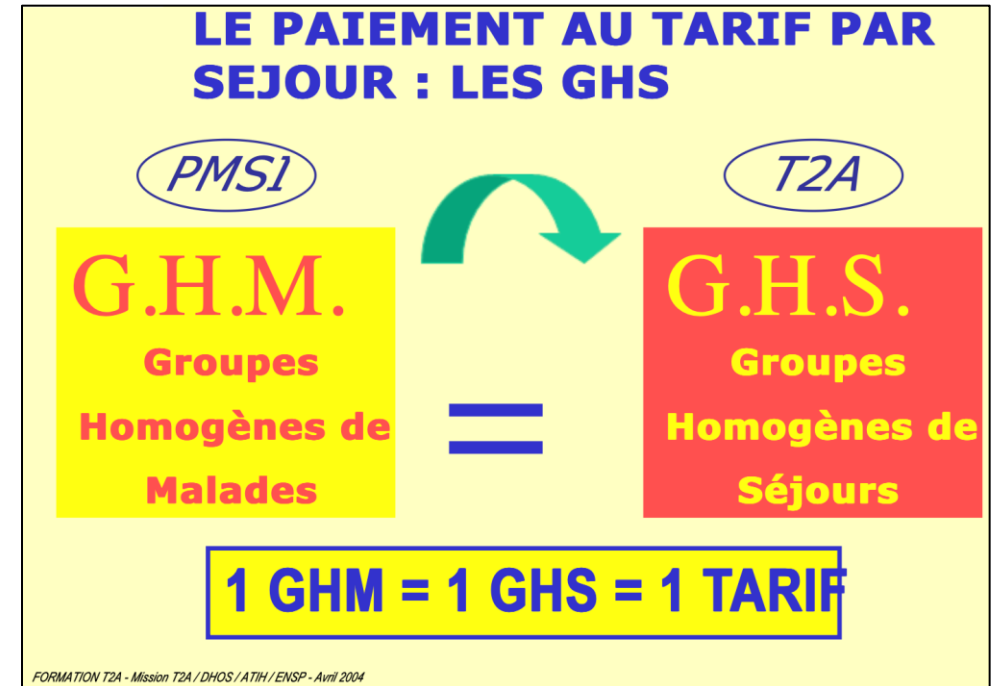
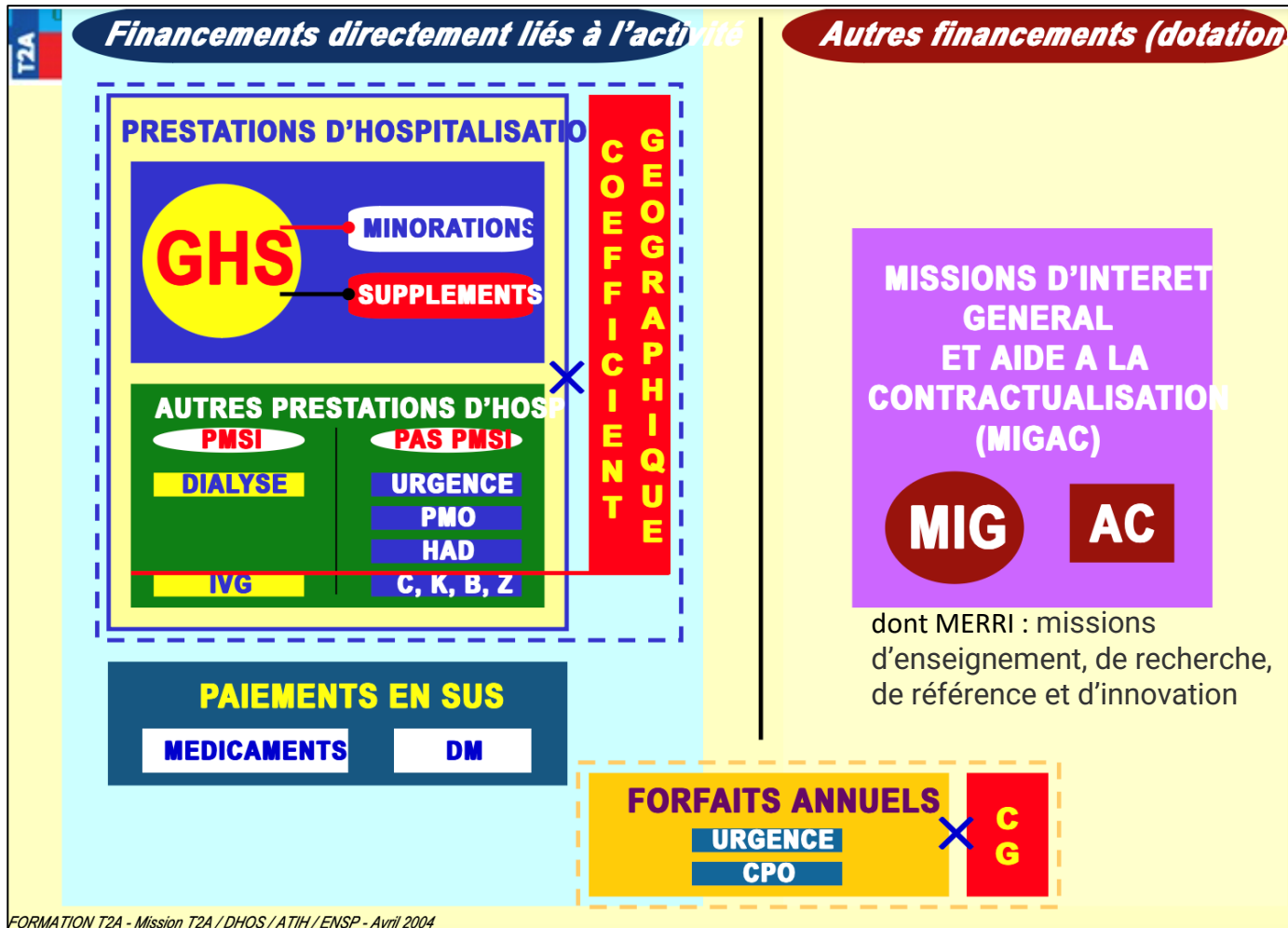
Remboursement des traitements



Remboursement des traitements

- A l'hôpital

Médicaments, DADFMS et dispositifs médicaux : enveloppes budgétaires dédiées
= T2A (tarification à l'activité)



Remboursement des traitements

- **En ville**

- Médicaments, DADFMS : remboursés à 100% pour les patients en ALD17 (maladies héréditaires du métabolisme)
- Dispositifs médicaux, orthèses, pansements, prothèses externes... : remboursés si inscrits sur la LPPR (liste des produits et prestations remboursables par l'Assurance Maladie)

- **Points d'attention/potentielle évolution de la loi**

- Projet de loi DADFMS : souhait DGOS d'inscrire les DADFMS à rembourser sur la LPPR = sortie du système dérogatoire actuel
- Actuellement, réflexions ministérielles (dont DGS) en faveur de l'administration de certaines enzymothérapies (ERT) à domicile et non plus à l'hôpital
 - certaines ERT devront continuer à être initiée à l'hôpital (expertise, moyens)
 - aussi dépendant du patient, de la molécule, statut réglementaire (rétrocédable ou non), etc.
 - difficulté à trouver prestataires volontaires (ex. 4h de perfusion en continu)
 - quid de l'approvisionnement, notamment dans les DOM-TOM ?
 - DGOS informée de ces difficultés

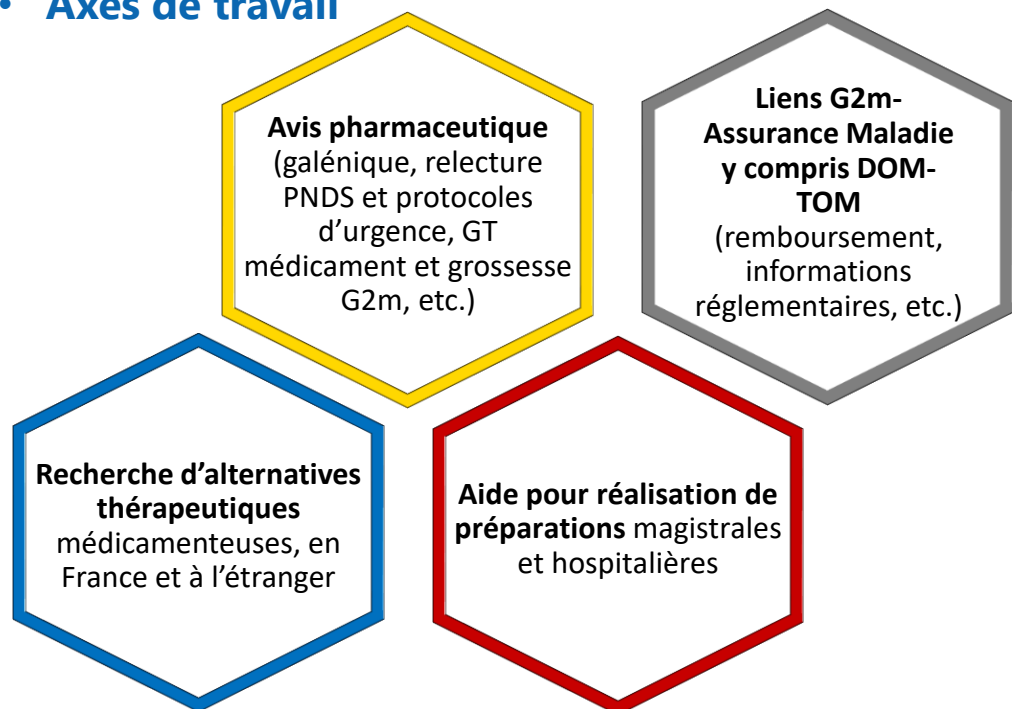


Guichet Pharmaceutique et Observatoire des traitements G2m



Guichet pharmaceutique G2m (mis en place en 2021)

• Axes de travail

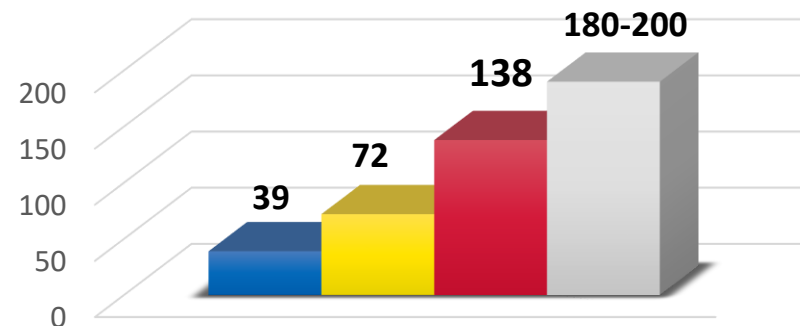


• Gestion de l'observatoire des traitements G2m

→ 262 molécules **dont 129 DADFMS** (au 18/11/24)



Activité Guichet Pharmaceutique 2021-2024



Nombre de sollicitations

■ 2021 ■ 2022 ■ 2023 ■ prévision 2024



Observatoire des traitements G2m

But = établir la liste exhaustive des médicaments + DADFMS spécifiquement utilisés dans les MHM

Substance active (DCI ou classe thérapeutique)	Voie d'administration (orale, injectable, ophthalmique)	Nom commercial/dosage (princeps ± exemples de génériques)	Situation clinique hors AMM (pathologie/groupe de pathologies) <i>en gras : pathologie ou groupe de pathologies</i> <i>en maigre : exemple de pathologie</i>	Statut (AMM, hors AMM, AAC, AAP, CPC, préparation magistrale, préparation hospitalière, complément alimentaire, DADFMS)	Code ORPHA de la pathologie	Disponibilité en pharmacie (hôpital, ville, hôpital + ville) remarque : 'hôpital' = réserve hospitalière ou retrocession
acide carginique (= carbamyl glutamate = N-acétylglutamate)	orale	CARBAGLU 200 mg, comprimé dispersible UCEDANE 200 mg, comprimé dispersible Acide carginique WAYMADE 200 mg, comprimé dispersible	1.Toute hyperammoniémie d'étiologie inconnue 2.Hyperammoniémie des anomalies du cycle de l'urée 3.Hyperammoniémies des déficits en beta oxydation mitochondriale des acides gras 4.Hyperammoniémies des aciduries organiques	AMM : 2,4 hors AMM : 1,3	2.79167 3.309115 4.289899	hôpital
acide chénodesoxycholique	orale	CHENODEOXYCHOLIC ACIDE LEADIANT 250 mg, gélule	1.Xanthomatose cérébro-tendineuse 2.Déficits en 3β-hydroxy-Δ5-C27-stéroïde oxydoréductase et en Δ4-3-oxostéroïde-5β réductase	AMM : 1 Hors AMM : 2	1.909 2.79301, 79303	hôpital
acide cholique	orale	ORPHACOL 50 et 250 mg, gélule	1.Déficits en 3β-hydroxy-Δ5-C27-stéroïde oxydoréductase et en Δ4-3-oxostéroïde-5β réductase 2.Xanthomatose cérébro-tendineuse avec cholestase néonatale ou xanthomatose cérébro-tendineuse associée à une toxicité de l'acide chénodesoxycholique ou xanthomatose cérébro-tendineuse chez la femme enceinte	AMM : 1 Hors AMM : 2	1.79301, 79303 2.909	hôpital

→ disponible en téléchargement libre (édition 1) sur site internet G2m :

<https://www.filiere-g2m.fr/traitements/observatoire-des-traitements-g2m>

Base de données traitements G2m (octobre 2024)

Observatoire des traitements

Recherchez un traitement par

Substance active (DCI)... Nom commercial... Pathologie...

Réinitialiser les filtres

Filtrez les résultats par substance active

Tous S A B C D E F G H I L M N O P S T U V Z

Acide carglumique (= carbamyl glutamate = N-acétylglutamate)

- CARBAGLU 200 mg, comprimé dispersible
- UCEDANE 200 mg, comprimé dispersible
- Acide carglumique WAYMADE 200 mg, comprimé dispersible

Voir la fiche →

Acide chénodesoxycholique

- CHENODEOXYCHOLIC ACIDE LEADIANT 250 mg, gélule

Voir la fiche →

Actualités Événements Annuaire Documentthèque Contact Accès professionnels

Retour à la recherche

Substance active (DCI ou classe thérapeutique)

Acide carglumique (= carbamyl glutamate = N-acétylglutamate)

Nom commercial

- CARBAGLU 200 mg, comprimé dispersible
- UCEDANE 200 mg, comprimé dispersible
- Acide carglumique WAYMADE 200 mg, comprimé dispersible

Caractéristiques des traitements

Voie d'administration: **Orale**

Disponibilité en pharmacie: **Hôpital**

Population concernée: **Enfant et Adulte**

Nature du traitement: **Curatif Préventif**

Niveau de consensus sur la pratique au sein de la FSMR

Antériorité de la pratique au sein de la FSMR

Nombre de patients sous traitement au sein de la FSMR

Préparation magistrale : sub ou Française ?

Pathologies concernées (Situation clinique hors AMM)

Toute hyperammoniémie d'étiologie inconnue

Statut : **Hors AMM**

Existence d'alternative ayant l'AMM dans l'indication considérée: **Non**

Niveau de consensus sur la pratique au sein de la FSMR: **Fort**

Disponibilité en pharmacie: **Hôpital**

Références des données disponibles étayant le recours au médicament

PNDS UCD (2021) https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2021-06/pnds_ucd_vf.pdf

Hyperammoniémie des anomalies du cycle de l'urée

Statut : **AMM** Code ORPHA : **79167**

Existence d'alternative ayant l'AMM dans l'indication considérée: **Sans objet**

Niveau de consensus sur la pratique au sein de la FSMR: **Fort**

Disponibilité en pharmacie

Références des données disponibles étayant le recours au médicament

PNDS UCD (2021) https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2021-06/pnds_ucd_vf.pdf

Hyperammoniémies des déficits des acides gras

Statut : **Hors AMM** Code ORPHA

Existence d'alternative ayant l'AMM dans l'indication considérée

Niveau de consensus sur la pratique au sein de la FSMR

Pistes à explorer

En vue de régulariser la pratique ou d'enrichir les données disponibles sur l'efficacité et la sécurité du traitement

Recherche d'un opérateur pour porter le médicament à l'AMM dans l'indication considérée (repositionnement): **Non**

Mise en place d'un suivi de cohorte ou d'un registre: **Non**

Constitution d'un dossier de signalement de la pratique à l'ANSM en vue de l'établissement d'un cadre de prescription compassionnelle (ex. RTU): **Non**

Retour à la recherche

**Merci pour votre attention
Avez-vous des questions ?**