



Analyse des initiations de traitements hors AMM de la liste en sus

Année 2020

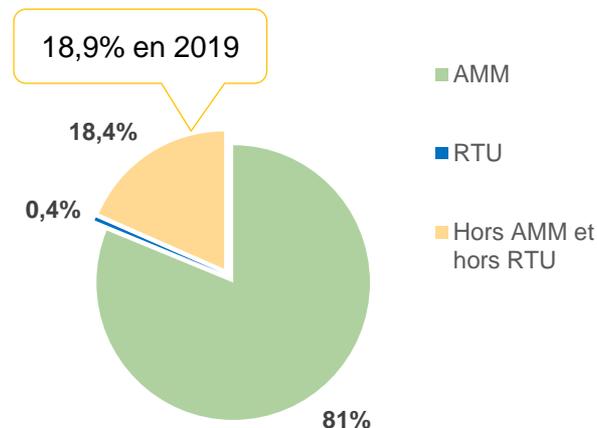
1. Données générales

Recueil des indications pour les patients ayant eu une **initiation de traitement** dans l'année 2020

Classe ANSM	AMM		RTU		Hors AMM et hors RTU		Total n
	n	%	n	%	n	%	
ANTI TNF ALPHA	1 111	91,9%	15	1,2%	83	6,9%	1 209
ANTICANCEREUX	9 986	79,7%	14	0,1%	2 535	20,2%	12 535
ANTIFONGIQUES / ATB / ANTIVIRAUX	2 241	78,0%	0	0,0%	631	22,0%	2 872
AUTRES	1 139	89,1%	0	0,0%	140	10,9%	1 279
BENDAMUSTNE HORS CANCEROLOGIE*	0	0%	0	0,0%	1	100%	1
BEVACIZUMAB HORS CANCEROLOGIE	0	0%	0	0,0%	30	100%	30
BOREZOMIB HORS CANCEROLOGIE*	0	0%	0	0,0%	1	100%	1
DARATUMUMAB HORS CANCEROLOGIE	0	0%	0	0,0%	7	100%	7
DEFICIT ENZYMATIQUE	5	83,3%	0	0,0%	1	16,7%	6
FACTEURS DE COAGULATION	4 073	91,5%	0	0,0%	380	8,5%	4 453
IMMUNOGLOBULINES	1 408	79,5%	0	0,0%	362	20,5%	1 770
IMMUNOSUPPRESSEURS SÉLECTIFS	249	99,6%	0	0,0%	1	0,4%	250
MEDICAMENTS ASSOCIÉS AUX ANTICANCEREUX	15	100%	0	0,0%	0	0%	15
OBINUTUZUMAB HORS CANCEROLOGIE	0	0%	0	0,0%	3	100,0%	3
RITUXIMAB HORS CANCEROLOGIE	178	25,4%	68	9,7%	455	64,9%	701
Total général	20 405	81,2%	97	0,4%	4 630	18,4%	25 132

Pourcentage de patients ayant eu une initiation de traitement en 2020

(n = 25 132)



*Indication : amylose AL

Répartition des initiations de traitement par catégorie (AMM, RTU et hors AMM/RTU) de 2016 à 2020

AMM



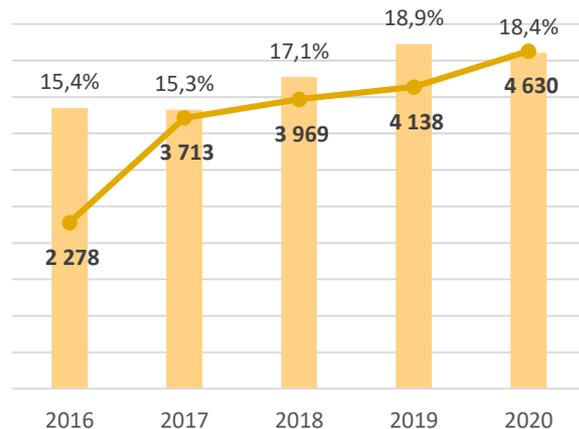
■ Pourcentage de patients ayant eu une initiation de traitement
● Nombre de patients ayant eu une initiation de traitement

RTU



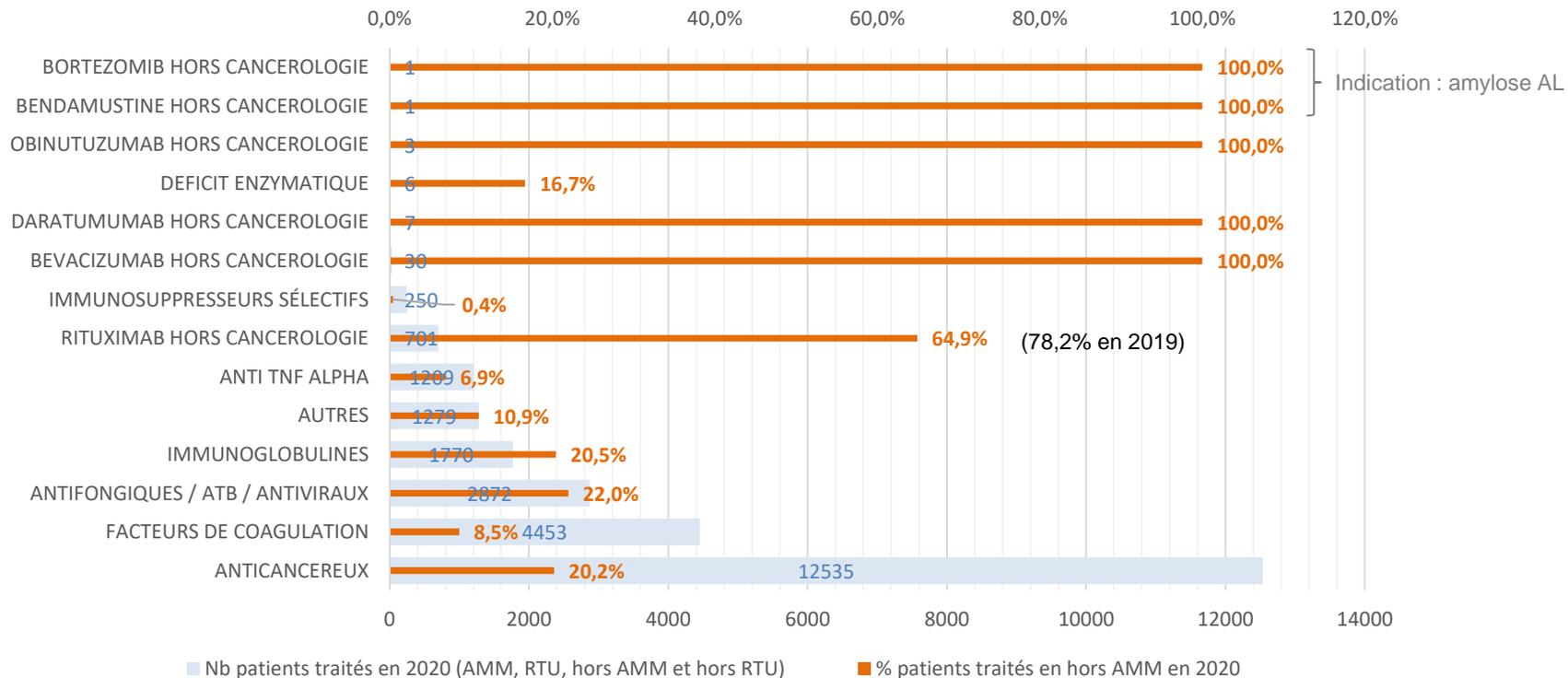
■ Pourcentage de patients ayant eu une initiation de traitement
● Nombre de patients ayant eu une initiation de traitement

Hors AMM et hors RTU



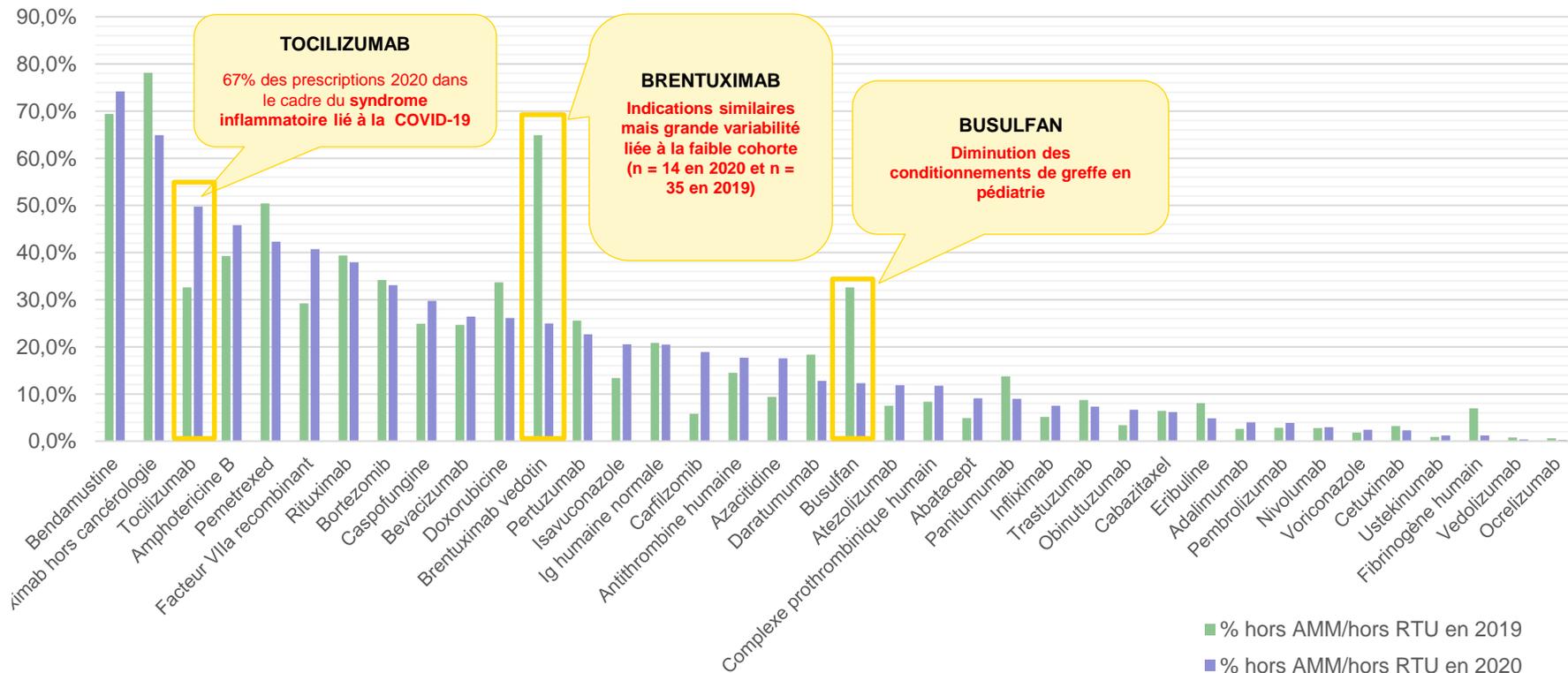
■ Pourcentage de patients ayant eu une initiation de traitement
● Nombre de patients ayant eu une initiation de traitement

Nombre de patients traités corrélé au taux de prescriptions hors AMM (année 2020)



Taux de prescriptions hors AMM par DCI en 2019-2020

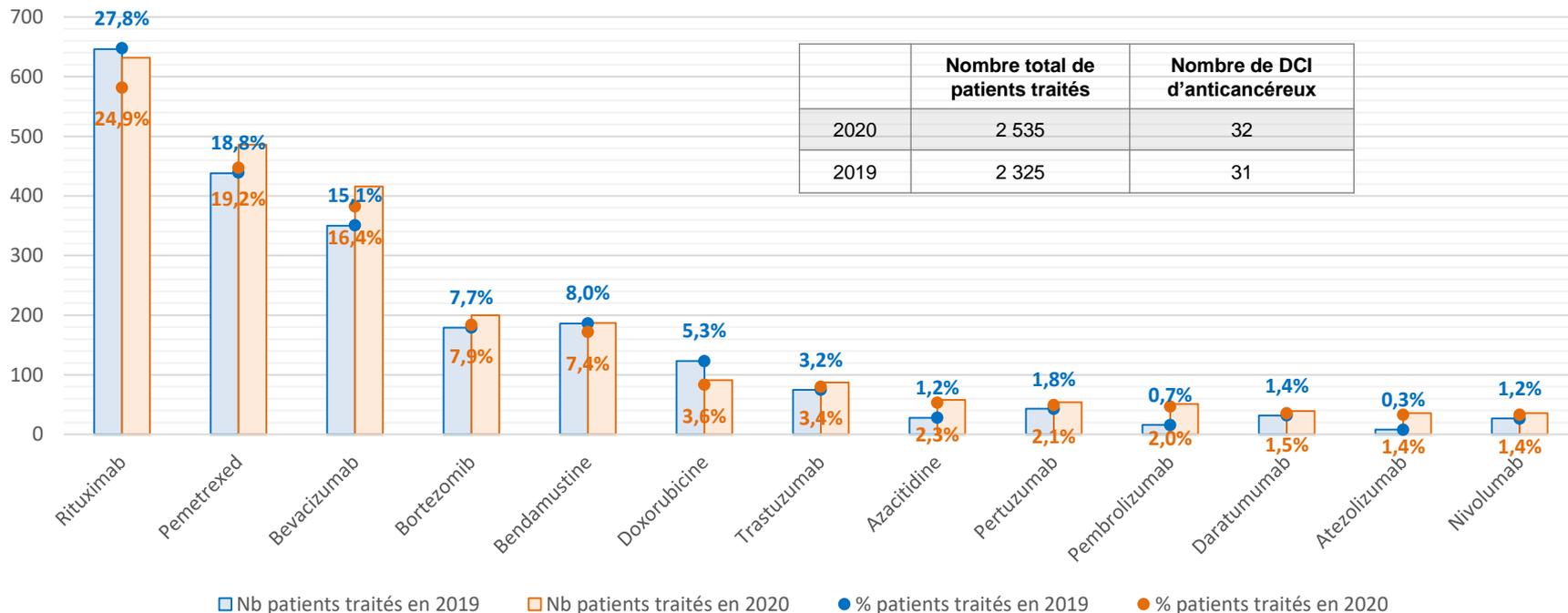
Représentation des DCI avec au moins 50 patients traités



2. Médicaments anticancéreux : focus sur le hors AMM

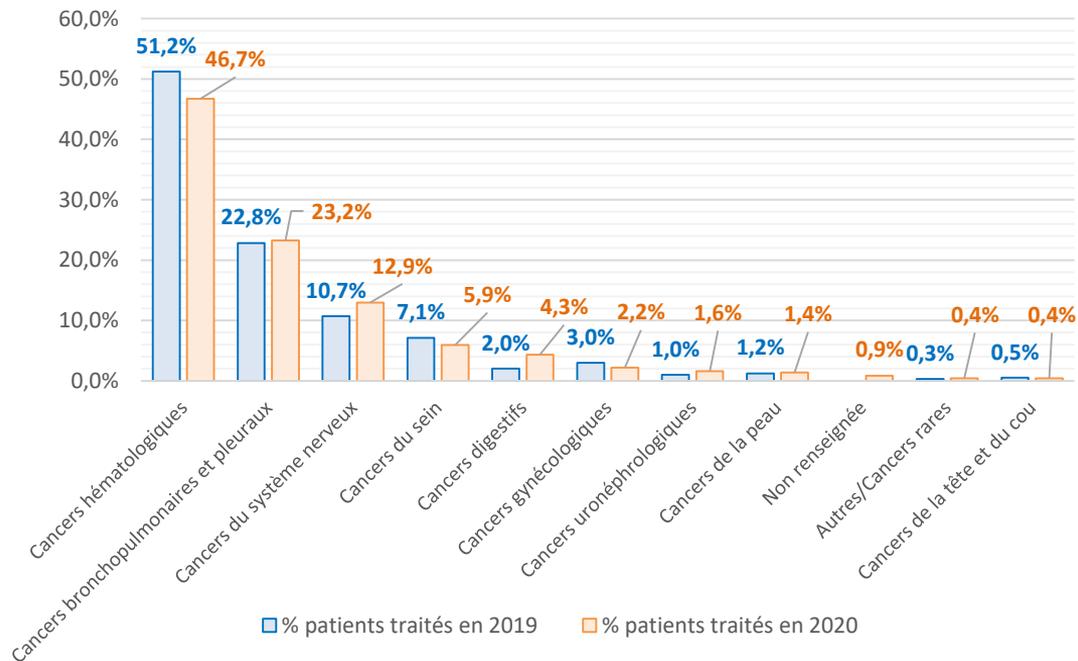
Taux de prescriptions hors AMM d'anticancéreux par DCI en 2019-2020

Représentation des DCI avec au moins 30 patients traités en 2020

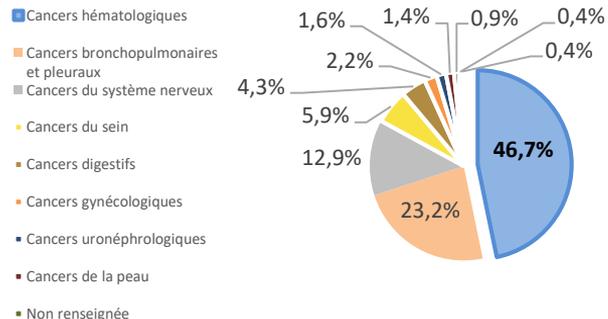


Répartition des indications hors AMM d'anticancéreux par localisation

Localisation	Nb patients traités en 2020	% patients traités en 2020
Cancers hématologiques	1 185	46,7%
Cancers broncho-pulmonaires et pleuraux	589	23,2%
Cancers du système nerveux	328	12,9%
Cancers du sein	150	5,9%
Cancers digestifs	110	4,3%
Cancers gynécologiques	55	2,2%
Cancers uro-néphrologiques	41	1,6%
Cancers de la peau	35	1,4%
Non renseignée	22	0,9%
Autres/Cancers rares	10	0,4%
Cancers de la tête et du cou	10	0,4%
Total général	2 535	100%

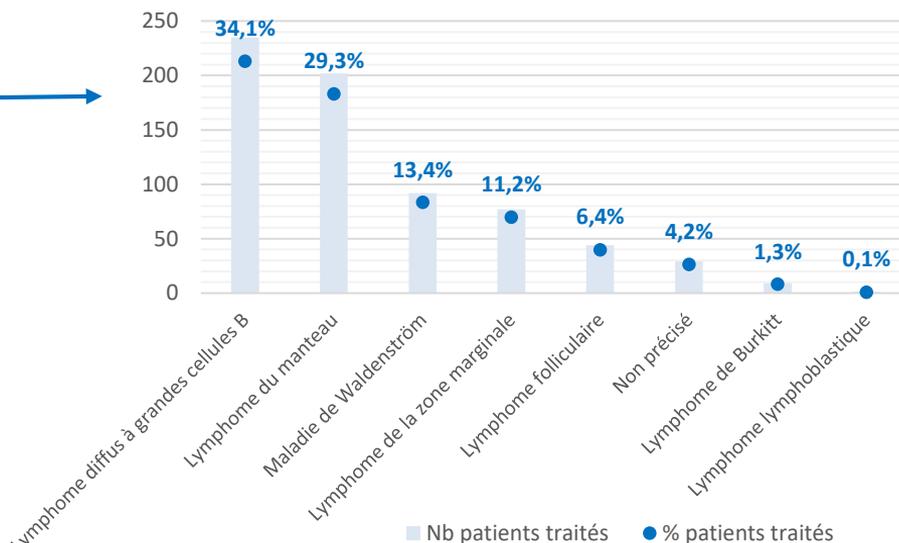


Focus sur les cancers hématologiques



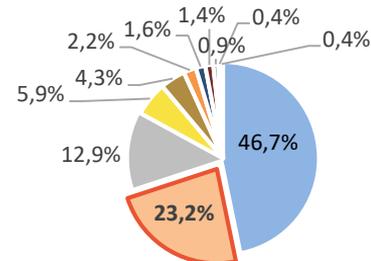
Indications hors AMM	Nb patients traités en 2020	% patients traités en 2020
Lymphomes non hodgkiniens (LNH) à cellules B	689	58,1%
Myélome multiple	259	21,9%
Leucémies	87	7,3%
LNH - cellules non précisées	46	3,9%
LNH à cellules T	42	3,5%
Autres	31	2,6%
Lymphomes hodgkiniens	31	2,6%
Total général	1 185	100%

Détail des indications de LNH à cellules B



Focus sur les cancers broncho-pulmonaires et pleuraux

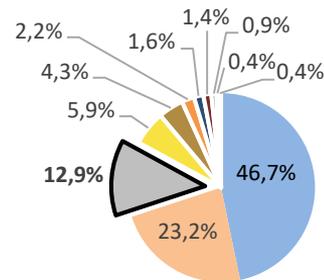
- Cancers hématologiques
- Cancers bronchopulmonaires et pleuraux
- Cancers du système nerveux
- Cancers du sein
- Cancers digestifs
- Cancers gynécologiques
- Cancers uronéphrologiques
- Cancers de la peau
- Non renseignée



Indications hors AMM	Nb patients traités en 2020	% patients traités en 2020
Cancers bronchopulmonaires	522	88,6%
• Cancers Bronchiques Non à Petites Cellules (CBPNC)	424	72,0%
• Cancers Bronchiques à Petites Cellules (CBPC)	20	3,4%
• Non renseigné	78	13,2%
Cancers pleuraux	67	11,4%
• Mésothéliome pleural malin	67	11,4%
Total général	589	100%

Focus sur les cancers du système nerveux

- Cancers hématologiques
- Cancers bronchopulmonaires et pleuraux
- Cancers du système nerveux
- Cancers du sein
- Cancers digestifs
- Cancers gynécologiques
- Cancers uronéphrologiques
- Cancers de la peau
- Non renseignée



Indications hors AMM	Nb patients traités en 2020	% patients traités en 2020
Tumeurs cérébrales	322	98,2%
• Gliomes	266	81,1%
• Lymphomes primitifs du SNC	36	11,0%
• Méningiomes	12	3,7%
• Non renseigné	7	2,1%
• Gangliogliomes	1	0,3%
Neuroblastomes	3	0,9%
Autres	3	0,9%
• Schwannome	2	0,6%
• Lésion tumorale maligne du tronc cérébral	1	0,3%
Total général	328	100%

3. Médicaments non anticancéreux : focus sur le hors AMM

Médicaments non anticancéreux

ANNEE 2020 (N = 12 597)

Hors AMM et hors RTU

16,6%

RTU
0,7%

AMM
82,7%

ANNEE 2019 (N = 12 088)

Hors AMM et
hors RTU

15%

RTU
0,03%

AMM
84,97%

ANNEE 2018 (N = 12 466)

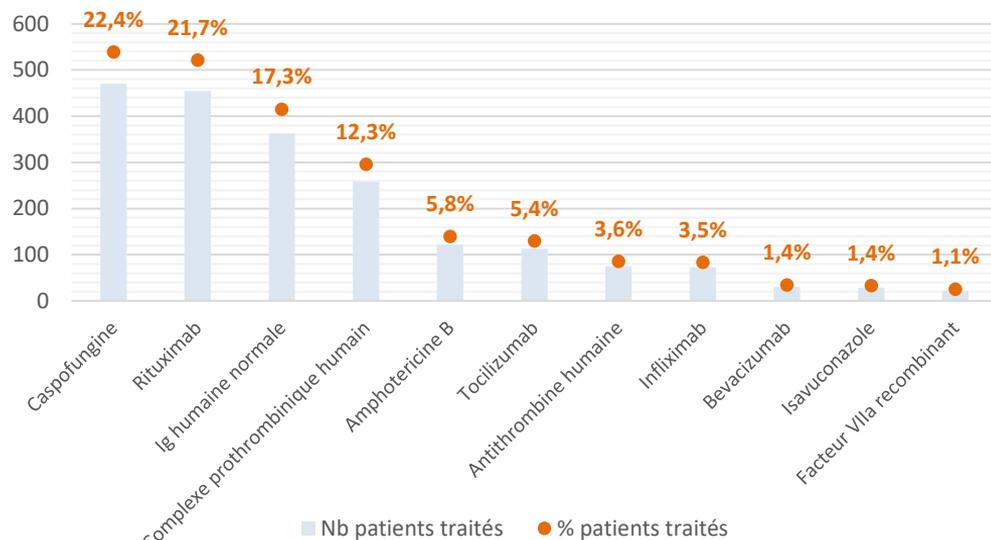
Hors AMM et
hors RTU

15,7%

AMM
84,3%

Répartition des prescriptions hors AMM de non anticancéreux par DCI en 2020
(2 095 patients / 31 DCI)

Représentation des DCI avec au moins 20 patients traités



■ Nb patients traités en hors AMM en 2019

● % patients traités en hors AMM en 2019

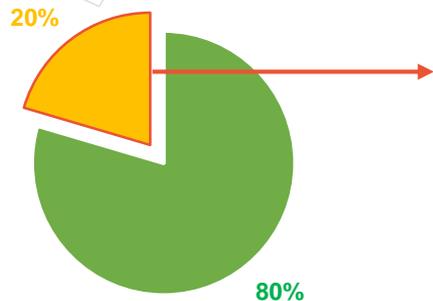
■ Nb patients traités en hors AMM en 2020

● % patients traités en hors AMM en 2020

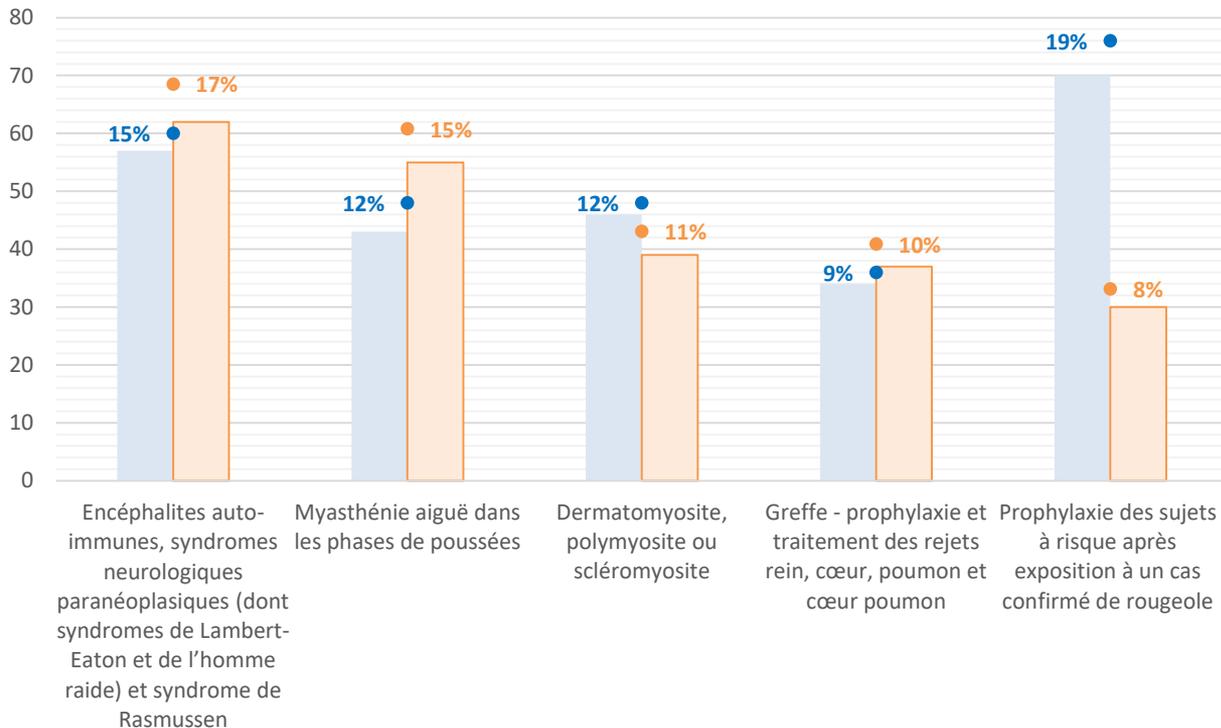
En 2019 (n=1777) :

- AMM : 79%

- Hors AMM : 21% (18% en 2018 et 2017)



■ AMM ■ Hors AMM et hors RTU



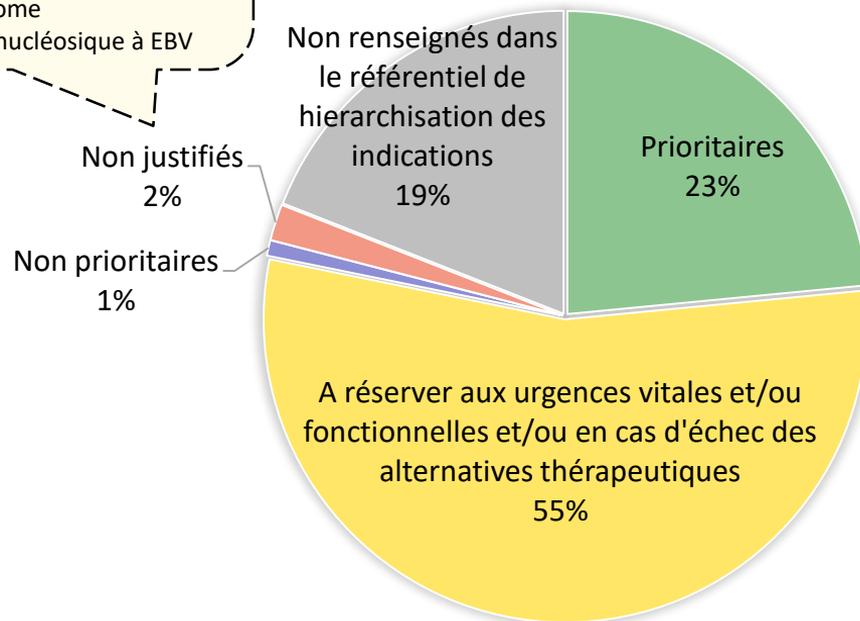


- Syndrome d'Activation Macrophagique
- Diarrhées à *Norovirus* chez patient greffé
- Neutropénie auto-immune
- Syndrome mononucléosique à EBV

Priorisation des indications (version actualisée avril 2019)

Années	Nb patients
2020	1770
2019	1777
2018	1802
2017	2240

Depuis 2017 : diminution du nb de patients en initiation de traitement par Ig



4. Prescription hors AMM

Justification des indications hors AMM

La prescription hors AMM est réservée aux **situations à défaut et par exception en l'absence d'alternative pour le patient**. Le prescripteur porte au dossier médical l'argumentation qui l'a conduit à prescrire, en faisant **référence aux travaux des sociétés savantes ou aux publications des revues internationales à comité de lecture**.

	Nombre de patients hors AMM	Présence d'une justification	Dont une référence bibliographique
	2020 [2019]	2020 [2019]	2020 [2019]
Anticancéreux	2 535 [2 250]	1 730 (68%) [1 488 (66%)]	1 648 (65%) [1 440 (64%)]
Non anticancéreux	2 095 [1 811]	1 082 (52%) [616 (34%)]	1 068 (51%) [557 (31%)]
Global	4 630 [4 061]	2 812 (61%) [2 104 (52%)]	2 716 (59%) [1 997 (49%)]

5. AMM miroir

Nouveau codage pour l'AMM miroir

Un décret d'application est en projet

Une AMM miroir correspond à une indication AMM attribuée pour un médicament A en association à un médicament B alors que le médicament B n'est pas porteur de cette AMM. Selon le statut des médicaments A et B, les règles de codage sont différentes

Cas	Prise en charge médicament A dans l'indication	Prise en charge médicament B dans l'indication	Codage médicament A	Codage médicament B
1	LES	Aucune mais médicament B par ailleurs inscrit sur la LES pour d'autres indications	Code indication LES de « A »	Code indication LES « I999997 »
2	Intra-GHS		Absence de codage	
3	ATU/AAP		Code indication ATU/AAP de « A »	

Valorisation à l'euro-l'euro du médicament en AMM miroir, dès lors qu'il est inscrit sur la liste en sus pour au moins une autre de ses indications.

Exemples

Cas	Prise en charge médicament A dans l'indication	Prise en charge médicament B dans l'indication	Codage médicament A	Codage médicament B
1	LES Ex : PERJETA Pertuzumab	en association au trastuzumab et au docétaxel, dans le traitement de patients adultes atteints d'un cancer du sein métastatique ou localement récidivant non résécable HER2 positif, n'ayant pas reçu au préalable de traitement anti-HER2 ou de chimiothérapie pour leur maladie métastatique	Code indication LES de PERJETA : (I000271)	Code indication LES pour trastuzumab sera : I999997
2	Intra-GHS Ex : TYVERB Lapatinib	En association au trastuzumab chez les patients ayant un cancer du sein HER+ métastatique avec des récepteurs hormonaux négatifs, en progression après un (des) traitement(s) antérieur(s) par trastuzumab en association à une chimiothérapie	Absence de codage PMSI car intra GHS	Code indication LES pour trastuzumab sera : I999997
3	AAP Ex : FARYDAK Panobinostat	En association avec le bortézomib et la dexaméthasone, est indiqué pour le traitement des patients adultes atteints de myélome multiple en rechute et/ou réfractaire ayant déjà reçu au moins deux lignes de traitement antérieur incluant du bortézomib et un agent immunomodulateur.	Code indication AAP de FARYDAK : CPANO01	Code indication LES pour bortezomib sera : I999997