

LETTRE-RÉSEAU

LR-DDGOS-39/2008

Document consultable dans Médi@m

Date :

07/05/2008

Domaine(s) :

Risques maladie

Nouveau	<input checked="" type="checkbox"/>
Modificatif	<input type="checkbox"/>
Complémentaire	<input type="checkbox"/>
Suivi	<input type="checkbox"/>
Provisoire	<input type="checkbox"/>

Objet :

Prise en charge des maladies rares autres que les MMH au titre d'une affection de longue durée exonérante et rôle de la Cellule Nationale Maladies Rares

Liens :

LR-DDGOS-101/2006

LR-DDGOS-45/2007

LR-DDGOS-7/2007

Plan de classement :

2520

Emetteur(s) :

DDGOS

Pièces jointes :

à Mesdames et Messieurs les

- | | | | |
|--|---|---|--------------------------------|
| <input checked="" type="checkbox"/> Directeurs | <input checked="" type="checkbox"/> CPAM | <input checked="" type="checkbox"/> CRAM | <input type="checkbox"/> URCAM |
| <input type="checkbox"/> Agents Comptables | <input type="checkbox"/> UGECAM | <input checked="" type="checkbox"/> CGSS | <input type="checkbox"/> CTI |
| <input checked="" type="checkbox"/> Médecins Conseils | <input checked="" type="checkbox"/> Régionaux | <input checked="" type="checkbox"/> Chef de service | |

Pour mise en oeuvre immédiate

Résumé :

La présente lettre-réseau précise les conditions de prise en charge des maladies rares par l'Assurance Maladie et le circuit de traitement des demandes d'exonération du ticket modérateur au titre d'une maladie rare adressées aux échelons locaux du service médical. Elle définit également le rôle de la cellule nationale maladies rares créée à la CNAMTS.

Mots clés :

Maladies rares - ALD - Cellule nationale maladies rares -

Le Médecin Conseil National



Professeur Hubert ALLEMAND

LETTRE-RESEAU : LR/

Date :

Objet : Prise en charge des maladies rares autres que les MMH au titre d'une affection de longue durée exonérante et rôle de la Cellule Nationale Maladies Rares

Rappel du contexte.

Les maladies rares sont souvent graves, chroniques, évolutives et mettent en jeu le pronostic vital. Elles peuvent générer des handicaps de tout type, parfois très sévères. 80% d'entre elles sont génétiques. Les maladies rares ne se définissent pas sur des critères cliniques, mais rassemblent toutes les pathologies dont la prévalence est inférieure à 1/2000 personnes, aussi le diagnostic s'avère-t-il souvent long et difficile.

En 2004, l'Organisation Mondiale de la Santé estimait entre 5000 et 8000 le nombre de maladies rares. En France, on estime que plus de 3 millions de personnes sont concernées.

Les maladies rares ont été retenues comme l'une des cinq grandes priorités de la loi relative à la politique de santé publique n°2004-806 du 9 août 2004 (Journal Officiel du 11 août 2004). Articulé autour de grands axes stratégiques, le Plan National Maladies Rares (PNMR) 2005-2008 propose une série de mesures concrètes pour l'organisation de notre système de soins visant à reconnaître la spécificité des maladies rares, notamment afin de faciliter le diagnostic de l'affection et ainsi améliorer l'accès aux soins et la prise en charge des patients.

Le circuit de gestion spécifique des maladies métaboliques héréditaires (MMH) est inchangé (se reporter aux instructions diffusées par lettre-réseau réf. *LR-DDGOS-7/2007* du 16 février 2007).

La prise en charge des maladies rares par l'Assurance Maladie.

1- L'exonération du ticket modérateur.

Il existe actuellement différents modes de prise en charge des maladies rares au titre des affections de longue durée. Certaines maladies rares sont reconnues au titre d'une ALD 30 lorsque la pathologie, ou l'un de ses symptômes, figure sur la liste (mucoviscidose ou sclérose latérale amyotrophique, par exemple). D'autres sont regroupées dans une même ALD (maladies métaboliques héréditaires, hémophilies). Lorsque la pathologie ne figure pas sur la liste des 30 affections exonérantes, la maladie rare peut alors être reconnue, si les éléments médicaux le permettent, au titre d'une ALD hors liste (ALD 31).

Dans l'une ou l'autre de ces situations, le patient bénéficie de l'exonération du ticket modérateur pour les soins et traitements remboursables par l'Assurance Maladie dès lors qu'ils sont liés à la pathologie reconnue au titre d'une ALD.

2- Les produits non remboursables ou hors AMM.

Certains produits de santé (médicaments, dispositifs médicaux, ...) prescrits dans le cadre du traitement de la maladie rare ne bénéficient d'aucun remboursement. Il s'agit notamment de produits disposant d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) et remboursables dans certaines indications mais prescrits **en dehors de ces indications** pour le traitement de certaines maladies rares (prescription de vitamines dans le cadre de la mucoviscidose, par exemple). Du point de vue réglementaire, aucune prise en charge par l'Assurance Maladie n'est prévue dans ces situations.

L'article 56 de la loi de financement de la Sécurité Sociale pour 2007 n°2006-1640 du 21 décembre 2006⁽¹⁾ (Journal Officiel du 22 décembre 2006) prévoit que, lorsqu'il n'existe pas d'alternative appropriée, toute spécialité pharmaceutique, tout produit ou toute prestation prescrit en dehors du périmètre des biens et services remboursables **pour le traitement d'une affection de longue durée ou d'une maladie rare, peut faire l'objet, à titre dérogatoire et pour une durée limitée, d'une prise en charge ou d'un remboursement**, et à condition que la spécialité, le produit ou la prestation figure dans un avis ou une recommandation relatifs à une catégorie de malades formulés par la Haute Autorité de Santé (HAS).

Le décret n°2008-211 du 3 mars 2008 paru au Journal Officiel du 5 mars 2008 a précisé les conditions dans lesquelles la HAS pourra être saisie d'une demande de cette nature, ainsi que le délai qui lui est imparti pour se prononcer quant à une éventuelle période de prise en charge dérogatoire d'un produit ou d'une spécialité pharmaceutique. Les modalités concrètes de cette prise en charge par les caisses d'Assurance Maladie restent toutefois à déterminer, aussi la prise en charge de ces produits ne peut-elle, pour le moment, être examinée dans le cadre de ces nouvelles mesures.

L'attention des services administratifs et médicaux est donc appelée sur le fait que **le circuit actuel de gestion des dossiers** (étude des demandes au cas par cas avec orientation éventuelle vers le Fonds National d'Action Sanitaire et Sociale [FNASS]) **doit être maintenu**, en l'attente de la publication des arrêtés qui permettront la prise en charge dérogatoire des spécialités et produits nécessaires au traitement des maladies rares,

⁽¹⁾ nouvel article L. 162-17-2-1 du Code de la Sécurité Sociale

La présente lettre-réseau précise les conditions dans lesquelles doivent être gérés les dossiers maladies rares. **Il s'agit en particulier d'harmoniser les avis émis par les échelons locaux du service médical afin de garantir une équité de traitement des demandes.**

Composition et rôle de la Cellule Nationale maladies rares.

L'une des mesures du Plan National Maladies Rares 2005-2008 évoqué précédemment consiste à mettre en place une cellule dédiée aux maladies rares, au niveau national des différents régimes d'Assurance Maladie, afin de sensibiliser les caisses à la prise en charge particulière des patients concernés.

Cette cellule a été mise en place à la CNAMTS en 2007 (cf. *LR-DDGOS-45/2007 du 12 juin 2007 relative à la prise en charge des agénésies dentaires multiples liées à une maladie rare*). Placée sous l'autorité de la Direction des Assurés, elle est composée de deux médecins conseils, d'un cadre administratif en charge des questions réglementaires, d'une assistante de direction et de deux agents techniques.

Les instructions relatives au respect du secret médical et visant expressément à garantir la sécurité et la confidentialité dans le cadre du traitement des dossiers individuels nominatifs transmis à la Direction des Assurés ont été diffusées par lettre-réseau réf. *LR-DDGOS-101/2006* du 17 août 2006.

La cellule nationale dispose d'un **secrétariat dédié qui centralise toutes les demandes, et pourvu d'un télécopieur à usage exclusif de l'équipe en charge des maladies rares**. Il convient de préciser que le secret médical s'étend à l'ensemble des collaborateurs qui sont sous la responsabilité du médecin et qu'il concerne de fait le personnel administratif du service.

La cellule nationale maladies rares a pour mission de faciliter la gestion des demandes de prise en charge en ALD pour les maladies rares au niveau des échelons locaux du service médical et constitue un appui technique pour les médecins conseils, **mais n'a pas vocation à recevoir systématiquement pour avis l'ensemble des dossiers qui parviennent aux échelons.**

Les demandes de renseignements devront être adressées à la cellule sous forme de questions anonymes (c'est-à-dire **sans faire figurer le nom du patient**).

Aucun dossier nominatif comportant les éléments médicaux individuels ne devra être transmis par messagerie. S'agissant de certaines situations spécifiques énumérées ci-dessous (cf. *II – Les cas particuliers*), qui nécessitent l'envoi de données médicales nominatives, la communication des éléments devra impérativement se faire **par télécopie** comme précisé ci-dessus.

Traitement des demandes.

I - **Demandes d'exonération du ticket modérateur en vue de la reconnaissance d'une maladie rare, à traiter par l'ELSM avec l'appui de la cellule nationale.**

Les demandes d'ALD au titre d'une maladie rare reçues par les échelons locaux du service médical sont traitées par le médecin conseil, qui dispose d'outils d'aide à la décision en fonction de la situation rencontrée (site Orphanet, protocoles nationaux de diagnostic et de soins).

Certaines de ces demandes émanent d'un centre de référence. Créés dans le cadre du Plan National Maladies Rares 2005-2008, ces centres sont composés d'équipes pluridisciplinaires. Labellisés par voie d'arrêté pour une maladie rare ou pour un groupe de maladies rares, ils disposent d'un haut niveau de recherche dans le domaine concerné et interviennent dans la prise en charge d'un patient lorsqu'un diagnostic est particulièrement complexe à poser et qu'il nécessite un niveau d'expertise interrégional ou national. Le cas échéant, le centre de référence assure la mise en œuvre de la stratégie thérapeutique et le suivi quotidien du patient en lieu et place de la structure de prise en charge habituelle, dite "centre de compétence".

Il est donc demandé aux médecins conseils d'apporter une attention particulière aux protocoles de soins émanant des centres de référence labellisés pour une maladie rare ou un groupe de maladies rares.

1. Site d'information Orphanet.

Orphanet est un serveur d'information sur les maladies rares et les médicaments orphelins, librement accessible sur www.orpha.net⁽¹⁾. Dans l'objectif de concourir à l'amélioration de la prise en charge et du traitement des maladies rares, ce site offre des services adaptés à la fois aux patients et aux professionnels de santé. Sont également consultables en page d'accueil du site la liste des centres de référence labellisés (actualisée en août 2007) et le Plan National Maladies Rares.

En tant que de besoin, les médecins conseils peuvent donc recourir à ce serveur.

2. Les protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS).

La loi n°2004-810 du 13 août 2004 portant réforme de l'Assurance Maladie (Journal Officiel du 17 août 2004) a créé la Haute Autorité de Santé (HAS) et en a précisé les missions, en particulier dans le domaine des affections de longue durée.

La HAS formule des recommandations sur les actes et prestations nécessités par le traitement de ces affections, les conditions dans lesquelles doivent être réalisés ces actes et prestations, leur fréquence de réalisation. Elle élabore avec les centres de référence, et en collaboration avec des professionnels issus des centres de compétences pour les maladies concernées, des protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS).

L'objectif de ces PNDS est d'explicitier pour les professionnels de santé la prise en charge optimale et le parcours de soins d'un malade admis en ALD au titre de l'une des affections concernées. Ils mentionnent un certain nombre d'indications sur l'affection considérée (diagnostic, professionnels impliqués dans le traitement, prise en charge thérapeutique, complications éventuelles, etc.).

Une liste HAS des actes et prestations est rattachée à chaque PNDS. Aussi, lorsqu'il existe un PNDS pour la maladie rare faisant l'objet d'un protocole de soins, il appartient au médecin-conseil de s'assurer que les actes et prestations demandés sont inscrits dans cette liste HAS, et de donner un avis en conséquence sur la demande.

A la date du 1^{er} février 2008, la HAS a publié 9 PNDS⁽²⁾. Dans son programme de travail pour l'année 2008, elle prévoit d'élaborer une douzaine de nouveaux PNDS.

⁽¹⁾ cf. Medi@m => Service médical => rubrique "Actualités"=> information du 18 mars 2008 : "*Orphanet, un site à connaître*"

⁽²⁾ Hypertension artérielle pulmonaire (HTAP) ; sclérose latérale amyotrophique ; hémophilies et affections constitutionnelles de l'hémostase graves ; vascularites nécrosantes systémiques ; maladie de Gaucher ; mucopolysaccharidose de type I ; hémochromatose liée au gène HFE (type I) ; mucoviscidose ; xeroderma pigmentosum.

Les protocoles parus sont consultables sur le site internet de la HAS www.has-sante.fr [rubrique *professionnels de santé / affections de longue durée / menu déroulant par numéro d'ALD 30 ou ALD hors liste*].

En l'absence de PNDS existant pour l'affection concernée et si la consultation d'Orphanet ne permet pas au médecin conseil de disposer des éléments médicaux nécessaires et suffisants pour reconnaître la maladie rare, celui-ci pourra faire appel à la cellule nationale maladies rares par messagerie, dans les conditions d'anonymat précisées en page 3.

Une réponse sera apportée dans les délais les plus brefs.

II – Les cas particuliers pour lesquels les demandes d'exonération sont à transmettre systématiquement à la cellule nationale maladies rares.

Dans ce nouveau contexte législatif et dans le souci d'harmoniser les pratiques locales, la CNAMTS souhaite apporter une réponse centralisée sur les dossiers comportant un fort enjeu national, à la fois en santé publique et sur le plan économique.

1. Les dossiers comportant les prescriptions suivantes :

- . Les médicaments actuellement en phase d'essai clinique, qui seront prochainement disponibles sur le marché dans le traitement des maladies rares.
- . Les essais de thérapie génique.

2. Les dossiers comportant des produits ou prestations hors AMM ou non remboursables.

Lorsqu'une demande comporte des produits non remboursables ou prescrits en dehors des indications remboursables **et qu'ils ne figurent pas dans le PNDS de la maladie s'il existe**, le médecin conseil transmet le dossier à la cellule nationale maladies rares.

Il convient de préciser que **tous les produits** prescrits dans ces conditions sont concernés par cette transmission à la cellule, y compris ceux très peu coûteux (comme par exemple les vitamines) mais néanmoins indispensables dans le traitement de la maladie rare.

Toutes les situations énumérées ci-dessus (cf. *II.1 et II.2*) seront examinées **au cas par cas** par la cellule nationale, avec l'appui de médecins experts dans le domaine des maladies rares (praticiens hospitaliers experts en génétique médicale).

Il est rappelé que toute communication d'éléments médicaux nominatifs devra impérativement être effectuée par télécopie adressée au secrétariat dédié à la cellule, et non par messagerie.

Perspectives.

Les données recueillies par la cellule nationale maladies rares seront conservées, analysées, et feront l'objet d'études médico-économiques anonymisées permettant de procéder à l'évaluation du dispositif.

Les conclusions tirées de ces études seront communiquées à un comité inter-régimes, dont le rôle sera de centraliser les informations provenant des différents régimes dans le domaine des maladies rares mais également de formuler des propositions (suggestion d'élaboration de PNDS par la HAS, amélioration éventuelle de la procédure de traitement des demandes, etc.), ou encore de participer aux travaux d'élaboration des PNDS en collaboration avec la HAS.

Des bilans tirés de ces études seront réalisés régulièrement et seront présentés au groupe de travail "accès aux soins" lors des réunions organisées dans le cadre du suivi du Plan national maladies rares 2005-2008.

Ce comité sera composé de deux médecins conseils du régime général, d'un médecin conseil de la Mutualité Sociale Agricole (MSA), d'un médecin conseil du Régime Social des Indépendants (RSI) et d'un secrétariat, et pourra si nécessaire faire appel à des experts. Il se réunira deux fois par an.