



Ministère des solidarités et de la santé
Ministère de l'action et des comptes publics

DIRECTION GENERALE DE L'OFFRE DE SOINS
SOUS-DIRECTION PILOTAGE DE LA PERFORMANCE
DES ACTEURS DE L'OFFRE DE SOINS
BUREAU QUALITE ET SECURITE DES SOINS (PF2)
Agnès Laforest-Bruneaux
Tél. : 01 40 56 69 86

DIRECTION DE LA SECURITE SOCIALE
SOUS-DIRECTION FINANCEMENT DU SYSTEME DE SOINS
BUREAU DES PRODUITS DE SANTE (1C)
Mégane Lesaignoux

La Ministre des solidarités et de la santé
Le Ministre de l'action et des comptes publics

à

Mesdames et Messieurs les directeurs
généraux des agences régionales de santé
(pour diffusion)

Mesdames et Messieurs les directeurs
d'établissements de santé

Mesdames et messieurs les coordinateurs
des observatoires des médicaments, des
dispositifs médicaux et de l'innovation
thérapeutique (OMEDIT)

Monsieur le directeur général de la caisse
nationale de l'assurance maladie (CNAM)

Monsieur le directeur général de la caisse
centrale de la mutualité sociale agricole
(CCMSA)

Note d'information N° DGOS/PF2/DSS/1C/2018/216 du 18 septembre 2018 relative à la mise en place d'un financement dérogatoire à titre exceptionnel et temporaire pour la spécialité pharmaceutique QARZIBA® (dinutuximab beta) dans le traitement du neuroblastome de haut risque.

Date d'application : immédiate

NOR : **SSAH1825258J**

Classement thématique : médicament ; pharmacie

Inscrit pour information à l'ordre du jour du CNP du 31 août 2018 – N ° 80

Publiée au BO : oui

Déposée sur le site circulaire.legifrance.gouv.fr : oui

| |
|--|
| Catégorie : Directives adressées par le ministre aux services chargés de leur application, sous réserve, le cas échéant, de l'examen particulier des situations individuelle. |
| Résumé : Cette note d'information précise les modalités de prise en charge dérogatoire, mise en place à titre exceptionnel et temporaire, pour la spécialité QARZIBA® (dinutuximab beta), qui n'a pas fait l'objet d'une inscription sur la liste en sus, dans le « traitement des patients âgés de 12 mois et plus atteints d'un neuroblastome de haut risque, qui ont précédemment reçu une chimiothérapie d'induction et ont présenté au moins une réponse partielle, suivie d'un traitement myéloablatif et d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques, avec ou sans maladie résiduelle ». Pour cette indication un accompagnement financier exceptionnel des établissements est mis en place du 1 ^{er} septembre 2018 au 31 décembre 2019. |
| Annexe : Liste des établissements de santé concernés_ |
| Mots-clés : médicament ; financement dérogatoire ; QARZIBA® (dinutuximab beta); neuroblastome |
| Textes de référence : Article L.162-22-7 du code de la sécurité sociale |
| Diffusion : ARS |

1. Contexte

La spécialité pharmaceutique **QARZIBA®** (Dinutuximab Bêta) des laboratoires EUSA Pharma est un médicament désigné comme orphelin qui bénéficie d'une AMM sous circonstances exceptionnelles délivrée le 8 mai 2017 dans « le traitement des patients âgés de 12 mois et plus atteints d'un neuroblastome de haut risque, qui ont précédemment reçu une chimiothérapie d'induction et ont présenté au moins une réponse partielle, suivie d'un traitement myéloablatif et d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques, ainsi que chez les patients ayant un neuroblastome récidivant ou réfractaire, avec ou sans maladie résiduelle ».

Dans son avis en date du 22 novembre 2017, la commission de la transparence (CT) de la Haute Autorité de la Santé (HAS) a reconnu à la spécialité **QARZIBA®** en association à l'isotrétinoïne sans IL-2, un service médical rendu important dans l'indication de l'AMM, une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) dans la prise en charge de la phase d'entretien du neuroblastome à haut risque et une absence d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la prise en charge du neuroblastome récidivant ou réfractaire. La CT a également souligné que la spécialité n'est pas susceptible d'avoir un intérêt de santé publique et qu'il n'existe pas de comparateur médicamenteux cliniquement pertinent disposant d'une AMM.

En application des critères fixés par le décret n°2016-349 du 24 mars 2016 relatif à la procédure et aux conditions d'inscription des spécialités pharmaceutiques sur la liste mentionnée à l'article L-162-22-7 du code de la sécurité sociale, cette spécialité n'a pas été inscrite sur la liste en sus dans l'ensemble de ses indications.

Dans ce contexte, pour des raisons de santé publique, un financement est mis en place à titre exceptionnel jusqu'au 31 décembre 2019, dans la prise en charge de la phase d'entretien du neuroblastome à haut risque.

2. Modalités d'accompagnement financier exceptionnel des établissements suite à la mise en place d'un financement exceptionnel et temporaire de la spécialité QARZIBA® (dinutuximab beta) dans une indication précise

2.1. Cadre de la prise en charge

La mesure d'accompagnement financier exceptionnel des établissements de santé est mise en place pour une période limitée afin de permettre la prise en charge de la spécialité **QARZIBA®** (dinutuximab beta) du laboratoire EUSA Pharma dans l'indication suivante : « *traitement des patients âgés de 12 mois et plus atteints d'un neuroblastome de haut risque, qui ont précédemment reçu une chimiothérapie d'induction et ont présenté au moins une réponse partielle, suivie d'un traitement myéloablatif et d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques, avec ou sans maladie résiduelle* ».

« La prise en charge dérogatoire débute pour les administrations de la spécialité effectuées à partir du 1^{er} septembre 2018 et se substitue à la prise en charge dans le cadre de l'ATU nominative pour les patients concernés. Cette prise en charge dérogatoire se termine le 31 décembre 2019. »

Cette prise en charge est réservée aux seuls centres d'oncologie pédiatrique des établissements de santé dont la liste est annexée à la présente note.

Cette prise en charge exceptionnelle est effectuée sur la base d'une délégation de crédits maximale de 4 millions d'euros par an, qui sera répartie entre les établissements au prorata de leur consommation réelle et du nombre de patients traités pour l'indication susmentionnée.

En conséquence, pour la période allant du 1^{er} septembre 2018 au 31 décembre 2018, la délégation de crédits maximale est fixée à 1,3 million d'euros.

Il est précisé que l'utilisation de la spécialité **QARZIBA®** (dinutuximab beta) dans l'indication « *traitement des patients âgés de 12 mois et plus atteints d'un **neuroblastome récidivant ou réfractaire*** », qui n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu d'après l'avis de la CT (ASMR V), n'est pas couverte par l'accompagnement financier décrit dans la présente instruction.

2.2. Modalités pratiques

Le financement complémentaire des traitements s'effectuera sur la base du traitement *a posteriori* des données du programme de médicalisation des systèmes d'information (PMSI)

Les établissements de santé déclareront les UCD consommés pour le traitement du neuroblastome à haut risque via le fichier FICHCOMP ATU pour les établissements de santé consommateurs.

| Code UCD | Denomination commune internationale | Libellé de la spécialité pharmaceutique | Laboratoire exploitant ou titulaire de l'autorisation d'importation |
|---------------|-------------------------------------|---|---|
| 3400894395423 | Dinutuximab bêta | QARZIBA 4,5MG/ML PERF FL | EUSA PHARMA |

Le financement se fera dans la limite de la délégation maximale de crédits rappelés au 2.1.

Pour l'année 2018, le financement prendra en charge les traitements administrés à compter du 1^{er} septembre 2018, dans l'indication précitée sous la forme d'un versement dans le cadre de la première circulaire de campagne budgétaire 2019 réparti au prorata de la consommation en UCD.

Pour l'année 2019, la délégation des crédits sera réalisée en deux versements, un premier dans le cadre de la première circulaire de campagne budgétaire 2019 et un second de régulation dans le cadre de la première circulaire de campagne budgétaire 2020.

2.3. Modalités de contrôle

Il sera procédé *ex post* au traitement des données du PMSI. Ce traitement pourra, le cas échéant, conduire à des contrôles entraînant le non-remboursement des UCD ne respectant pas les conditions susmentionnées.

Nous remercions les agences régionales de santé de procéder à la diffusion de cette note d'information aux établissements et aux directeurs d'établissements de santé de bien vouloir la transmettre aux prescripteurs concernés, aux pharmaciens et aux médecins du département d'information médicale.

Nous vous remercions de nous informer de toute difficulté que vous pourriez rencontrer à la mise en œuvre de cette note d'information.

Pour les ministres et par délégation

signé

Mathilde LIGNOT LELOUP
Directrice de la sécurité sociale

Pour la ministre et par délégation

signé

Cécile COURREGES
Directrice générale de l'offre de soins

Annexe : Liste des établissements de santé concernés :

- Institut Gustave Roussy (Villejuif)
- CHU Amiens
- CHU Angers
- CHU Besançon
- CHU Bordeaux
- CHU Brest
- CHU Caen
- CHU Clermont Ferrand
- CHU Dijon
- CHU Grenoble
- Centre Oscar Lambret (Lille)
- Centre Léon Bérard (Lyon)
- CHU Limoges
- CHU La Timone (Marseille)
- Hôpital Arnaud de Villeneuve (Montpellier)
- CHU Nantes
- CHU Nancy
- Hôpital de l'Archet (Nice)
- APHP Trousseau (Paris)
- Institut Curie (Paris)
- CHU Poitiers
- CHU Reims
- CHU Rennes
- CHU Rouen
- CHU St Etienne
- CHU Haute Pierre (Strasbourg)
- CHU Toulouse