



GOVERNEMENT

*Liberté
Égalité
Fraternité*

Direction générale de l'offre de soins

Sous-direction pilotage de la performance
des acteurs de l'offre de soins
Bureau produits de santé, qualité et
pertinence des soins (PF2)

Personne chargée du dossier :

Isabelle PETIT

Mél. : isabelle.petit@sante.gouv.fr

Direction de la sécurité sociale

Sous-direction financement du système de soins
Bureau des produits de santé (1C)

Personne chargée du dossier :

Mégane LESAINOUX

Mél. : megane.lesaignoux@sante.gouv.fr

Le ministre des solidarités et de la santé
Le ministre de l'économie, des finances et de
la relance

à

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

Copie à :

Mesdames et Messieurs les directeurs des
établissements de santé (pour mise en œuvre)

Monsieur le directeur général de la Caisse nationale
d'assurance maladie (pour mise en œuvre)

Monsieur le directeur général de la Caisse centrale
de la mutualité sociale agricole (pour mise en
œuvre)

Monsieur le directeur général de l'Union nationale
des caisses d'assurance maladie (pour mise en
œuvre)

NOTE D'INFORMATION INTERMINISTERIELLE N° DGOS/PF2/DSS/1C/2021/136 du 25 juin 2021
relative à l'arrêt de la prise en charge au titre du dispositif post-ATU de la spécialité RAXONE® 150 mg,
comprimé pelliculé (idebenone) ainsi qu'aux modalités relatives aux continuités des traitements
initiés au cours de l'ATU ou du post-ATU.

Date d'application : 1^{er} juillet 2021

NOR : SSAH2120211N

Classement thématique : pharmacie humaine.

Inscrite pour information à l'ordre du jour du CNP du 25 juin 2021 – N° 49

Résumé : la spécialité RAXONE® 150 mg, comprimé pelliculé (idebenone) fait l'objet d'une prise en charge dans le cadre du dispositif dit « post-ATU », prévu à l'article L. 162-16-5-2 du code de la sécurité sociale depuis le 1^{er} novembre 2015 pour ses deux indications.

Cette prise en charge dérogatoire prendra fin à compter du 30 juin 2021.

L'objet de cette note est de préciser les modalités de poursuite des traitements initiés au cours de l'ATU (autorisation temporaire d'utilisation) ou du post-ATU, ainsi que les initiations de traitement, à titre dérogatoire, à compter de cette date pour cette spécialité.

Mention Outre-mer : ces dispositions s'appliquent dans les départements et régions d'Outre-mer, à Saint-Barthélemy et à Saint-Martin.

Mots-clés : Raxone® - dispositif post-ATU – idebenone.

Textes de référence : articles L. 162-16-5-2 et L. 162-16-5-4 du code de la sécurité sociale.

Circulaire / instruction abrogée : néant.

Circulaire / instruction modifiée : néant.

Diffusion : agences régionales de santé (ARS), établissements de santé, pharmacies à usage intérieur (PUI).

1- Contexte

La spécialité RAXONE® 150 mg, comprimé pelliculé (idebenone), a fait l'objet d'une autorisation temporaire d'utilisation de cohorte (ATUc) dans « le traitement des patients âgés de plus de 14 ans présentant un épisode de neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) dont les symptômes ont débuté depuis moins de 1 an », puis a obtenu, le 8 septembre 2015, une autorisation de mise sur le marché (AMM) dans « le traitement des patients âgés de plus de 14 ans présentant un épisode de neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) ».

Ainsi depuis le 1^{er} novembre 2015, RAXONE® fait l'objet d'une prise en charge dans le cadre du dispositif dit « post-ATU », prévu à l'article L. 162-16-5-2 du code de la sécurité sociale, pour les indications citées supra.

La Commission de la transparence (CT), dans son avis du 16 mars 2016, a jugé que le service médical rendu (SMR) de la spécialité RAXONE® dans les indications de son AMM était insuffisant. Les ministres compétents ont décidé de suivre cet avis et, en conséquence, de refuser son inscription sur une liste ouvrant droit au remboursement. Par conséquent, il est mis fin au dispositif post ATU dont bénéficie cette spécialité.

Aussi, la prise en charge au titre du dispositif post-ATU dont bénéficie RAXONE® est interrompue à compter du 30 juin 2021 par arrêté des ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale.

A compter du 30 juin 2021 :

- ➔ les continuités des traitements des patients initiés avant cette date au titre de l'ATU ou dans le cadre du dispositif post-ATU ;
 - ➔ l'instauration de nouveaux traitements ;
- seront assurées selon les modalités précisées ci-dessous.

2- Engagement du laboratoire qui assure l'exploitation de RAXONE® d'assurer la continuité des traitements initiés et l'instauration de nouveaux traitements, et précision des conditions de mise à disposition gratuite pour les patients existants et nouvellement traités

Aux termes des dispositions mentionnées à l'article L. 162-16-5-4 du code de la sécurité sociale, la prise en charge d'une spécialité pharmaceutique, pour une indication particulière, au titre du dispositif ATU ou post-ATU, implique l'engagement par le laboratoire exploitant la spécialité de permettre d'assurer la continuité des traitements initiés en cas d'arrêt du dispositif pendant un délai déterminé. Le respect de cet engagement s'accompagne d'une prise en charge par l'Assurance Maladie.

Compte tenu du service médical rendu par RAXONE® jugé insuffisant pour justifier d'une prise en charge par la solidarité nationale au titre des listes de remboursement de droit commun, la continuité des traitements initiés par RAXONE® au titre de l'ATU ou du post-ATU doit être assurée par le laboratoire Santhera pendant une durée minimum de 45 jours, à compter de l'arrêt de la prise en charge post-ATU, pour les indications couvertes par l'AMM ayant bénéficié d'une prise en charge au titre du dispositif post-ATU.

L'accès et la prise en charge associée au titre de ces continuités de traitements sont donc assurés jusqu'au 15 août 2021 inclus.

Ils concernent les situations suivantes :

- le traitement des patients âgés de plus de 14 ans présentant un épisode de neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) dont les symptômes ont débuté depuis plus de un an ;
- le traitement des patients âgés de plus de 14 ans présentant un épisode de neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) dont les symptômes ont débuté depuis moins d'un an.

Au-delà du 15 août 2021, le laboratoire Santhera a pris la décision :

- **d'assurer une mise à disposition de RAXONE® à titre gracieux pour les patients nécessitant la poursuite de leur traitement dès lors qu'il a été initié au titre de l'ATU ou du post-ATU ;**
- **et de prendre en charge les initiations de traitement, pendant la période d'attente du dépôt de nouvelles données permettant une réévaluation par la Haute Autorité de santé (HAS) de son SMR.**

Dans ces circonstances exceptionnelles et à titre dérogatoire, il est permis, au-delà de la date du 30 juin 2021 pour assurer les traitements en cours tant que les patients en tirent un bénéfice ainsi que pour initier de nouveaux traitements après le 30 juin 2021, la fourniture et l'utilisation de RAXONE® par les établissements de santé en l'absence d'agrément aux collectivités.

Les modalités de prises en charge et de codage s'appliquent aux indications bénéficiant des continuités de traitement des spécialités RAXONE® et sont précisées dans l'onglet « continuités de traitement » du « Tableau des indications des spécialités prises en charge au titre du dispositif "Post-ATU" - article L. 162-16-5-2 du code de la sécurité sociale », mis en ligne sur le site internet du ministère des solidarités et de la santé¹.

¹ Autorisation d'accès précoce, autorisation d'accès compassionnel et cadre de prescription compassionnelle : <https://solidarites-sante.gouv.fr/soins-et-maladies/medicaments/professionnels-de-sante/autorisation-de-mise-sur-le-marche/article/autorisation-d-acces-precoce-autorisation-d-acces-compassionnel-et-cadre-de>

Pendant cette période de continuité de traitements, RAXONE® sera délivré aux patients éligibles par les pharmacies à usage intérieur autorisées à l'activité de vente au public de médicaments.

Pour le ministre et par délégation :
La directrice générale de l'offre de soins,

The word "Signé" is written in a bold, italicized, black font, tilted at an angle, within a white rectangular box.

Katia JULIENNE

Pour les ministres et par délégation :
Le directeur de la sécurité sociale,

The word "Signé" is written in a bold, italicized, black font, tilted at an angle, within a white rectangular box.

Franck VON LENNEP