



GOUVERNEMENT

*Liberté
Égalité
Fraternité*

NOTE D'INFORMATION INTERMINISTÉRIELLE N° DGOS/PF2/DSS/1C/2022/32 du 7 janvier 2022 relative à la prise en charge de la spécialité pharmaceutique LAMZEDE® (velmanase alpha) dans le « traitement enzymatique substitutif destiné à la prise en charge de l'alpha-mannosidose ».

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

à

Mesdames et Messieurs les directeurs généraux
des agences régionales de santé

Pour diffusion à :

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

Mesdames et Messieurs les responsables des observatoires des médicaments,
dispositifs médicaux et innovations thérapeutiques (pour information)

Référence	NOR : SSAH2204151N (numéro interne : 2022/32)
Date de signature	07/01/2022
Emetteurs	Ministère de l'économie, des finances et de la relance Direction générale de la sécurité sociale Ministère des solidarités et de la santé Direction générale de l'offre de soins
Objet	Modification de la prise en charge de la spécialité LAMZEDE®.
Contacts utiles	Sous-direction du financement du système de soins Bureau des produits de santé (1C) Mégane Lesaignoux Tél. : 01 40 56 51 18 Mél. : megane.lesaignoux@sante.gouv.fr Sous-direction pilotage de la performance des acteurs de l'offre de soins Bureau accès aux produits de santé et sécurité des soins (PF2) Isabelle PETIT Tél. : 01 40 56 48 32 Mél. : isabelle.petit@sante.gouv.fr
Nombre de pages et annexes	4 pages.
Résumé	Cette note d'information a pour objet de préciser les conditions et les modalités de prise en charge de la spécialité LAMZEDE® dans le cadre de son autorisation de mise sur le marché (AMM).

Mention Outre-mer	Ces dispositions s'appliquent dans les départements et régions d'Outre-mer, à Saint-Barthélemy, Saint-Pierre et Miquelon et à Saint Martin.
Mots-clés	Médicaments - financement dérogatoire - LAMZEDE® - établissement de santé.
Classement thématique	Pharmacie humaine
Textes de référence	- Article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale ; - NOTE D'INFORMATION INTERMINISTERIELLE n° DGOS/PF2/DSS/1C/2020/46 du 4 mars 2020 relative à la prise en charge de la spécialité pharmaceutique LAMZEDE® (velmanase alpha) dans le « traitement enzymatique substitutif destiné à la prise en charge de l'alpha-mannosidose » ; - NOTE D'INFORMATION N° DGOS/PF2/DSS/1C/2019/220 relative à la prise en charge de la spécialité pharmaceutique LAMZEDE® (velmanase alpha) dans le « traitement enzymatique substitutif destiné à la prise en charge de l'alpha-mannosidose ».
Inscrite pour information à l'ordre du jour du CNP du 18 février 2022 – N° 16	
Document opposable	Oui
Déposée sur le site Légifrance	Non
Publiée au BO	Oui
Date d'application	01/01/2022

I- Contexte et objectif

LAMZEDE® (velmanase alpha) est un médicament orphelin qui dispose d'une AMM depuis le 23 mars 2018, dans le traitement enzymatique substitutif destiné à la prise en charge de l'alpha-mannosidose, maladie extrêmement rare pouvant toucher un patient sur 1 million.

L'alpha-mannosidose est une maladie héréditaire de surcharge lysosomale caractérisée par une immunodéficience, des anomalies faciales et squelettiques, une déficience auditive et un déficit intellectuel.

LAMZEDE® a initialement bénéficié d'autorisations temporaires d'utilisation nominatives (ATUn) entre 2017 et 2018. Les continuités de traitement pour les patients ayant bénéficié de ces ATUn ont été assurées jusqu'au 1^{er} janvier 2020 par le dispositif post-ATU prévu à l'article L. 162-16-5-2 du code de la sécurité sociale dans sa version en vigueur avant le 1^{er} juillet 2021.

Depuis cette date et jusqu'au 31 décembre 2021, LAMZEDE® a fait l'objet d'une prise en charge dérogatoire et exceptionnelle effectuée sur la base d'une délégation de crédits selon les modalités décrites dans la NOTE D'INFORMATION N° DGOS/PF2/DSS/1C/2019/220, pour les patients ayant bénéficié d'une prise en charge au titre du dispositif post-ATU dans l'indication suivante : « *traitement enzymatique substitutif des manifestations non neurologiques chez les patients atteints d'alpha-mannosidose légère à modérée* ». Cette prise en charge exceptionnelle et dérogatoire a pris fin le 31 décembre 2021.

Lors de sa réévaluation, le 19 janvier 2022, par la commission de la transparence (CT) de la Haute Autorité de santé (HAS) dans l'indication « *traitement enzymatique substitutif des manifestations non neurologiques chez les patients atteints d'alpha-mannosidose légère à modérée* » la spécialité LAMZEDE® a obtenu un service médical rendu (SMR) important et une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV), permettant ainsi de réévaluer son éligibilité à une inscription sur la « liste en sus » au regard de l'ensemble des autres critères.

Le laboratoire CHIESI s'est engagé à mettre à disposition à titre gracieux la spécialité LAMZEDE®, à compter du 1^{er} janvier 2022, pour les patients concernés par les continuités de traitement initiés dans le cadre des ATU nominatives tel que rappelé ci-dessus et ce jusqu'à ce qu'une décision relative à l'inscription sur la liste mentionnée à l'article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale (dite liste en sus) soit publiée au Journal Officiel.

II- Modalités de facturation de la spécialité LAMZEDE® dans une indication précise et une population restreinte

II.1. Cadre de la prise en charge

Un accès à titre gracieux est mis en place jusqu'à la publication au Journal Officiel de l'inscription de la spécialité LAMZEDE® sur la « liste en sus », afin de garantir les continuités de traitement des patients éligibles dans l'indication suivante : « *traitement enzymatique substitutif des manifestations non neurologiques chez les patients atteints d'alpha-mannosidose légère à modérée* », et ayant bénéficié auparavant du dispositif de prise en charge dérogatoire et exceptionnelle de LAMZEDE® entre le 1^{er} janvier 2020 et le 31 décembre 2021.

Cette mise à disposition du traitement à titre gracieux ne s'applique pas aux traitements initiés chez de nouveaux patients.

Cette mise à disposition à titre gracieux débute pour les administrations de la spécialité effectuées à compter du 1^{er} janvier 2022 et se substitue à la prise en charge dérogatoire et exceptionnelle qui a pris fin le 31 décembre 2021. Cet accès à titre gracieux prendra fin à la publication au Journal Officiel de l'inscription de la spécialité LAMZEDE® sur la liste mentionnée à l'article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale dans l'indication susmentionnée.

II.2. Modalités pratiques

Cette mise à disposition à titre gracieux requiert une déclaration par les établissements de santé des unités communes de dispensation (UCD) consommées pour le traitement de l'alpha-mannosidose (**code indication CVELM01**) via le fichier FICHCOMP AP-AC pour les établissements de santé consommateurs.

Cette déclaration devra **être valorisée à 0 €** dans la mesure où le traitement est fourni à titre gracieux par le laboratoire.

Code UCD	Dénomination commune internationale	Libellé de la spécialité pharmaceutique	Laboratoire exploitant ou titulaire de l'autorisation d'importation
3400894373131	Velmanase alpha	LAMZEDE 10 mg, poudre pour solution pour perfusion	Chiesi Farmaceutici S.p.A

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 oeuvre de cette note d'information.

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

A stylized signature in black ink, slanted upwards to the right, reading "signé".

Katia JULIENNE

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

A stylized signature in black ink, slanted upwards to the right, reading "signé".

Franck VON LENNEP