Liberté • Égalité • Fraternité
RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

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

Direction de la sécurité sociale
Sous-direction du financement du système de soins
Bureau des produits de santé (1C)
Personne chargée du dossier :
Mégane Lesaignoux

Direction générale de l'offre de soins
Sous-direction du pilotage de la performance
des acteurs de l'offre de soins
Bureau qualité et sécurité des soins (PF2)
Personne chargée du dossier :
Isabelle Petit
Tél : 01 40 56 48 32
Mèl : isabelle.petit@sante.gouv.fr

Le 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

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 l'Union Nationale des Caisses d'Assurance Maladie (UNCAM)

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 INTERMINISTERIELLE n° DGOS/PF2/DSS/1C/2020/46 du 04 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 ».

Classement thématique : établissement de santé.

NOR : **SSAH2006647N**

Inscrite pour information à l'ordre du jour du CNP du 7 février 2020 – N ° 13.

Résumé : la présente note précise les conditions et les modalités de prise en charge de la spécialité LAMZEDE® dans le cadre de son AMM.
Mention Outre-mer : oui s'applique en l'état.
Mots-clés : médicaments, financement dérogatoire, LAMZEDE®, établissement de santé, pharmacie.
Texte de référence : article L. 5121-12 du code de la santé publique.
Texte abrogé : 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 ».
Diffusion : ARS, établissements de santé, OMEDITS, caisses d'assurance maladie.

I/ Contexte et objectif

LAMZEDE® (velmanase alpha) est un médicament orphelin qui dispose d'une autorisation de mise sur la marché (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.

Depuis 2017, LAMZEDE® est pris en charge dans le cadre d'autorisations temporaires d'utilisation nominatives (ATUn). Les continuités de traitement pour tous les patients ayant bénéficié d'ATUn ont été assurées par le dispositif post-ATU prévu à l'article L. 162-16-5-2 du code de la sécurité sociale.

La spécialité LAMZEDE® a été évaluée par la commission de la transparence (CT) de la Haute Autorité de santé (HAS) dans le « *traitement enzymatique substitutif des manifestations non neurologiques chez les patients atteints d'alpha-mannosidose légère à modérée* » qui a conclu dans son avis du 12 décembre 2018 à un service médical rendu (SMR) modéré et à une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV).

Pour des raisons de santé publique, un financement est mis en place à titre exceptionnel pour permettre la poursuite de traitement par LAMZEDE® chez les patients qui ont fait l'objet d'ATUn.

II/ Modalités d'accompagnement financier exceptionnel des établissements suite à la mise en place d'un financement temporaire de la spécialité LAMZEDE® dans une indication précise et une population restreinte

II.1. Cadre de la prise en charge

Une mesure d'accompagnement financier dérogatoire des établissements de santé est mise en place pour une période limitée à 2 ans afin de garantir les continuités de traitement par LAMZEDE® des patients dont le traitement, dans l'indication suivante : « *traitement enzymatique substitutif des manifestations non neurologiques chez les patients atteints d'alpha-mannosidose légère à modérée »,* a été initié ou poursuivi dans le cadre d'une prise en charge au titre du dispositif post ATU.

Cette prise en charge exceptionnelle ne s'applique pas aux traitements initiés chez de nouveaux patients.

La prise en charge dérogatoire débute pour les administrations de la spécialité effectuées à compter du 1er janvier 2020 et se substitue à la prise en charge dans le cadre du post-ATU pour les patients concernés. Cette prise en charge dérogatoire se termine le 31 décembre 2021.

Le financement de ces continuités de traitement s'effectuera sur la base du traitement *a posteriori* des données du PMSI, en chaînant les séjours des patients dans les conditions décrites dans le chapitre III du guide méthodologique de production des informations relatives à l'activité médicale et à sa facturation en MCO (consultable sur le site de l'ATIH). Au 1er janvier 2020, un patient sera considéré en continuité de traitement par LAMZEDE® velmanase alpha si, d'après les données du PMSI, il a reçu l'administration d'au moins une UCD avant le 31 décembre 2019 au titre du dispositif post ATU (L.162-16-5-2 CSS). Les établissements de santé déclareront les UCD consommées pour la continuité de traitement selon les modalités habituelles, via FICHCOMP ATU pour les établissements ex-DG.

Cette prise en charge exceptionnelle est effectuée sur la base d'une délégation de crédits maximale de 840 000 euros en 2020, reconduite en 2021, qui sera répartie entre les établissements au prorata de leur consommation réelle pour l'indication susmentionnée.

Le montant de l'enveloppe sera revu à la baisse en cas d'arrêt de traitement chez un ou plusieurs patients.

II.2. Modalités pratiques

Le financement dérogatoire 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 consommées pour le traitement de l'alpha-mannosidose (code indication CVELM01) via le fichier FICHCOMP ATU pour les établissements de santé consommateurs.

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

Le financement se fera dans la limite de la délégation maximale de crédits rappelés au II.1.

Pour l'année 2020, le financement prendra en charge les traitements administrés à compter du 1er janvier 2020, dans l'indication précitée sous la forme d'un versement dans le cadre de la deuxième circulaire de campagne budgétaire 2020 réparti au prorata de la consommation en UCD et d'un second versement de régulation dans la troisième circulaire budgétaire pour le reste des séjours de l'année 2020.

Pour l'année 2021, la délégation des crédits sera réalisée en deux versements, un premier dans le cadre de la première circulaire de campagne budgétaire 2021, permettant le cas échéant la régulation de séjours 2020 non comptabilisés en troisième circulaire 2020 et prenant en compte les premiers séjours de 2021 et un second versement de régulation dans le cadre de la première circulaire de campagne budgétaire 2022 permettant de cloturer l'ensemble des séjours de l'année 2021.

II.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 entrainant 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 oeuvre de cette note d'information.

Pour les ministres et par délégation

Signé

Mathilde Lignot Leloup
La directrice de la sécurité sociale

Pour le ministre et par délégation

Signé

Katia Julienne
La directrice générale de l'offre de soins