

PROTECTION SOCIALE

ASSURANCE MALADIE, MATERNITÉ, DÉCÈS

MINISTÈRE DU TRAVAIL,
DES RELATIONS SOCIALES, DE LA FAMILLE,
DE LA SOLIDARITÉ ET DE LA VILLE

MINISTÈRE DU BUDGET,
DES COMPTES PUBLICS,
DE LA FONCTION PUBLIQUE
ET DE LA RÉFORME DE L'ÉTAT

MINISTÈRE DE LA SANTÉ
ET DES SPORTS

*Direction de l'hospitalisation
et de l'organisation des soins*

Sous-direction de la qualité
et du fonctionnement des établissements de santé

Bureau qualité et sécurité
des soins en établissement de santé

Direction générale de la santé

Sous-direction politique
des pratiques et des produits de santé

Bureau du médicament

Direction de la sécurité sociale

Sous-direction
du financement du système de soins

Bureau des produits de santé

Circulaire DSS/1C/DGS/PP2/DHOS/E2 n° 2010-24 du 25 janvier 2010 relative à la validation des prescriptions initiales de médicaments désignés comme orphelins financés en sus des prestations d'hospitalisation

NOR : SASS1002339C

Date d'application : 1^{er} janvier 2010.

Résumé : la présente circulaire précise les conditions de mise en œuvre de la validation par les centres de référence ou de compétence de maladies rares des prescriptions initiales en établissement de santé de médicaments désignés comme orphelins au sens du règlement européen (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999, financés en sus des prestations d'hospitalisation. La prise en charge par l'assurance maladie de ces spécialités est subordonnée à cette validation.

Mots clés : régimes obligatoire d'assurance maladie – spécialités pharmaceutiques – produits et prestations – financement en sus des prestations d'hospitalisation – médicaments orphelins – centre de référence de maladie rare.

Références :

Article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale ;

Article 47-III de la loi n° 2008-1330 du 17 décembre 2008 de financement de la sécurité sociale pour 2009).

Annexes :

Annexe I. – Procédure de recueil de la validation de la prescription initiale et éléments de preuve de la validation de la prescription initiale.

Annexe II. – Liste des médicaments désignés comme orphelins financés en sus des prestations d'hospitalisation.

Annexe III. – Liste des centres de référence hors cancer pour les maladies rares et des centres de compétences, tableau de correspondance.

Annexe IV. – Fiche de liaison à renseigner par les établissements de santé.

La ministre de la santé et des sports à Mesdames et Messieurs les préfets de région (direction régionale des affaires sanitaires et sociales [pour information]) ; Mesdames et Messieurs les préfets de département (direction départementale des affaires sanitaires et sociales [pour information]) ; Mesdames et Messieurs les directeurs des agences régionales de l'hospitalisation [pour application et diffusion aux établissements] ; Mesdames et Messieurs les préfigureurs des agences régionales de santé (pour attribution) ; Mesdames et Messieurs les directeurs des établissements de santé (pour application immédiate) ; Monsieur le directeur général de la Caisse nationale de l'assurance maladie des travailleurs salariés (pour application) ; Monsieur le directeur général du régime social des indépendants (RSI) ; Monsieur le directeur général de la caisse centrale de la mutualité sociale agricole (CCMSA) ; Madame la directrice de l'agence technique de l'information sur l'hospitalisation.

1. Objectif de la mesure d'encadrement des prescriptions de médicaments orphelins

Afin d'améliorer et de sécuriser les conditions de prescription des médicaments de la liste en sus et de maîtriser l'évolution des dépenses de santé correspondantes, l'article 47 de la loi n° 2008-1330 du 17 décembre 2008 de financement de la sécurité sociale pour 2009 a prévu plusieurs dispositions fondées sur la recherche d'une qualité accrue des pratiques de soins.

La disposition prévue au III de cet article (1) a pour objet d'entourer les prescriptions des médicaments désignés comme orphelins au sens du règlement européen (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 inscrits sur la liste en sus de toutes les garanties médicales de bon usage.

2. Champ d'application et mise en œuvre

Cet encadrement des prescriptions initiales vise les médicaments, au sens du règlement (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999. Il ne concerne que les médicaments désignés comme orphelins (2) inscrits sur la liste des spécialités pharmaceutiques financées en sus des prestations d'hospitalisation.

Pour que ces médicaments soient pris en charge par l'assurance maladie en sus des prestations d'hospitalisations, leur prescription initiale par le médecin hospitalier doit désormais être validée par le centre de référence compétent pour la maladie rare concernée (ou bien par un des centres de compétence qui lui sont rattachés). En cas de non-respect de cette obligation, le coût du médicament ne peut en aucun cas être supporté par le patient.

Seuls les médicaments prescrits dans une pathologie rare pour laquelle il existe un centre de référence labellisé (ou un des centres de compétence désignés) font l'objet de cet encadrement spécifique. La liste des spécialités concernées, ainsi que les centres de référence (et les centres de compétences) associés figure en annexe. Elle sera mise à jour semestriellement par la DGS sur le site internet du ministère en charge de la santé (www.sante.gouv.fr)

La mesure ne vise pas les médicaments, inscrits sur la liste en sus, qui, bien qu'ayant été désignés comme orphelins, ne peuvent être à ce stade associés à un centre de référence ou un centre de compétence (exemple des médicaments orphelins utilisés en cancérologie).

Sont précisées en annexe de cette circulaire :

- les modalités de recueil par l'établissement de santé auprès du centre de référence ou de compétence de la validation de la prescription initiale du médicament orphelin ainsi que la formalisation de cette démarche ;
- les informations à fournir par l'établissement de santé à l'assurance maladie chargée de s'assurer, dans le processus de prise en charge financière, que la prescription initiale a fait l'objet d'une validation conforme à la loi.

(1) Inséré au dernier alinéa de l'article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale.

(2) Lien internet <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/register/orphreg.htm>.

3. Entrée en vigueur

La présente instruction s'applique aux prescriptions initiales de médicaments désignés comme orphelins effectuées à compter du 1^{er} janvier 2010. En attendant que les procédures de télé-transmission (fichcomp, adaptation de la norme B2) soient mises en place, les caisses d'assurance maladie peuvent effectuer des contrôles a posteriori sur pièces. Dès lors que ces contrôles mettent en évidence l'absence de validation de prescription initiale, la caisse d'assurance maladie sera fondée à mettre en œuvre la procédure de récupération d'indu sur la base de l'article L. 133-4 du code de la sécurité sociale.

Pour la ministre et par délégation :

*La directrice de l'hospitalisation
et de l'organisation des soins,*

A. PODEUR

Le directeur de la sécurité sociale,

D. LIBAULT

*La directrice générale
adjointe de la santé,*

S. DELAPORTE

ANNEXE I

I. – PROCÉDURE DE RECUEIL DE LA VALIDATION DE LA PRESCRIPTION INITIALE

1. Recueil par l'établissement de santé émetteur de la prescription d'une validation par le centre de référence ou de compétence

Il appartient au médecin de l'établissement de santé initiant auprès d'un patient hospitalisé un traitement comportant un médicament orphelin de consulter, selon la forme la mieux adaptée, le centre de référence concerné (ou le centre de compétence qui lui est rattaché) pour recueillir auprès de ce dernier, au travers d'une validation, la confirmation de la pertinence de la prescription initiale envisagée. Cette phase se traduit par l'établissement d'une fiche de liaison (voir annexe IV).

Il est rappelé que seule la prescription initiale doit faire l'objet d'une validation par un centre de référence (ou un centre de compétence qui lui est rattaché) pour une maladie rare : une fois cette prescription initiale validée, les prescriptions ultérieures prolongeant le traitement du patient ne sont plus concernées par cette procédure.

Cette procédure ne s'applique qu'aux seuls médicaments orphelins et aux indications thérapeutiques associées figurant dans le tableau de correspondance joint en annexe, qui sera complété semestriellement par la DGS et disponible sur www.sante-sports.gouv.fr.

2. Eléments de preuve de la validation de la prescription initiale

La preuve du recueil de la validation par l'établissement de santé est apportée au moyen des éléments précisés ci-dessous, selon que l'établissement de santé est ou non labellisé comme centre de référence ou de compétence pour une maladie rare.

a) L'établissement de santé est labellisé
en tant que centre de référence ou de compétence pour une maladie rare

Dans ce cas, l'ordonnance est un élément de preuve suffisant, sous réserve qu'elle fasse clairement apparaître la qualité de centre de référence ou de compétence. Il n'y a pas à remplir de fiche de liaison.

b) L'établissement de santé prescripteur n'est pas centre de référence ou de compétence

Dans ce cas, en complément de l'ordonnance, le prescripteur initial renseignera conjointement avec le centre de référence (ou le centre de compétence qui lui est rattaché) la fiche de liaison annexée, indiquant que la prescription initiale a été validée par un centre de référence ou de compétence qui lui est rattaché.

II – CIRCUITS D'INFORMATIONS ENTRE LES ÉTABLISSEMENTS DE SANTÉ PRESCRIPTEURS DE MÉDICAMENTS ORPHELINS INSCRITS SUR LA LISTE EN SUS ET L'ASSURANCE MALADIE/L'ARH-L'ARS

Les établissements de santé, à l'appui de la demande de prise en charge des médicaments, fournissent les éléments apportant la preuve à l'assurance maladie ou à l'ARH/ARS que la prescription initiale du médicament orphelin a été validée par un centre de référence ou de compétence qui lui est rattaché et qu'en conséquence la prise en charge est légitime. La communication de l'information aux caisses d'assurance maladie compétentes pour le traitement des données de facturation ou à l'ARH/ARS s'effectuera, à titre principal, au travers des circuits existants de facturation.

1. Etablissements privés (ex-OQN)

Les établissements doivent transmettre, lors de la prescription initiale, la fiche de liaison attestant de la validation de la prescription initiale du médicament orphelin aux caisses d'assurance maladie en même temps que le bordereau de facturation (modèle S 3404) et de l'ordonnance. Dans le cas où l'établissement est centre de référence (ou centre de compétence), l'ordonnance suffit (*cf. a et b* du point 2).

A terme, l'arrêté du 18 décembre 2008 (publié au *JO* du 24 décembre 2008) relatif aux informations devant figurer dans la facture des médicaments facturables en sus sera modifié pour intégrer l'obligation d'un code attestant de cette procédure de validation de la prescription initiale par un centre de référence ou de compétence. Le flux de facturation directe (norme B2) intégrera cette mention. La fiche de liaison précitée devra cependant toujours être transmise avec les autres pièces justificatives du paiement.

Les établissements sont invités à conserver un double de cette fiche de liaison en cas de demande ponctuelle ultérieure de l'assurance maladie.

2. Etablissements ex-DG

Ces établissements prescripteurs adresseront une information à l'ARH/ARS (dans le cadre des processus locaux de facturation) indiquant que le médicament orphelin prescrit et dont l'éta-

blissement demande la prise en charge par l'assurance maladie a fait l'objet d'une validation initiale par un centre de référence ou de compétence suivant le cas, conformément au a) et b) du 1 point 2 ci-dessus.

Le fichier Fichcomp sera modifié à cet effet par l'ATIH et sera mis à disposition des établissements de santé ex- DG début 2010. Ce fichier sera anonymisé lors de la transmission à l'ARH/ARS.

Ces établissements conservent avec les autres pièces justificatives du paiement (ordonnance, facture), les éléments de preuve attestant de la validation par le centre de référence ou de compétence : ces éléments de preuve sont ceux définis au 1 ci-dessus (fiche de liaison).

ANNEXE II

MÉDICAMENTS ORPHELINS : INSCRIPTION SUR LA LISTE EN SUS (OCTOBRE 2009)

LABORATOIRE pharmaceutique exploitant	MOLÉCULE	NOM COMMERCIAL DE LA SPÉCIALITÉ	CODE UCD
GENZYME SAS	laronidase	ALDURAZYME 100 U/ml, solution pour perfusion	9249907
GLAXOSMITHKLINE	nelerabine	ATRIANCE 5 mg/ml, solution pour perfusion	9304718
PIERRE FABRE MEDICAMENT	busulfan	BUSILVEX 6 mg/ml, solution à diluer pour perfusion intra-veineuse, boîte de 8 flacons de 10 ml	9319358
PIERRE FABRE MEDICAMENT	busulfan	BUSILVEX 6 mg/ml, solution à diluer pour perfusion, ampoule	9253381
ORPHAN EUROPE	acide carglumique	CARBAGLU 200 mg, comprimé dispersible	9234053
SHIRE HUMAN GENETIC THERAPIES	idursulfase	ELAPRASE 2 mg/ml, solution à diluer pour perfusion, flacon de 3 ml	9293593
GENZYME SAS	clofarabine	EVOLTRA 1 mg/ml, solution à diluer pour perfusion en flacon de 20 ml	9294954
GENZYME SAS	agalsidase beta	FABRAZYME 35 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion	9235058
LIPOMED GMBH	cladribine	LITAK 2 mg/ml, solution injectable en flacon de 5 ml	9271456
BIOMARIN EUROPE LTD	galsulfase	NAGLAZYME 1 mg/ml, solution à diluer pour perfusion, flacon de 5 ml	9287196
AXCAN PHARMA	porfimer sodium	PHOTOBARR 15 mg, poudre pour solution injectable	9261920
AXCAN PHARMA	porfimer sodium	PHOTOBARR 75 mg, poudre pour solution injectable	9261937
EISAI SAS	ziconotide	Prialt 100 µ g/ml, solution pour perfusion, flacon de 1 ml	9306870
EISAI SAS	ziconotide	Prialt 100 µ g/ml, solution pour perfusion, flacon de 2 ml	9317477
EISAI SAS	ziconotide	Prialt 100 µ g/ml, solution pour perfusion, flacon de 5 ml	9306887
TKT europe 5S	agalsidase alfa	REPLAGAL 1 mg/ml, solution à diluer pour perfusion en flacon de 1 ml	9269034
TKT europe 5S	agalsidase alfa	REPLAGAL 1 mg/ml, solution à diluer pour perfusion en flacon de 3,5 ml	9238861
CELGENE	lenalinomide	REVLIMID 10 mg, gélule	9298113
CELGENE	lenalinomide	REVLIMID 15 mg, gélule	9298136
CELGENE	lenalinomide	REVLIMID 25 mg, gélule	9298142
CELGENE	lenalinomide	REVLIMID 5 mg, gélule	9298159
NOVEX PHARMA	dexrazoxane	SAVENE 20 mg/ml, poudre pour solution à diluer et diluant pour solution pour perfusion	9291602
ALEXION PHARMA France	eculizumab	SOLIRIS, solution à diluer pour perfusion	9299207
WYETH PHARMACEUTICALS FRANCE	temsirolimus	TORISEL 25 mg/ml, solution à diluer et diluant pour solution pour perfusion	9304776

LABORATOIRE pharmaceutique exploitant	MOLÉCULE	NOM COMMERCIAL DE LA SPÉCIALITÉ	CODE UCD
CEPHALON FRANCE	arsenic trioxide	TRISENOX 1 mg/ml, solution à diluer pour perfusion en ampoule de 10 ml	9242911
BAYER SANTE	iloprost	VENTAVIS 10 microgrammes/ml, solution pour inhalation par nébuliseur, ampoule de 1 ml	9297467
BAYER SANTE	iloprost	VENTAVIS 10 microgrammes/ml, solution pour inhalation par nébuliseur, ampoule de 2 ml	9256965
CELGENE	azacitidine	VIDAZA 25 mg/ml, poudre pour suspension injectable, flacon de 100 mg	9274762
ACTELION	miglustat	ZAVESCA 100 mg, gélule	9246725

ANNEXE III

VALIDATION DE LA PREMIÈRE PRESCRIPTION DES MÉDICAMENTS DÉSIGNÉS COMME ORPHELINS
DISPOSANT D'UNE AUTORISATION DE MISE SUR LE MARCHÉ, INSCRITS SUR LA LISTE HORS TAA

Mise en œuvre du dernier alinéa de l'article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale

En application des dispositions du dernier alinéa de l'article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale, la prise en charge par l'assurance maladie de chacun des médicaments désignés comme orphelins listés ci-dessous disposant d'une AMM et inscrits sur la liste hors TAA est conditionnée à la validation de leur première prescription par un centre de référence (y compris les établissements identifiés comme multisites) ou un centre de référence, précisé au sein du tableau ci-dessous.

NOM du médicament	SUBSTANCE active	INDICATION	LABORATOIRE	CENTRES DE RÉFÉRENCE labellisés ou centres de compétences désignés	DATE AMM
ALDURAZYME	Laronidase	Traitement de la mucopolysaccharidose de type I	Genzyme	<p>Centre de référence des maladies lysosomales à expression neurologique, AP-HP, hôpital Beaujon, 100, boulevard du Général-Leclerc, 92118 Clichy Cedex. Médecin coordonnateur : Dr Nadia Belmatoug. Tél. : 01-40-87-52-86. Courriel : nadia.belmatoug@bjn.aphp.fr.</p> <p>Centre de référence des maladies héréditaires du métabolisme, AP-HP, hôpital Necker-Enfants malades, 149, rue de Sévres, 75743 Paris Cedex 15. Médecin coordonnateur : Pr Pascale Delonlay. Tél. : 01-44-49-48-52. Courriel : pascale.delonlay@nck.aphp.fr.</p> <p>Centre de référence des maladies héréditaires du métabolisme, AP-HP, hôpital Robert-Debré, 48, boulevard Sérurier, 75019 Paris. Médecin coordonnateur : Dr Hélène Ogier de Baulny. Tél. : 01-40-03-57-07. Courriel : helene.ogier@rdb.aphp.fr.</p> <p>Centre de référence des maladies héréditaires du métabolisme, CHU de Nancy, hôpital Brabois enfants, 5, allée du Morvan, 54511 Vandoeuvre-lès-Nancy. Médecin coordonnateur : Pr François Feillet. Tél. : 03-83-15-47-96. Courriel : f.feillet@chu-nancy.fr.</p> <p>Et ses 4 sites constitutifs :</p> <p>CHU de Dijon, hôpital des enfants, 10, boulevard du Maréchal-de-Lattre-de-Tassigny, 21034 Dijon Cedex. Médecin coordonnateur : Pr Frédéric Huet. Tél. : 03-80-29-53-13. Courriel : frederic.huet@chu-dijon.fr.</p> <p>CHU de Reims, rue du Général-Koenig, 51100 Reims. Médecin coordonnateur : Dr Nathalie Bednarek. Tél. : 03-26-78-36-02. Courriel : nbednarek@chu.reims.fr.</p> <p>CHU de Besançon, hôpital Saint-Jacques, 2, place Saint-Jacques, 25030 Besançon Cedex. Médecin coordonnateur : Pr Alain Menget. Tél. : 03-81-21-81-63. Courriel : rea.infantile@chu-besancon.fr.</p> <p>CHU de Strasbourg, 1, place de l'Hôpital, 67091 Strasbourg Cedex. Médecin coordonnateur : Dr Didier Eyer. Courriel : didier.eyer@chru.strasbourg.fr.</p> <p>Centre de référence des maladies héréditaires du métabolisme, CHRU de Lille, hôpital Jeanne-de-Flandre, clinique pédiatrie, avenue Eugène-Avinée, 59037 Lille Cedex. Médecin coordonnateur : Dr Dries Dobbelaere. Tél. : 03-20-44-41-49. Courriel : d-dobbelaere@chru-lille.fr.</p>	10/06/2003

NOM du médicament	SUBSTANCE active	INDICATION	LABORATOIRE	CENTRES DE RÉFÉRENCE labellisés ou centres de compétences désignés	DATE AMM
				<p>Centre de référence des maladies héréditaires du métabolisme, AP-HM, hôpital des enfants de la Timone, 264, rue Saint-Pierre, 13385 Marseille Cedex 5. Médecin coordonnateur : Pr Brigitte Chabrol. Tél. : 04-91-38-48-00. Courriel : bchabrol@mail.ap-hm.fr.</p> <p>Centre de référence des maladies héréditaires du métabolisme, hôpital Femme Mère Enfant, département de pédiatrie, unité des maladies métaboliques, 59, boulevard Pinel, 69677 Bron Cedex. Médecin coordonnateur : Dr N. Guffon. Tél. : 04-72-12-95-37. Courriel : nathalie.guffon@chu-lyon.fr.</p> <p>Centres de compétences : CHU de Toulouse, hôpital des Enfants, 330, avenue de Grande-Bretagne, TSA 70034, 31059 Toulouse Cedex 9. Personne responsable : Dr Pierre Broue. Tél. : 05-34-55-85-66. Courriel : broue.p@chu-toulouse.fr.</p> <p>CHRU de Tours, 2, boulevard Tonnellé, 37044 Tours Cedex 9. Personne responsable : Pr François Labarthe. Tél. : 02-47-47-38-18. Courriel : labarthe@med.univ-tours.fr.</p> <p>CHU Brest, hôpital Morvan, 2, avenue Foch, 29609 Brest Cedex. Personne responsable : Pr Loïc de Parscau. Tél. : 02-98-22-36-66. Courriel : loic.deparscau@chu-brest.fr.</p>	
CARBAGLU	Carglumic acid	Traitement de l'hyperammoniémie secondaire au déficit en N-acétylglytamate synthase	Orphan Europe	Mêmes centres qu'Aldurazyme à l'exception du centre de référence de l'hôpital Beaujon à Clichy (médecin coordonnateur : Dr Nadia Belmatoug).	24/01/2003
ELAPRASE	Idursulfase	Traitement de la mucopolysaccharidose de type II (syndrome de Hunter)	TKT Europe	Mêmes centres qu'Aldurazyme.	8/01/2007
FABRAZYME	Recombinant humain alpha-galactosidase A	Traitement de la maladie de Fabry	Genzyme	<p>Même centres qu'Aldurazyme et centre de référence de la maladie de Fabry et des maladies héréditaires du tissu conjonctif à expression cutané-articulaire, hôpital Raymond-Poincaré, unité fonctionnelle de génétique médicale, 104, boulevard Raymond-Poincaré, 92980 Garches. Médecin coordonnateur : Dr Dominique-Paul Germain. Tél. : 01-47-10-77-52. Courriel : dominique.germain@rpc.aphp.fr.</p> <p>Et ses deux sites constitutifs : CHU de Clermont-Ferrand, hôpital Gabriel-Montpied, 30, place Henri-Dunant, 63000 Clermont-Ferrand. Médecin coordonnateur : Pr Pierre Clavelou. Tél. : 04-73-75-22-00. Courriel : pclavelou@chu-clermontferrand.fr.</p> <p>CH Toulon, hôpital Font-Pré, 1208, avenue du Colonel-Picot, 83000 Toulon. Médecin coordonnateur : Patrick Collignon. Tél. : 04-94-61-61-92. Courriel : patrick.collignon@ch-toulon.fr.</p>	3/08/2001
NAGLAZYME	N-acetylgalactosamine 4 sulfatase	Traitement de la mucopolysaccharidose de type VI (syndrome de Maroteaux-Lamy)	Biomarin	Mêmes centres qu'Aldurazyme.	24/01/2006

NOM du médicament	SUBSTANCE active	INDICATION	LABORATOIRE	CENTRES DE RÉFÉRENCE labellisés ou centres de compétences désignés	DATE AMM
REPLAGAL	Agalsidase alpha	Traitement de la maladie de Fabry	TKT Europe	Même centres qu'Aldurazyme et centre de référence de la maladie de Fabry et des maladies héréditaires du tissu conjonctif à expression cutané-articulaire, hôpital Raymond-Poincaré, unité fonctionnelle de génétique médicale, 104, boulevard Raymond-Poincaré, 92980 Garches. Médecin coordonnateur : Dr Dominique-Paul Germain. Tél. : 01-47-10-77-52. Courriel : dominique.germain@rpc.aphp.fr. Et ses deux sites constitutifs : CHU de Clermont-Ferrand, hôpital Gabriel-Montpied, 30, place Henri-Dunant, 63000 Clermont-Ferrand. Médecin coordonnateur : Pr Pierre Clavelou. Tél. : 04-73-75-22-00. Courriel : pclavelou@chu-clermontferrand.fr. CH Toulon, hôpital Font-Pré, 1208, avenue du Colonel-Picot, 83000 Toulon. Médecin coordonnateur : Patrick Collignon. Tél. : 04-94-61-61-92. Courriel : patrick.collignon@ch-toulon.fr.	8/02/2001
SOLIRIS	Eculizumab	Traitement des patients atteints d'hémogloburie paroxystique nocturne (HPN). Les preuves du bénéfice clinique de Soliris dans le traitement des patients atteints d'HPN sont limitées aux patients ayant un antécédent de transfusions	Alexion Europe	Centre de référence des aplasies médullaires rares AP-HP hôpital Saint-Louis, service d'hématologie et des greffes de moelle osseuse 1, avenue Claude-Vellefaux, 75475 Paris Cedex 10. Médecin coordonnateur : Pr Gérard Socié. Tél. : 01-42-44-91-40. Courriel : Gerard.socie@paris7.jussieu.fr.	
VENTAVIS	Iloprost	Traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire primitive dans le but d'améliorer la tolérance à l'effort et les symptômes chez les patients en classe fonctionnelle III	Schering	Centre de référence de l'hypertension pulmonaire sévère AP-HP, hôpital Antoine-Béclère, service de pneumologie, 157, rue de la Porte-de-Trivaux, 92141 Clamart Cedex. Médecin coordonnateur : Pr Gérald Simonneau. Tél. : 01-41-07-95-95. Courriel : gerald.simonneau@abc.aphp.fr. Centres de compétences : Alsace : Hôpitaux universitaires de Strasbourg, 1, place de l'Hôpital, 67091 Strasbourg Cedex. Personne responsable : Dr Matthieu Canuet. Tél. : 03-69-55-04-45 ou 46. Courriel : matthieu.canuet@chru-strasbourg.fr. Aquitaine : CHU Bordeaux, service de chirurgie thoracique, hôpital du Haut-Lévêque, avenue de Magellan, 33604 Pessac Cedex. Personne responsable : Dr Claire Dromer. Tél. : 05-57-65-60-09. Courriel : claire.dromer@chu-bordeaux.fr. Auvergne : Hôpital Gabriel-Montpied, CHU Clermont-Ferrand, 58, rue Montalembert, BP 69, 63003 Clermont-Ferrand Cedex 1. Personne responsable : Dr Claire Dauphin. Tél. : 04-73-75-14-12. Courriel : cdauphin@chu-clermontferrand.fr. Bourgogne : CHU de Dijon, 2, boulevard du Maréchal-de-Lattre-de-Tassigny, 21079 Dijon. Personne responsable : Dr Claudio Rabec. Tél. : 03-80-29-32-48. Courriel : claudio.rabec@chu-dijon.fr.	

NOM du médicament	SUBSTANCE active	INDICATION	LABORATOIRE	CENTRES DE RÉFÉRENCE labellisés ou centres de compétences désignés	DATE AMM
				<p>Bretagne :</p> <p>CHU de Brest, hôpital de la Cavale Blanche, boulevard Tanguy-Prigent, 29609 Brest Cedex. Personne responsable : Dr Irène Frachon. Tél. : 02-98-34-73-50. Courriel : irene.frachon@chu-brest.fr.</p> <p>CHU Rennes, hôpital Pontchaillou, 2, rue Henri-Le-Guilloux, 35033 Rennes Cedex 3. Personne responsable : Dr Céline Chabanne. Tél. : 02-99-28-24-73. Courriel : celine.chabanne@chu-rennes.fr.</p> <p>Centre :</p> <p>CHRU de Tours, 2, boulevard Tonnellé, 37044 Tours Cedex 9. Personne responsable : Pr Patrice Diot. Tél. : 02-47-47-37-87. Courriel : diot@med.univ-tours.fr.</p> <p>Champagne-Ardenne :</p> <p>CHU de Reims, hôpital Robert-Debré, avenue du Général-Koenig, 51092 Reims Cedex. Personne responsable : Pr Roland Joussaud. Tél. : 03-26-78-71-92. Courriel : rjaussaud@chu-reims.fr.</p> <p>Languedoc-Roussillon :</p> <p>CHU de Montpellier, hôpital Arnaud-de-Villeneuve, 371, avenue du Doyen-Gaston-Giraud, 34295 Montpellier Cedex 5. Personne responsable : Dr Arnaud Bourdin. Tél. : 04-67-33-60-91. Courriel : a-bourdin@chu-montpellier.fr.</p> <p>Limousin :</p> <p>CHU de Limoges, site Dupuytren, 2, avenue Martin-Luther-King, 87042 Limoges Cedex 1. Personne responsable : Pr François Vincent. Tél. : 05-55-05-86-08. Courriel : francois.vincent@chu-limoges.fr.</p> <p>Lorraine :</p> <p>Hôpitaux de Brabois, service des maladies respiratoires et réanimation respiratoire, rue du Morvan, 54511 Vandœuvre-lès-Nancy Cedex. Personne responsable : Pr François Chabot. Tél. : 03-83-15-40-21. Courriel : f.chabot@chu-nancy.fr.</p> <p>Midi-Pyrénées :</p> <p>CHU de Toulouse, hôpital Larrey, 24, chemin de Pouvoirville, TSA 30030, 31059 Toulouse Cedex 9. Personne responsable : Dr Bruno Degano. Tél. : 05-67-77-17-09. Courriel : degano.b@chu-toulouse.fr.</p> <p>Nord - Pas-de-Calais :</p> <p>CHRU de Lille, hôpital cardiologique, boulevard du Professeur-Jules-Leclercq, 59037 Lille Cedex. Personne responsable : Dr Pascal de Groote. Tél. : 03-20-44-50-45. Courriel : pdegroote@chru-lille.fr.</p> <p>Basse-Normandie :</p> <p>CHU de Caen, avenue de la Côte de Nacre, 14033 Caen Cedex. Personne responsable : Dr Emmanuel Bergot. Tél. : 02-31-06-46-77. Courriel : bergot-b@chu-caen.fr.</p>	

NOM du médicament	SUBSTANCE active	INDICATION	LABORATOIRE	CENTRES DE RÉFÉRENCE labellisés ou centres de compétences désignés	DATE AMM
				<p>Haute-Normandie : CHU de Rouen, 1, rue de Germont, 76000 Rouen. Personne responsable : Dr Fabrice Bauer. Tél. : 02-32-88-82-32. Courriel : fabrice.bauer@chu-rouen.fr.</p> <p>Pays de la Loire : CHU de Nantes, hôpital Nord Laennec, route de Saint-Herblain, 44100 Nantes. Personne responsable : Dr Alain Haloun. Tél. : 02-40-16-52-35. Courriel : alain.haloun@chu-nantes.fr.</p> <p>Poitou-Charentes : CHU de Poitiers, 2, rue de la Milétrie, BP 577, 86021 Poitiers Cedex. Personne responsable : Pr Roblot et Dr Michèle Adoun. Tél. : 05-49-44-44-22, fax : 05-49-44-43-83. Courriel : p.roblot@chu-poitiers.fr, m.adoun@chu-poitiers.fr.</p> <p>Provence-Alpes-Côte d'Azur : CHU de Nice, hôpital Pasteur, 30, avenue de la Voie-Romaine, BP 1069, 06002 Nice Cedex 1. Personne responsable : Dr Lemoigne. Tél. : 04-92-03-88-95/67. Courriel : lemoigne.f@chu-nice.fr.</p> <p>AP-HM Sainte-Marguerite, 270, boulevard Sainte-Marguerite, 13009 Marseille. Personne responsable : Pr Martine Reynaud-Gaubert. Tél. : 04-91-74-46-19. Courriel : martine.reynaud@ap-hm.fr.</p> <p>Rhône-Alpes : CHU Lyon et Grenoble, groupement hospitalier Est, hôpital Louis-Pradel, 1, place de l'Hôpital, 69288 Lyon Cedex 02. Personne responsable : Pr Jean-François Cordier. Tél. : 04-72-35-72-69. Courriel : jean-francois.cordier@chu-lyon.fr.</p> <p>Martinique : PZQ, BP 632, 97261 Fort-de-France. Personne responsable : Dr Jocelyn Inamo. Tél. : 05-96-55-21-71. Courriel : Jocelyn.inamo@chu-fortdefrance.fr.</p> <p>La Réunion : CHR, site du GHSR, BP 350, 97448 Saint-Pierre Cedex. Personne responsable : Dr Patrice Poubeau. Tél. : 02-62-35-91-75. Courriel : patrice.poubeau@chr-reunion.fr.</p> <p>Centre de référence des malformations cardiaques complexes, AP-HP, hôpital Necker-Enfants malades, service de cardiologie pédiatrique, 149, rue de Sèvres, 75743 Paris Cedex 15. Médecin coordonnateur : Pr Damien Bonnet. Tél. : 01-41-07-95-95. Courriel : damien.bonnet@nck.aphp.fr.</p> <p>Et ses deux sites constitutifs : AP-HP, hôpital Robert-Debré, 48, boulevard Sérurier, 75019 Paris. Médecin coordonnateur : Dr Jean-Marc Lupoglazof. Tél. : 01-40-03-22-34. Courriel : jean-marc.lupoglazof@rdb.aphp.fr.</p> <p>Centre chirurgical Marie-Lannelongue, 133, avenue de la Résistance, 92350 Le Plessis-Robinson. Médecin coordonnateur : Pr Alain Serraf. Tél. : 01-40-94-85-11. Courriel : aserraf@ccml.com.</p>	

NOM du médicament	SUBSTANCE active	INDICATION	LABORATOIRE	CENTRES DE RÉFÉRENCE labellisés ou centres de compétences désignés	DATE AMM
				<p>Centres de compétences :</p> <p>Alsace : Hôpital civil, CHU, 1, place de l'Hôpital, 67091 Strasbourg. Personne responsable : Pr Bernard Eisenmann. Tél. : 03-88-11-62-43. Courriel : bernard.eisenmann@chru-strasbourg.fr.</p> <p>Aquitaine : CHU Bordeaux, service des pathologies congénitales de l'adulte et de l'enfant, hôpital cardiologique du Haut-Lévêque, avenue de Magellan, 33604 Pessac Cedex. Personne responsable : Pr Jean-Benoit Thambo. Tél. : 05-57-65-64-65. Courriel : jean-benoit.thambo@chu-bordeaux.fr.</p> <p>Auvergne : Hôpital Gabriel-Montpied, CHU Clermont-Ferrand, 58, rue Montalembert, BP 69, 63003 Clermont-Ferrand Cedex 1. Personne responsable : Pr Jean-René Lusson. Tél. : 04-73-75-14-10. Courriel : jrlusson@chu-clermontferrand.fr.</p> <p>Bourgogne : CHU de Dijon (hôpital d'enfants) 10, boulevard du Maréchal-de-Lattre-de-Tassigny, 21079 Dijon Cedex. Personne responsable : Dr Caroline Bonet. Tél. : 03-80-29-34-14. Courriel : caroline.bonnet@chu-dijon.fr.</p> <p>Bretagne : CHU Rennes, hôpital Pontchaillou, 2, rue Henri-Le-Guilloux, 35033 Rennes Cedex 3. Personne responsable : Dr Jean-Marc Schleich. Tél. : 02-99-28-25-17. Courriel : jean-marc.schleich@chu-rennes.fr.</p> <p>Centre : CHRU de Tours, 2, boulevard Tonnellé, 37044 Tours Cedex 9. Personne responsable : Pr Alain Chantepie. Tél. : 02-47-47-47-55. Courriel : chantepie@med.univ-tours.fr.</p> <p>Champagne-Ardenne : CHU de Reims, American Memorial Hospital, 49, rue Cognacq-Jay, 51092 Reims Cedex. Personne responsable : Pr Patrice Morville. Tél. : 03-26-78-77-54. Courriel : pmorville@chu-reims.fr.</p> <p>Languedoc-Roussillon : CHU de Montpellier, hôpital Arnaud-de-Villeneuve, 371, avenue du Doyen-Gaston-Giraud, 34295 Montpellier Cedex 5. Personne responsable : Pr Michel Voisin. Tél. : 04-67-33-66-43. Courriel : m-voisin@chu-montpellier.fr.</p> <p>Lorraine : Hôpitaux de Brabois, unité de chirurgie cardiaque pédiatrique, département de chirurgie cardio-vasculaire et transplantations, rue du Morvan, 54511 Vandœuvre-lès-Nancy. Personne responsable : Pr Loïc Mace. Tél. : 03-83-15-49-55. Courriel : l.mace@chu-nancy.fr.</p> <p>Midi-Pyrénées : CHU de Toulouse, hôpital des Enfants, 330, avenue de Grande-Bretagne, TSA 70034, 31059 Toulouse Cedex 9. Personne responsable : Pr Yves Dulac. Tél. : 05-34-55-85-96. Courriel : dulac.y@chu-toulouse.fr.</p>	

NOM du médicament	SUBSTANCE active	INDICATION	LABORATOIRE	CENTRES DE RÉFÉRENCE labellisés ou centres de compétences désignés	DATE AMM
				<p>Nord - Pas-de-Calais : Hôpital cardiologique, boulevard du Professeur-Jules-Leclercq, 59037 Lille Cedex. Personne responsable : Pr Christian Rey. Tél. : 03-20-44-50-62. Courriel : crey@chru-lille.fr.</p> <p>Basse-Normandie : CHU de Caen, avenue de la Côte de Nacre, 14033 Caen Cedex. Personne responsable : Pr Pascale Maragne. Tél. : 02-31-06-63-43. Courriel : maragnes-p@chu-caen.fr.</p> <p>Haute-Normandie : CHU de Rouen, 1, rue de Germont, 76000 Rouen. Personne responsable : Dr Isabelle Durand. Tél. : 02-32-88-87-55. Courriel : isabelle.durand@chu-rouenfr.</p> <p>Pays de la Loire : CHU de Nantes, hôpital mère-enfant, clinique médicale pédiatrique, 7, quai Moncoussu, 44093 Nantes Cedex 1. Personne responsable : Dr Véronique Gournay. Tél. : 02-40-08-35-64. Courriel : veronique.gournay@chu-nantes.fr.</p> <p>Picardie : CHU d'Amiens, place Victor-Pauchet, 80054 Amiens Cedex 1. Personne responsable : Dr Amel Mathiron. Tél. : 03-22-66-83-95. Courriel : mathiron.amel@chu-amien.fr.</p> <p>Poitou-Charentes : CHU de Poitiers, 2, rue de la Milétrie, BP 577, 86021 Poitiers Cedex. Personne responsable : Pr Pascal Roblot et Dr Michèle Adoun. Tél. : 05-49-44-44-22, fax : 05-49-44-43-83. Courriel : p.roblobt@chu-poitiers.fr ; m.adoun@chu-poitiers.fr.</p> <p>Provence-Alpes-Côte d'Azur : CHU de Nice, hôpital Pasteur, 30, avenue de la Voie-Romaine, BP 1069, 06002 Nice Cedex 1. Personne responsable : Dr Franck Lemoigne. Tél. : 04-92-03-88-95/67. Courriel : lemoigne.f@chu-nice.fr.</p> <p>AP-HM Sainte-Marguerite, 270, boulevard Sainte-Marguerite, 13009 Marseille. Personne responsable : Pr Martine Reynaud-Gaubert. Tél. : 04-91-74-46-19. Courriel : martine.reynaud@ap-hm.fr. Hôpital de la Timone, 264, rue Saint-Pierre, 13385 Marseille Cedex 05. Personne responsable : Pr Alain Fraisse. Tél. : 04-91-38-67-50. Courriel : alain.fraisse@ao-hm.fr.</p> <p>Rhône-Alpes : Hôpital Louis-Pradel, 28, avenue du Doyen-Lépine, 69677 Lyon-Bron Cedex. Personne responsable : Pr Sylvie di Filippo. Tél. : 04-72-35-78-71. Courriel : sylvie.di-philippe@chu-lyon.fr.</p> <p>CHU de Grenoble, BP 217, 38043 Grenoble Cedex 09. Personne responsable : Dr Gérard Blaysat. Tél. : 04-76-76-94-95. Courriel : gblaysat@chu-grenoble.fr.</p>	

NOM du médicament	SUBSTANCE active	INDICATION	LABORATOIRE	CENTRES DE RÉFÉRENCE labellisés ou centres de compétences désignés	DATE AMM
				<p>Martinique : PZQ, BP 632, 97261 Fort-de-France. Personne responsable : Dr H. Lucron. Tél. : 05-96-55-21-41. Courriel : Hugues.lucron@chu-fordefrance.fr.</p> <p>La Réunion : CHR, site CH Félix-Guyon, Bellepierre, 97405 Saint-Denis Cedex. Personne responsable : Dr Tania Attali. Tél. : 02-62-90-58-34. Courriel : tania.attali@chr-reunion.fr.</p>	
ZAVESCA	Miglustat	Traitement de la maladie de Gaucher	Oxford Glyco Sciences	Mêmes centres qu'Aldurazyme.	20/11/2002

ANNEXE IV

FICHE DE LIAISON ATTESTANT DE LA VALIDATION DE LA PRESCRIPTION INITIALE
D'UN MÉDICAMENT ORPHELIN PAR UN CENTRE DE RÉFÉRENCE OU DE COMPÉTENCE

(6^e alinéa de l'article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale)

**Partie à remplir par le prescripteur
(établissement émetteur de la prescription)**

1. Situation du patient :

Nom et prénom :

Date de naissance :

Date de l'admission dans l'établissement de santé :

NIR du patient (ou, si le patient n'est pas assuré social, NIR de l'assuré social dont le patient est
ayant droit) :

2. Élément concernant le traitement :

Médicament orphelin envisagé (nom de spécialité) :

3. Identification de l'établissement de santé dans lequel s'effectue la prescription initiale :

Identification de l'établissement :

Numéro FINESS de l'établissement (juridique) :

Nom du médecin prescripteur :

Numéro de téléphone et adresse mail du médecin prescripteur :

.....

Date :

Cachet de l'établissement

Signature du médecin prescripteur

**Partie à remplir par le centre de compétence ou de référence
(établissement validant la prescription)**

1. Identification du centre de référence/compétence (rayer la mention inutile) :

Identification du centre :

S'il s'agit d'un centre de compétence, veuillez indiquer ci-dessous le centre de référence auquel il
est rattaché :

Nom du médecin en charge de la validation :

2. Validation :

Validation du traitement par ce médicament orphelin : Oui Non

Date de la décision :

Date :

Cachet de l'établissement

Signature du médecin en charge de la validation