

15eme Journée Nationale de la Filière de Santé MCGRE

(Maladies Constitutionnelles Rares du Globule Rouge et de l'Erythropoïèse)

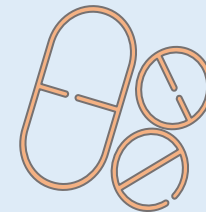
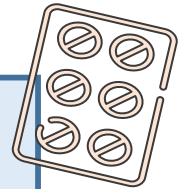


Observatoire des traitements (1/4)

→ Suite à la demande de la DGOS, la filière MCGRE a mis en place un observatoire des traitements.

L'observatoire des traitements a pour **missions** :

- Identifier des **usages de médicaments hors AMM** dans les maladies rares du globe rouge et les **nouvelles molécules d'intérêt en développement**
- **Faciliter l'accès au traitement des patients** en créant des cadres réglementaires en lien avec les tutelles et les laboratoires :
 - accès compassionnel
 - accès précoce
 - repositionnement
- Repérer des situations où les données sont insuffisantes afin de mettre en place des recueils de données complémentaires (possibilité d'utiliser le futur SDM-Traitement de BaMaRa) ou de promouvoir des essais cliniques



Observatoire des traitements (2/4)

- Avec le concours de quelques centres de référence, la filière a établi la liste des principales DCI/médicaments utilisés, notamment hors AMM (coordination : M. de Montalembert).
- MCGRE fait partie des filières qui ont fait développer une base 16com pour le recensement des prescriptions.
- Cette base 16com est destinée à collecter des informations complémentaires : **modalités des différentes « prescriptions »** et, pour chaque centre de la filière, **effectifs de patients concernés par le recours à ces prescriptions.**

Observatoire des traitements (3/4)

- Exemples de données à renseigner dans la [base16com](https://base16.com) :

Maladie	Produit	Situation	Référencement
Référencement			
Population concernée *	Enfants x ▼		
Voie d'administration pour cette prescription *	Voie orale x ▼		
Dose *		Unité de dose *	
Fréquence de prise *		Unité de fréquence *	
Durée de traitement *		Unité de durée *	
Nature du traitement *			
Si symptomatique, signes cliniques traités			
Intention clinique hors AMM *			
Existence d'alternative ayant l'AMM dans l'indication considérée			
Référencement			
Centre de Référence Maladies Rares *			
Nom du contributeur	Marwa KHOMSI		
Première année de prescription au sein du centre			
Nombre de patients sous traitement hors AMM dans la situation clinique *			
Préciser le nombre de patients sous traitement hors AMM dans la situation clinique			
Suivi de cohorte ou registre en cours *			
Commentaires			
<button>Ajouter un référencement</button>			



Les champs avec des astérisques doivent impérativement être renseignés.

Observatoire des traitements (4/4)

1

D'abord, pour étoffer les données des traitements hors AMM (nom commercial précis/dosage, voie d'administration, posologie...) pour chaque maladie ou groupe de maladies concerné(e)

→ *Besoin de quelques pédiatres et médecins d'adultes pour préciser ces « prescriptions » dans la base 16com*



2

Ensuite, quand les caractéristiques de toutes ces « prescriptions » auront été renseignées dans la base, pour renseigner quelles prescriptions **votre centre** fait, depuis quand et pour combien de patients



Nous faisons donc **appel à vous**



Si vous avez des questions, n'hésitez pas à nous contacter par mail sur l'adresse suivante :



contact@filiere-mcgre.fr

Merci pour votre attention

