



**MINISTÈRE
DES SOLIDARITÉS
ET DE LA SANTÉ**

*Liberté
Égalité
Fraternité*

Direction générale de l'offre de soins

Sous-direction pilotage de la performance
des acteurs de l'offre de soins
Bureau qualité et sécurité des soins (PF2)
Personne chargée du dossier :
Agnès LAFOREST-BRUNEAUX
agnes.laforest-bruneaux@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 LESAIGNOUX
megane.lesaignoux@sante.gouv.fr

Le ministre des solidarités et de la santé

à

Mesdames et Messieurs les directeurs généraux des
agences régionales de santé

Copie à :

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

Mesdames et Messieurs les coordinateurs des
observatoires des médicaments, des dispositifs
médicaux et de l'innovation thérapeutique (OMEDIT)

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 N° DGOS/PF2/DSS/1C/2021/21 du 18 janvier 2021 relative à la reconduction d'un financement dérogatoire à titre exceptionnel et temporaire pour la spécialité pharmaceutique QARZIBA® (dinutuximab beta) dans le traitement du neuroblastome de haut risque et récidivant réfractaire.

Date d'application : immédiate

NOR : SSAH2101930N

Classement thématique : pharmacie humaine

Inscrite pour information à l'ordre du jour du CNP du 22 janvier 2021 - N° 7

<p>Résumé : cette note d'information précise les modalités de prise en charge dérogatoire, mise en place à titre exceptionnel et temporaire jusqu'au 31 décembre 2021, pour la spécialité QARZIBA® (dinutuximab beta), qui n'a pas fait l'objet d'une inscription sur la liste en sus.</p> <p>Cette prise en charge concerne le « traitement des patients âgés de 12 mois et plus atteints d'un neuroblastome à haut risque, qui ont précédemment reçu un chimiothérapie d'induction et ont présenté une réponse partielle, suivie d'un traitement myéloablatif et d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques, ainsi que chez les patients ayant un neuroblastome récidivant ou réfractaire, avec ou sans maladie résiduelle.</p> <p>Avant d'initier le traitement d'un neuroblastome récidivant, il convient de stabiliser toute maladie progressant de manière active par d'autres traitements adéquats ».</p>
<p>Mention Outre-mer : ces dispositions s'appliquent aux Outre-mer, à l'exception de la Polynésie française, de la Nouvelle Calédonie, et de Wallis et Futuna.</p>
<p>Mots-clés : médicament ; financement dérogatoire ; QARZIBA® (dinutuximab beta) ; neuroblastome.</p>
<p>Textes de référence :</p> <ul style="list-style-type: none"> - Article L.162-22-7 du code de la sécurité sociale ; - Note d'information N° DGOS/PF2/DSS/1C/2018/216 du 18 septembre 2018 relative à la mise en place d'un financement dérogatoire à titre exceptionnel et temporaire pour la spécialité pharmaceutique QARZIBA® (dinutuximab beta) dans le traitement du neuroblastome de haut risque.
<p>Circulaire / instruction abrogée : néant.</p>
<p>Notes modifiées :</p> <ul style="list-style-type: none"> - Note d'information N° DGOS/PF2/DSS/1C/2019/178 du 22 juillet 2019 relative à la mise en place d'un financement dérogatoire à titre exceptionnel et temporaire pour la spécialité pharmaceutique QARZIBA® (dinutuximab beta) dans le traitement du neuroblastome de haut risque et récidivant réfractaire ; - Note d'information N° DGOS/PF2/DSS/1C/2020/142 du 18 août 2020 relative à l'élargissement du financement dérogatoire à titre exceptionnel et temporaire pour la spécialité pharmaceutique QARZIBA® (dinutuximab beta) dans le traitement du neuroblastome récidivant ou réfractaire.
<p>Annexe : liste des établissements de santé concernés.</p>
<p>Diffusion : ARS, établissements de santé.</p>

1. Contexte

La spécialité pharmaceutique **QARZIBA®** (Dinutuximab Bêta) des laboratoires EUSA Pharma, médicament désigné comme orphelin, bénéficie d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) dans les indications suivantes :

*« Le traitement des patients âgés de 12 mois et plus atteints d'un **neuroblastome à haut risque**, qui ont précédemment reçu une chimiothérapie d'induction et ont présenté au moins une réponse partielle, suivie d'un traitement myéloablatif et d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques, ainsi que chez les patients ayant un **neuroblastome récidivant ou réfractaire, avec ou sans maladie résiduelle**.*

Avant d'initier le traitement d'un neuroblastome récidivant, il convient de stabiliser toute maladie progressant de manière active par d'autres traitements adéquats chez les patients présentant des antécédents de maladie récidivante ou réfractaire et chez les patients n'ayant pas présenté une réponse complète après un traitement de première ligne ; DINUTUXIMAB BETA EUSA doit être associé à l'interleukine 2 (IL-2) ».

Dans son avis en date du 22 novembre 2017, la commission de la transparence (CT) de la Haute Autorité de la santé (HAS) a reconnu à la spécialité **QARZIBA®** en association à l'isotrétinoïne sans IL-2, un service médical rendu (SMR) important dans l'indication de l'AMM, une amélioration du service médical rendu mineure (ASMR IV) dans la prise en charge de la phase d'entretien du neuroblastome à haut risque et une absence d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la prise en charge du neuroblastome récidivant ou réfractaire. La CT a également souligné que la spécialité n'est pas susceptible d'avoir un intérêt de santé publique et qu'il n'existe pas de comparateur médicamenteux cliniquement pertinent disposant d'une AMM.

En application des critères fixés par le décret n° 2016-349 du 24 mars 2016 relatif à la procédure et aux conditions d'inscription des spécialités pharmaceutiques sur la liste mentionnée à l'article L-162-22-7 du code de la sécurité sociale, cette spécialité n'a pas été inscrite sur la liste en sus dans ses indications.

Dans ce contexte, pour des raisons de santé publique, le financement est prolongé à titre exceptionnel jusqu'au 31 décembre 2021.

2. Modalités d'accompagnement financier exceptionnel des établissements suite à la mise en place d'un financement exceptionnel complémentaire et temporaire de la spécialité QARZIBA® (dinutuximab beta)

La mesure d'accompagnement financier exceptionnel des établissements de santé est reconduite pour une période limitée afin de permettre la prise en charge de la spécialité **QARZIBA®** (dinutuximab beta) du laboratoire EUSA Pharma dans les indications de l'AMM. Elle est prolongée jusqu'au 31 décembre 2021 pour les codes indications suivants :

CDINU01	Traitement des patients âgés de 12 mois et plus atteints d'un neuroblastome de haut risque, qui ont précédemment reçu une chimiothérapie d'induction et ont présenté au moins une réponse partielle, suivie d'un traitement myéloablatif et d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques, avec ou sans maladie résiduelle.
CDINU02	Traitement des patients âgés de 12 mois et plus atteints d'un neuroblastome récidivant ou réfractaire, avec ou sans maladie résiduelle. Avant d'initier le traitement d'un neuroblastome récidivant, il convient de stabiliser toute maladie progressant de manière active par d'autres mesures adéquates. Chez les patients présentant des antécédents de maladie récidivante ou réfractaire et chez les patients n'ayant pas présenté une réponse complète après un traitement de première ligne; Qarziba® doit être associé à l'interleukine 2 (IL-2).

Elle est réservée aux seuls centres d'oncologie pédiatrique des établissements de santé dont la liste est annexée à la présente note.

Cette prise en charge exceptionnelle est effectuée sur la base d'une délégation de crédits **maximale de 5 millions d'euros pour l'année 2021**, qui sera répartie entre les établissements au prorata de leur consommation réelle et du nombre de patients traités pour les indications susmentionnées. **Au-delà de cette enveloppe, le laboratoire s'est engagé à délivrer à titre gratuit aux établissements de santé toute consommation supplémentaire.**

2.1. Modalités pratiques

Le financement complémentaire 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 unités communes de dispensation (UCD) consommées pour le traitement du neuroblastome de haut risque, récidivant ou réfractaire 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
3400894395423	Dinutuximab bêta	QARZIBA 4,5MG/ML PERF FL	EUSA PHARMA

Le financement se fera dans la limite de la délégation maximale de crédits rappelés au 2.

Pour l'année 2021, la délégation des crédits sera réalisée en deux versements, un premier dans le cadre de la troisième circulaire de campagne budgétaire 2021 et un second de régulation dans le cadre de la première circulaire de campagne budgétaire 2022.

2.2. Modalités de contrôle

Il sera procédé *ex post* au traitement des données du PMSI. Ce traitement pourra, le cas échéant, conduire à des contrôles entraînant 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 œuvre de cette note d'information.

Pour le ministre et par délégation :
Le directeur de la sécurité sociale,



Franck VON LENNEP

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



Katia JULIENNE

Annexe

Liste des établissements de santé concernés

- Institut Gustave Roussy (Villejuif)
- CHU Amiens
- CHU Angers
- CHU Besançon
- CHU Bordeaux
- CHU Brest
- CHU Caen
- CHU Clermont-Ferrand
- CHU Dijon
- CHU Grenoble
- Centre Oscar Lambret (Lille)
- Centre Léon Bérard (Lyon)
- CHU Limoges
- CHU La Timone (Marseille)
- Hôpital Arnaud de Villeneuve (Montpellier)
- CHU Nantes
- CHU Nancy
- Hôpital de l'Archet (Nice)
- APHP Trousseau (Paris)
- Institut Curie (Paris)
- CHU Poitiers
- CHU Reims
- CHU Rennes
- CHU Rouen
- CHU St-Etienne
- CHU Haute Pierre (Strasbourg)
- CHU Toulouse
- CHU Clocheville de Tours
- CHU de La Réunion