



N°08/2024

Date : 17/07/2024

## **Maladies rares – Procédure pour demande de prise en charge dérogatoire de médicaments prescrits hors AMM ou ITR, de produits ou prestations hors périmètre remboursable (uniquement pour les assurés du régime général).**

Madame, Monsieur,

Le site d'information Orphanet permet aux patients et aux professionnels de s'informer sur les maladies rares et les médicaments orphelins

### Contexte

Pour rappel, pour les médicaments, l'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) est le référentiel de prescription pour le médecin mais il arrive parfois que la prescription hors AMM fasse partie des recommandations et protocoles nationaux de soins plus particulièrement pour les maladies rares. Cela n'est pas suffisant pour donner droit à la prise en charge par l'Assurance Maladie du médicament.

En l'absence d'AMM dans l'indication concernée, le prescripteur doit informer le patient de l'absence d'alternatives thérapeutiques, des bénéfices attendus et des risques ou contraintes du médicament mais aussi de la non prise en charge par l'Assurance Maladie.

L'ordonnance doit d'ailleurs comporter la mention spécifique « **prescription hors autorisation de mise sur le marché** ». Pour les produits et prestations, la LPP définit les conditions de prise en charge, le prescripteur est tenu de noter le caractère « non remboursable » lorsqu'il prescrit en dehors de ces conditions.

En concertation avec les centres de référence, certains médicaments ont obtenu des autorisations d'accès compassionnels ou précoces pour traiter ces maladies. Dans ce cas, la prise en charge est effective, mais cela concerne souvent des médicaments à délivrance par les pharmacies des établissements de santé.

### Circuit des demandes

Une procédure nationale a été mise en place afin de traiter les demandes pour des médicaments ou des produits non concernés par une prise en charge pour une maladie rare. Cette procédure ne concerne donc pas les médicaments bénéficiant des autorisations d'accès compassionnels ou précoces.

Principaux points d'attention de la procédure :

- La maladie doit être recensée sur le site Orphanet.
- Une demande doit être adressée par le médecin du patient au service du contrôle médical de la CPAM d'affiliation. En cas d'urgence, cette notion devra être précisée par le médecin. Cette demande doit comporter un argumentaire médical motivant la prescription accompagné d'un historique médical et



de comptes rendus médicaux récents. Si prescription sur avis d'un centre de référence, celui-ci devra être obligatoirement joint.

- Le dossier complet est transmis au niveau national.
- A réception de l'avis, le service médical adresse celui-ci au prescripteur qui sera chargé d'en informer le patient et informe la CPAM de l'avis.
- En cas d'avis favorable, la CPAM prendra contact avec l'assuré afin de se faire communiquer le nom de la pharmacie qui assurera les délivrances. Lorsque l'information sera connue, la CPAM prendra contact avec la pharmacie pour l'informer de la procédure de facturation.

### **Modalités de liquidation**

La pharmacie envoie à la CPAM :

- Une facture (papier) non acquittée, pour règlement ;
- La prescription médicale, sujet de l'accord.

Après vérification de la cohérence entre la prescription et la facture, la CPAM procède au règlement :

- Code PDP (prise en charge dérogatoire pharmacie) pour la pharmacie
- Code PCD (prise en charge dérogatoire) pour la LPP

Les codes prestations, non conventionnels, sont saisis par le technicien de la Caisse. Ils ne peuvent pas être transmis par feuilles de soins électroniques (via la norme B2 ou via SESAM VITALE).

Cette procédure concerne les prescriptions en initiation de traitement et les renouvellements à l'échéance de l'avis favorable.

Bien Cordialement,

La Responsable du Département Santé

Virginie PASQUIER



**l'Assurance  
Maladie**

Agir ensemble, protéger chacun

Territoire-  
de-Belfort