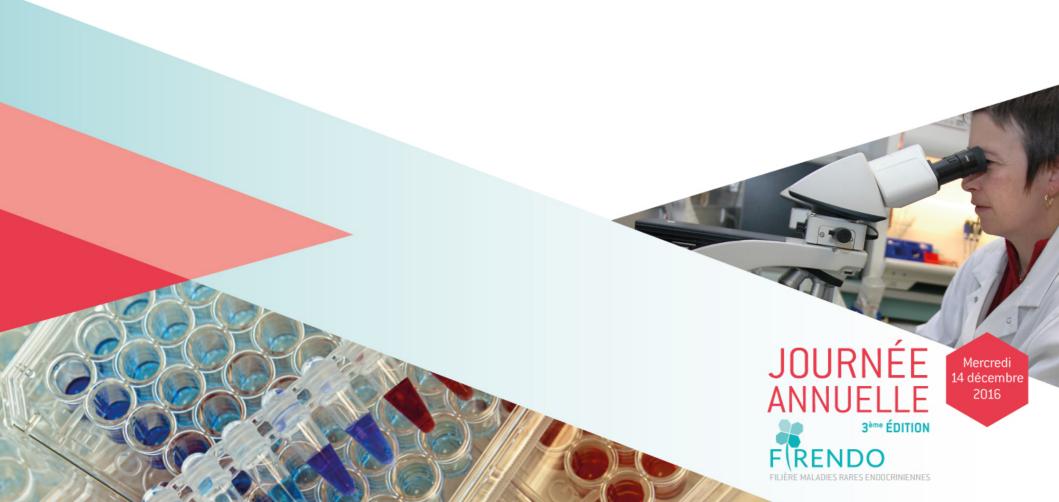
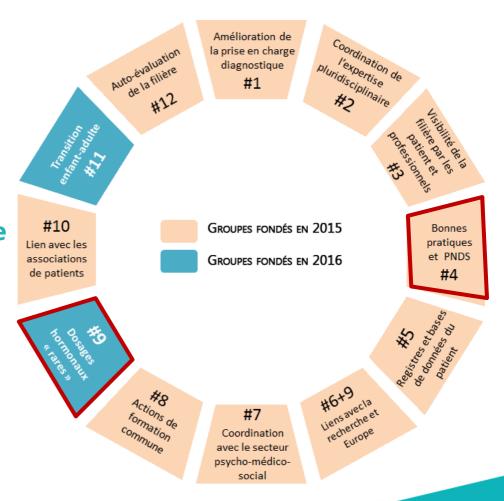


GROUPE DE TRAVAIL 4: BONNES PRATIQUES ET RECOMMANDATIONS



Groupe de travail # 4

- 3 missions principales :
 - **Use Médicaments hors AMM**
 - Adulte : Marie-Christine Vantyghem
 - Enfant : Hélène Bony Trifunovic
 - Les dosages rares en hormonologie
 - Marie Piketty
 - **Eles PNDS**
 - Pierre Mouriquand





LES MEDICAMENTS HORS AMM PEDIATRIE

Dr Hélène Bony-Trifunovic Nouveau CHU Amiens



En Pratique :15ans

MEZE..... né le 09/06/2001

ANDROTARDYL . Testostérone (DCI) énanthate

Solution injectable IM à 250 mg/1 ml (huileuse) : Ampoule de 1 ml, boîte unitaire.

Injecter un cinquième d'ampoule (1/5) soit 50 mg en IM toutes les 3 semaines

QSP 6 mois Docteur ENDOCRINO PEDIATRE N° RPPS



sauf que dans le Vidal

« Populations particulières : Enfant et adolescent :

Androtardyl n'est pas indiqué chez l'enfant ni l'adolescent (cf Mises en garde et Précautions d'emploi). L'efficacité et la tolérance d'Androtardyl n'ont pas été suffisamment établies dans cette population»

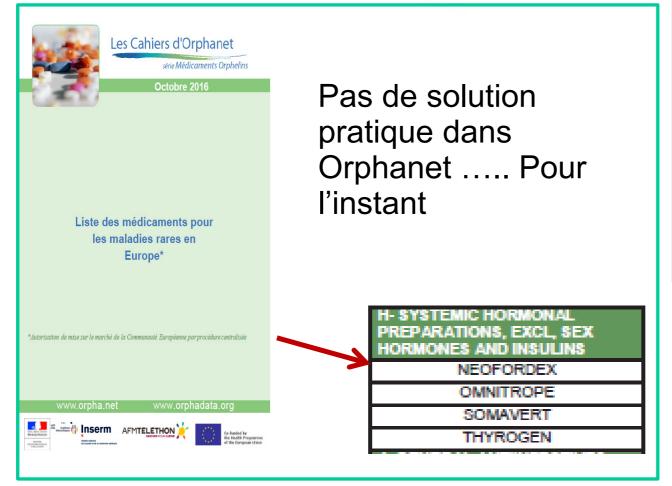
●Nb revu par ANSM 9/7/2015



- La Majorité ont l'AMM chez les adultesmais pas en pédiatrie car
 - 1) trop peu de patients pour justifier des études coûteuses aux firmes pharmaceutiques
 - 2) surtout si il s'agit de maladies rares
- D'autres ont l'AMM en pédiatrie (analogue du Gn-RH, GH) mais pas dans certaines indications ...(HCS, Silver Russel, pseudohypopara ..)
- La Situation est si fréquente que la plupart des Pédiatres ne note jamais » Hors AMM « sur l'ordonnance sous peine de mettre les parents et le pharmacien en grande difficulté.



Mais **Plan Maladies rares** 2005-2016→ **Améliorer** l'accès au diagnostic et à **la prise en charge** des personnes atteintes de maladies rares: quelles solutions ?



Voir avec

Référent pédiatrie pour RTU et ATU en pédiatrie ... (3ans)

voir le site



Nom de la spécialité	Indication clinique
pharmaceutique NDO - 14 D	DECEMBRE 2016
Inhibiteurs aromatase Femara (Letrozole) Arimidex (Anastrozole)	Puberté précoce périphérique et syndrome d'excès d'aromatase
Beta bloquants (pas AMM pédiatrie)	Dilatation aorte dans le syndrome Turner
Beta bloquants (pas AMM pédiatrie)	maladie de Basedow avec hyperthyroïdie sévère
HCG, FSH et LH recombinantes	a) Reproduire le pic de gonadotrophines postnatales dans l'hypogonadisme chez garçon b) Développement pubertaire c) Stimulation de la spermatogénèse et de la maturation folliculaire dans les hypogonadismes chez adulte
Gonadoreline (Lutrelef® 3,2 mg)	hypogonadisme hypogonadotrope masculin
androstanolone (Andractim)	Nouveau né et enfant atteint de déficit en 5 alfa-réductase
testostérone enanthate (Androtardyl)	a) Nouveau né et enfant avec micropénis b) Sujet adolescent hypogonadisme
Androgel, Testogel ; Androderm, Testoderm	Induction pubertaire et traitement substitutif de l'hypogonadisme chez l'adolescent et chez l'homme adulte dans le syndrome de Prader-Willi
analogues du GnRH (Decapeptyl, Enantone)	Pubertés avancées en cas d' hyperplasie Congénitales des Surrénales
analogues du GnRH (Decapeptyl, Enantone)	Pubertés avancées en cas de syndrome de Silver Russell
analogues du GnRH (Decapeptyl, Enantone)	Pubertés avancées en cas de pseudohypoparathyroidie
hormone de croissance	Optimisation de la taille finale dans l'hyperplasie congénitale des surrénales
hormone de croissance	optimisation de la composition corporelle après la fin de la croissance dans le syndrome de Prader-Willi
hormone de croissance	Effet anabolique, métabolique, oréxigène et optimisation de la taille finale dans le syndrome de Silver Russell
hormone de croissance	Optimisation de la taille finale dans le rachitisme hypophosphatemique, la pseudohypoparathyroidie 1a
Cyproheptadine (periactine)	antihistaminique utilisé pour ses propriétés oréxigènes dans le syndrome de Silver Russell

Un tableau de **50** médicaments pour les CRMR en endocrinologie pédiatrique

- ◆ fait en mars 2013 par la SFEDP et en cours d'actualisation (periactine, TRIAC, sulfamides hypoglycémiants...) avec
- Posologie
- utilisation ponctuelle ou continue ,
- nombre de patient
- Et la bibliographie validant leur utilisation
- En pratique pour les prescripteurs: importance que ces médicaments apparaissent dans la liste des médicaments hors AMM des CRMR dans le nouvel appel d'offre ainsi que les médicaments orphelins, ce qui permet aux centres de compétences CCMR de pouvoir les prescrire en lien avec leur CRMR réfèrent.
- Mise à disposition de ce tableau mis à jour par la filière FIRENDO