

A propos de l'hormone de croissance ....

Nous avons sollicité en mai dernier de nombreuses familles pour répondre à une enquête sur l'hormone de croissance (hGH). Vous avez été plus de cent à y répondre et nous vous en remercions. Cette enquête s'inscrit dans des discussions avec la Haute Autorité de Santé (HAS) et la Commission de Transparence (CT). Vous trouverez ci-après un résumé de ces échanges et un point sur ce dossier.

La Haute Autorité de Santé, dans le cadre de la réévaluation périodique des services rendus par les médicaments, a lancé il y a deux ans une étude portant sur l'hormone de croissance chez les enfants non déficitaires en hGH. L'association Prader-Willi France a participé en mai 2010 au groupe de relecture du rapport de la HAS « l'hormone de croissance chez les enfants non déficitaires ». Nous avons fait remarquer à l'époque que ce rapport s'attachait principalement aux effets de l'hGH sur la croissance, ce qui se concevait pour les autres maladies concernées, mais cet aspect est loin d'être essentiel dans le cas du SPW.

En décembre 2010, l'AFSSAPS (Agence Française de Sécurité Sanitaire des Produits de Santé), dans un communiqué rapportant les premiers résultats d'une étude (SAGhE) réalisée en France sur de jeunes adultes ayant commencé un traitement par hormone de croissance recombinante entre 1985 et 1996, a pu inquiéter inutilement certaines familles. Les analyses concernaient des enfants traités pour un déficit en hormone de croissance isolé, en l'absence d'autre maladie des glandes endocrines ou de tumeur, et des patients traités uniquement pour leur petite taille, soit près de 7000 des patients. Cette enquête ne concernait pas les patients qui présentent un syndrome de Prader-Willi. Nous avons mis en ligne sur le site une lettre du Centre de Référence précisant sa position sur ce thème, lettre que beaucoup de familles concernées ont reçue. Il est clair que la publication était liée à l'affaire du Médiateur et donc plus politique que scientifique.

Le 18 janvier 2011, la Commission de Transparence de la HAS convoque les associations concernées et écoute leurs remarques. N'ayant pas accès au rapport final, PWF a repris les remarques précédentes.

Début mai 2011, nous avons été informés d'un projet d'avis de la Commission de Transparence concluant à un service médical rendu insuffisant pour le traitement par hormone de croissance des enfants atteints du syndrome de Prader-Willi et ne présentant pas de déficit lors des tests habituellement pratiqués. Cet avis conduirait à un déremboursement de ce traitement. L'association Prader-Willi France a envoyé un courrier à la HAS et à la CT, demandant à être reçue, courriers sans réponse. Ce courrier incluait une synthèse d'une analyse bibliographique comportant des références récentes de publications internationales insistant toutes sur les bénéfices du traitement par hGH. PWF s'est associée aux associations concernées (Grandir, Agat, Sylvér-Russel) dans un courrier commun à la HAS et au Ministère de la Santé. Nous

avons également lancé l'enquête auprès des familles. Les professionnels ont réagi de leur côté par l'intermédiaire de la Société Française d'Endocrinologie.

Rappelons que l'hGH est prescrite en France pour les enfants porteurs d'un SPW (qu'ils soient déficitaires ou non) depuis 2001, et ce dès les premières années de vie. Ce traitement était prescrit depuis beaucoup plus longtemps dans d'autres pays de l'Europe du Nord. Des experts du Centre de Référence pour le SPW et de nombreuses familles, insistent tous, aujourd'hui, sur les effets bénéfiques de ce traitement. L'enquête que nous avons réalisée va totalement dans ce sens. Un gain de taille peut être généralement retenu, mais c'est surtout sur la composition corporelle que l'effet s'est révélé d'un intérêt très important, effet souligné par tous. Des effets positifs sont aussi signalés sur l'hypotonie musculaire, l'insertion sociale et probablement sur les troubles cognitifs, donc globalement sur la qualité de vie.

Mi-juin, nous avons eu confirmation de l'avis (non rendu public) de la Commission de Transparence concluant à un service médical rendu insuffisant pour toutes les pathologies concernées, dont le SPW.

Nous avons alors envoyé d'autres courriers au Ministère de la Santé et demandé de nouveau à être reçus par la HAS.

La HAS nous a invité à participer à une réunion le 19 juillet et nous a fait parvenir, le 13 juillet la version finale du rapport. Celui-ci reprenait quelques unes de nos remarques mais ne répondait pas aux critiques que nous avons formulées et il concluait à un service médical rendu insuffisant pour toutes les pathologies concernées.

Nous avons préparé cette réunion, sans avoir reçu aucune information sur les participants, la durée de la réunion et l'ordre du jour, avec O. Mariotte (NILE) et M. Tauber.

Étaient finalement invités les président(e)s des associations de malades concernées (PWF, AFFIF SSR/PAG, Grandir, Turner) et des professionnels de santé, pédiatres endocrinologues dont Maithé Tauber, J.C. Carrel (responsable de l'étude SAHgE), P. Chatelain (Lyon). Participaient également des membres de la HAS. La réunion était présidée par J. L. Harousseau, président de la HAS, animée par G. Bouvenot, président de la Commission de Transparence, et regroupait une trentaine de personnes.

J. L. Harousseau a présenté l'objectif de cette réunion comme une volonté d'associer les représentants des malades et professionnels de santé à la politique de santé. Il a précisé qu'il s'agissait d'un processus qui n'aboutirait à une décision qu'en décembre et que la HAS tenait à prendre en compte toutes les remarques et critiques. Visiblement les actions menées par les associations et les professionnels ont fait bouger la HAS, ce type de réunion et de processus ne semblant pas habituel.

La HAS a tout d'abord précisé la méthodologie et le déroulement de son étude, que je ne reprendrai pas ici. Elle a ensuite donné la parole aux participants.

Les associations ont fortement critiqué le rapport, chacune en ce qui concernait ses spécificités. Elles ont toutes souligné que le malade en était le grand absent.

Nous avons présenté un document commun avec Maithé Tauber. J'ai tout d'abord rappelé les critiques formulées dans les différents courriers. J'ai réactualisé ces critiques dans un dossier que je leur ai envoyé, avec le document présenté et une synthèse de l'enquête.

M. Tauber a repris ses principales critiques portant sur la méthodologie, la non prise en compte de recherches et de données disponibles. Nous avons proposé une étude complémentaire commune avec le CR.

Tous les professionnels ont critiqué de façon en général assez dure, le rapport de la HAS et ses conclusions. L'utilisation des travaux menés dans le cadre de l'étude SAGhE a été jugée abusive, prématurée et non pertinente.

Le président de la HAS a conclu cette réunion de façon très positive, en demandant aux participants de synthétiser et de regrouper leurs commentaires, critiques et suggestions. L'idée d'études complémentaires n'a pas été écartée.

La logique voudrait que le rapport soit fortement modifié et que l'avis de la commission de transparence (Service Médical Rendu insuffisant pour les trois indications étudiées) soit revu.

**Il est totalement anormal que des médecins arrêtent ou ne commencent pas les traitements en attendant une décision éventuelle du Ministère de la Santé. N'hésitez pas à nous le faire savoir et à contacter le Centre de Référence.**

PWF doit rester mobilisée sur ce dossier et nous vous tiendrons informés de son évolution.

F. Besnier