



ASSOCIATION DE PATIENTS
DÉFICITS IMMUNITAIRES PRIMITIFS

POUR UN ACCÈS CONTINU ET PÉRENNE AUX IMMUNOGLOBULINES POUR LES PATIENTS ATTEINTS DE DÉFICIT IMMUNITAIRE PRIMITIF

ÉTAT DES LIEUX ET RECOMMANDATIONS



iris SOUTIENT les
DIP c'est
DANS SES GÈNES

SYNTHÈSE DU DOCUMENT	3
État des lieux et plateforme de recommandations	4
<ul style="list-style-type: none"> • Les déficits immunitaires primitifs : des maladies génétiques rares et chroniques du système immunitaire nécessitant un traitement à vie. 4 • Les immunoglobulines : un médicament vital pour la majorité des dip. 4 • Les Ig sont des médicaments biologiques dérivés du plasma humain. 5 • Les Ig peuvent être administrées par voie intraveineuse ou par voie sous-cutanée. 5 	
Quels enjeux pour les médicaments dérivés du plasma ?	6
<ul style="list-style-type: none"> • Les Ig connaissent une demande soutenue, ... et une tension mondiale. 6 • Le besoin en plasma de fractionnement croît en proportion du besoin d'Ig . 6 • La plasmaphérèse, un moyen clé de développement des volumes de plasma nécessaires au fractionnement. 6 • La filière française est performante, mais ne peut à elle seule couvrir les besoins en Ig nationaux. 7 • Cette filière doit s'adapter à la nouvelle donne générée par les besoins en plasma et en médicaments dérivés du plasma. 7 • Contribuer nationalement à la souveraineté européenne en plasma. 7 • Les pouvoirs publics tentent de pallier les crises. 7 	
Patients et médecins témoins	9
<ul style="list-style-type: none"> • Initier le traitement risque de prendre du temps en raison des tensions d'approvisionnement 9 • Traitement différé, puis pause estivale dans le traitement 9 • Changement d'immunoglobulines en raison du changement de marche hospitalier 9 • Des changements de traitement rendus nécessaires sans justification médicale 9 • Les besoins comme les priorités doivent être évalués au regard de la situation clinique de ces patients. 9 • Mettre à plat toutes les difficultés afin de se préparer au défi des 10 prochaines années. 10 • Quelles mesures concrètes pour sécuriser et pérenniser l'accès aux immunoglobulines ? 10 	
L'association IRIS	11
<ul style="list-style-type: none"> • Nos missions : accompagner, soutenir, représenter. 11 • Nous contacter. 11 	
NOS RECOMMANDATIONS	12
Références	13



Les déficits immunitaires primitifs (DIP) sont un groupe de plus de **430^A maladies génétiques rares et chroniques où tout ou partie du système immunitaire dysfonctionne**, exposant les patients à des infections graves et récurrentes. Une majorité de ces patients, 4 000 patients, enfants et adultes en France (CEREDIH, 12/10/2021), reçoivent à vie un traitement substitutif **en immunoglobulines (Ig)**, un médicament dérivé du plasma, qui pallie leur déficit en anticorps. Il n'existe aucun autre traitement pour ces patients. **Les tensions sur les Ig, récurrentes depuis plusieurs années, mettent leur santé en grand danger.**

Pour ces raisons, il est urgent de garantir un accès pérenne et continu aux Ig.

L'association IRIS qui représente ces patients au plan national, a développé les recommandations ci-dessous, afin que chaque patient actuel ou nouvellement diagnostiqué soit assuré d'avoir son traitement vital, à vie.



1 - Sécuriser durablement l'initiation et la continuité du traitement substitutif en Ig pour tous les patients sans alternative thérapeutique, selon leurs besoins personnalisés, sans restriction de dose, d'espacement des cures, ni d'interruption liée à des tensions d'approvisionnement.



2 - Garantir à chaque patient la possibilité de conserver le traitement qui lui correspond le mieux, les Ig ne sont pas interchangeables.



3 - Développer les pratiques d'usage des Ig dans le respect des RCP afin de sécuriser leur utilisation à l'intention des patients avec un besoin avéré.



4 - Assurer la présence d'une pluralité d'acteurs proposant des Ig afin de disposer d'un panel de préparations permettant aux médecins et aux patients de choisir celle qui est la mieux tolérée, la voie la mieux adaptée et de faire face à la défaillance toujours possible d'un des acteurs.



5 - Réorganiser durablement la filière afin de contribuer à la souveraineté européenne en matière de collecte de plasma, en accroissant la contribution de la France, nécessaire à la sécurisation de l'approvisionnement en Ig



EN BREF...

- Une majorité de patients atteints de DIP nécessitent un traitement substitutif par Ig à vie pour prévenir les infections.
- Les patients atteints de DIP nécessitent un traitement substitutif par Ig à vie pour prévenir les infections.
- Les Ig sont des médicaments biologiques, dérivés du plasma humain.
- Il n'existe pas de médicament alternatif aux Ig.
- Chaque patient nécessite une approche personnalisée : type d'Ig, dose.
- Toutes les préparations ne conviennent pas à tous les patients : les Ig ne sont pas des médicaments génériques.
- Une approche personnalisée de ce traitement (Ig tolérée, dosage, voie et lieu d'administration) est un facteur clé de santé et de qualité de vie.
- Les Ig sont inscrits dans la liste des médicaments essentiels par l'OMS pour les adultes et les enfants atteints de DIP.

Les déficits immunitaires primitifs : des maladies génétiques rares et chroniques du système immunitaire nécessitant un traitement à vie.

Les déficits immunitaires primitifs (DIP) sont un groupe de plus de 430^B maladies génétiques rares où tout ou partie du système immunitaire dysfonctionne. Les DIP se manifestent par des infections répétées ou sévères. Certains DIP sont graves et peuvent s'exprimer dès les premiers jours ou mois de vie, mettant en jeu le pronostic vital du patient. D'autres apparaissent plus tardivement et s'expriment au cours de l'enfance ou de l'adolescence, voire à l'âge adulte. Les signes de la maladie peuvent parfois être banals, (otites, infections pulmonaires ou intestinales répétées), d'où un risque d'errance médicale, notamment chez les adultes. Sans diagnostic précoce et traitement approprié, ces patients risquent des séquelles irréversibles sur certains organes tels que les poumons, les sinus, le cerveau, les oreilles ... et une altération significative de leur qualité de vie. A contrario, un diagnostic précoce et un traitement approprié permet de vivre une vie quasi normale.

Les immunoglobulines : un médicament vital pour la majorité des DIP

Les patients atteints de DIP reçoivent des traitements qui préviennent les infections (prophylaxies). Les traitements les plus fréquents sont les anti-infectieux et la substitution en immunoglobulines (Ig). En France 4 000 patients, enfants et adultes, atteints de DIP reçoivent un traitement substitutif en Ig (CEREDIH, 12/10/2021).

Le but de la substitution en Ig est d'apporter aux patients les immunoglobulines (anticorps) qu'ils ne fabriquent pas^C ou peu. Compte tenu de la durée de vie limitée de ces anticorps (autour de 25 j.), ce traitement est chronique. Du fait de la chronicité de la maladie elle-même, ces patients sont substitués à vie.

L'Organisation Mondiale de la Santé (OMS) a placé les immunoglobulines sur sa liste^P des médicaments essentiels dans le traitement des DIP pédiatriques et adultes.

> La santé des patients atteints de DIP repose sur un accès régulier et pérenne à ces médicaments.

Pascale, 57 ans, atteinte d'une hypogammaglobulinémie, diagnostiquée à 27 ans.

«

Après des années d'infections conduisant à une séquelle irréversible sur mes poumons, d'aller-retours à l'hôpital ... Un médecin a réussi à mettre un nom sur la maladie dont je souffrais, un déficit immunitaire primitif. Grâce à cela, j'ai bénéficié d'un traitement par immunoglobulines qui compense les anticorps que je ne fabrique quasiment pas. Ce traitement a changé ma vie et celle de ma famille. C'est un traitement à vie et aujourd'hui, je tremble à l'idée qu'il ne soit pas disponible...

»

Les Ig sont des médicaments biologiques dérivés du plasma humain

Les Ig sont des médicaments biologiques, élaborés à partir du plasma humain extrait du sang total ou prélevé par aphérèse. Le temps nécessaire pour élaborer les Ig à partir du moment où le sang ou le plasma ont été collectés varie de 6 à 10 mois. Leur élaboration consiste en plusieurs étapes, à partir de pools de plasma de milliers de donneurs : fractionnement des protéines plasmatiques, purification et élimination/inactivation des agents infectieux connus. Ces médicaments répondent à un cahier des charges très strict, notamment en matière de sécurité virale, contrôlé par l'ANSM et par l'Agence européenne du médicament (EMA). Les Ig diffèrent selon les procédés de fabrication des laboratoires qui les élaborent, ainsi que par leur concentration, les adjuvants utilisés, ou les voies d'administration proposées. De ce fait, les Ig ne sont pas des médicaments génériques et l'on observe des différences de tolérance d'un patient à un autre. Les différentes préparations ne sont pas interchangeables et un patient doit pouvoir bénéficier du type de préparation qui lui convient tout au long de sa vie.

> Il n'existe pas de médicament de synthèse capable de remplacer les immunoglobulines issues du plasma humain dans le traitement des DIP, ni de médicament alternatif en vue dans la prochaine décennie.

Les Ig peuvent être administrées par voie intraveineuse ou par voie sous-cutanée.

La quantité injectée dépend de la profondeur du déficit, de la situation clinique du patient (niveau d'infection) et de son poids. Les Ig sont administrées selon deux voies d'administration :

- Par voie intraveineuse (IV), les Ig sont administrées toutes les 3 à 4 semaines, à l'hôpital comme à domicile.
 - Par voie sous-cutanée (SC), les Ig sont administrées à domicile chaque semaine ou (pour une des préparations existantes) chaque mois.
- Les conditions d'administration (choix de l'Ig, voie et lieu d'administration -hôpital ou domicile-) sont des facteurs de santé et qualité de vie essentiels, compte tenu de la récurrence de ce traitement.





EN BREF...

- Le plasma, à la différence des produits sanguins labiles, se congèle, et voyage, il a de ce fait une géographie mondiale.
- Les besoins en Ig connaissent une croissance durable, ce à l'échelle mondiale.
- Les tensions sur les Ig sont récurrentes depuis plusieurs années, créant la plus grande insécurité pour les patients qui en dépendent.
- Ces tensions ont des causes différentes, à ces dernières étant accrues par la baisse de la collecte de plasma suite à la pandémie
- Le plasma pour fractionnement est une ressource essentielle où l'Europe est déficitaire et doit gagner en souveraineté.
- Le développement de la plasmaphérèse est clé pour accroître les volumes, des exemples européens existent.
- Compte tenu de la nature biologique des Ig, les patients ont besoin d'un panel d'acteurs offrant une gamme d'Ig répondant aux besoins médicaux et à la sécurité d'approvisionnement.
- Les réponses à ces questions doivent être envisagées à une échelle supra nationale, au plan européen.
- Les patients français aspirent à une transformation de la filière plasma en France à même d'assurer aux patients dont la santé et la vie en dépend un accès pérenne aux Ig.

Les Ig connaissent une demande soutenue, ... et une tension mondiale.

Parmi les médicaments dérivés du plasma, les Ig connaissent une forte croissance de la demande au plan mondial, due à l'amélioration du diagnostic et au fait qu'il n'existe pas de médicament alternatif (comme c'est le cas pour les facteurs de coagulation par exemple, qui bénéficient de recombinants issus du génie biotechnologique). Cette demande s'accroît notamment en raison de l'amélioration du diagnostic et de l'accès accru à ces médicaments dans de nombreux pays. Pour mention, cette demande est passée de 19,7 tonnes en 1992 à 211,2 tonnes en 2018. Cette tendance se confirme pour les années à venir.

Le besoin en plasma de fractionnement croît en proportion du besoin d'Ig

A la différence des produits sanguins labiles (PSL), le plasma a une géographie mondiale, en raison du fait qu'il peut être congelé, peut voyager et être conservé un an. Les produits sanguins labiles (concentrés de globules rouges, plaquettes, ...) ont une durée de vie de 7 jours (Source ANSM⁶). Les besoins en plasma croissent pour faire face à la demande en Ig et autres produits dérivés. Mais l'Europe ne couvre qu'environ 62% de ses besoins cliniques, le reste étant importé des Etats-Unis. Aux problèmes déjà existants de collecte de plasma,

la COVID -19 a suscité une baisse de la collecte estimée à au moins 20% au plan mondial.

La plasmaphérèse, un moyen clé de développement des volumes de plasma nécessaires au fractionnement

Le plasma reste majoritairement issu de la collecte du sang. Seuls quelques pays en Europe ont véritablement développé des collectes spécialisées de plasma par plasmaphérèse. Les USA (30% du plasma utilisé en Europe vient des donneurs américains), l'Allemagne, l'Autriche, la Hongrie et la République tchèque sont les 5 pays au monde assurant une grande part de la collecte de plasma avec une compensation financière forfaitaire du temps des donneurs au regard de la fréquence accrue de leur don.

L'intérêt de considérer des donneurs de plasma réside dans le fait que les volumes collectés par aphérèse sont beaucoup plus importants. Un donneur de sang peut donner entre 4 et 6 fois par an, quand un donneur de plasma peut donner jusqu'à 24 fois par an. De plus, la collecte de plasma donne lieu à de plus grands volumes d'Ig. En effet ; il faudra 4 dons de sang pour fabriquer 4 g d'Ig, mais seulement 1,5 don de plasma.

La mise en place de plasmaphérèse permet donc de collecter spécifiquement du plasma, dans des volumes beaucoup plus importants et fréquents que ceux obtenus à partir du sang total. Ceci est

d'un intérêt crucial car 130 dons de plasma sont nécessaires pour traiter un patient atteint de DIP pendant 1 an (contre 346 dons de sang).

La priorité pour les patients atteints des DIP est d'accéder à leur traitement vital, offrant sécurité virale, efficacité et tolérance, sous le contrôle des régulateurs, indépendamment du lieu d'où vient le plasma.

La filière française est performante, mais ne peut à elle seule couvrir les besoins en Ig nationaux

L'EFS, opérateur unique de la transfusion sanguine civile en France, assure 3 millions de prélèvements de sang, plasma et plaquettes par an en France. La totalité du plasma collecté par l'EFS est destiné à l'opérateur français, le Laboratoire français du fractionnement et des biotechnologies (LFB) qui est chargé de fractionner le plasma issu de la collecte française et de distribuer les médicaments dérivés du plasma, dont les Ig, sur le territoire.

De fait, il ne peut répondre seul aux besoins des patients français, car ceux-ci ont besoin d'une pluralité d'Ig que ne saurait assurer un seul laboratoire. Cette pluralité d'Ig répond tant à des besoins médicaux (tolérance), de qualité de vie (choix de la voie d'administration), de sécurité d'approvisionnement. En effet, ne dépendre que d'un laboratoire ou que d'un pays pour la collecte de plasma ou son fractionnement est un facteur de risque considérable en cas d'émergence d'un pathogène localement, de problèmes de production, voire de mouvements sociaux. La souveraineté de la France ne peut s'envisager pour ce type de médicament que dans un contexte européen, l'union européenne en offrant le cadre.

Cette filière doit s'adapter à la nouvelle donne générée par les besoins en plasma et en médicaments dérivés du plasma.

La filière française des dérivés du plasma, mise en place en 1993^f, n'est pas en situation de répondre aujourd'hui aux besoins des patients dont la santé repose sur les médicaments dérivés du plasma. En effet, la notion d'autosuffisance nationale n'a de sens que pour les produits sanguins labiles, mais certainement pas pour les produits dérivés du plasma où une pluralité d'acteurs est nécessaire.

Elle peut néanmoins s'inscrire dans une réponse européenne et la collecte française gagnerait à participer à l'effort européen pour collecter davantage de plasma et réduire ainsi sa dépendance des Etats-Unis sur cette matière ressource.

Afin de sécuriser l'accès des patients aux immunoglobulines, il est nécessaire de conduire un



réel travail de fond pour envisager la filière plasma dans un cadre européen et assurer un accès pérenne à ces médicaments.

Contribuer nationalement à la souveraineté européenne en plasma

Les relais sont à travailler au plan européen, tant pour la collecte de plasma que la production d'Ig, la France pouvant y jouer un rôle important. C'est ce que suggèrent les députés Audrey Dufeu et Jean-Louis Touraine pour les médicaments d'intérêt thérapeutique majeur (MITM) dans leur rapport d'information en conclusion des travaux de la mission d'information sur les médicaments⁶. Le plasma est un bien public mondial.

Néanmoins, si toutes ces mesures proposées sont des avancées notables dans la sécurisation de l'approvisionnement en médicament, il faut toutefois noter qu'elles prévoient, pour la plupart, la mise en place de solutions alternatives pour les médicaments d'intérêt thérapeutique majeur. Or, dans le cadre précis des immunoglobulines, il n'en existe pas.

Les pouvoirs publics tentent de pallier les crises

Face à ces enjeux, les pouvoirs publics de santé tentent d'apporter des réponses afin de gérer cette crise.

Les autorités de santé, en coopération avec les associations de patients concernées et les professionnels de santé, ont apporté des premières réponses.

L'ANSM a mis en place une hiérarchisation des indications afin de prioriser les patients sans alternatives thérapeutiques, dont les DIP.

La dernière mise à jour date de janvier 2021^H. L'ANSM effectue des points de situation réguliers sur l'approvisionnement des médicaments dérivés du plasma. Toutefois, les mesures de priorisation sont inégalement appliquées^I et sont également difficiles à mettre en œuvre en raison de la difficulté à identifier les patients prioritaires.

Les immunoglobulines étant considérées comme des médicaments d'intérêt thérapeutique majeur^J, elles font l'objet de dispositions particulières. La feuille de route 2019-2022 visant à « lutter contre les pénuries et améliorer la disponibilité des médicaments en France^K » présente 28 mesures concrètes, au niveau

français et européen, pour lutter contre les difficultés croissantes d'approvisionnement en médicaments qui « touchent près d'1 Français sur 4 ».

L'État français a par ailleurs déclenché des évolutions tarifaires, réglementaires et législatives visant à lutter contre les pénuries de médicaments, s'appliquant aussi aux Ig^{L,M,N}.

Pour autant, ces réponses sont essentiellement défensives. Elles sont certes utiles, mais ne permettent pas de gérer complètement les tensions en cours, ni de sécuriser l'avenir de façon plus fondamentale par un accès pérenne et continu aux Ig.



Initier le traitement risque de prendre du temps en raison des tensions d'approvisionnement



Audrey, 27 ans, atteinte d'un déficit immunitaire commun variable (DICV) diagnostiquée en avril 2021 :

« Mon diagnostic a été compliqué. En mars 2020 après avoir fait une pancréatite, j'ai trainé des soucis digestifs dont une hépatite E qui s'est chronicisée. J'étais toutes les semaines chez mon médecin traitant. Je ne pouvais plus me lever ni rester debout trop longtemps.

En septembre 2020, mes analyses ont révélé une hypogammaglobulinémie. J'ai été orientée vers un infectiologue qui m'a expliqué que mes taux d'immunoglobulines étaient trop bas, qu'il fallait obligatoirement me mettre sous traitement substitutif. Nous sommes en avril 2021. **Il m'explique également que cela va prendre du temps car il y a des tensions d'approvisionnement.** J'ai finalement pu recevoir ma première perfusion en juillet 2021 car j'avais beaucoup trop d'infections. Pour l'instant, mon spécialiste espère maintenir mon traitement sur la période hivernale mais il ne sait pas s'il pourra m'en faire bénéficier à l'année. C'est très angoissant car le traitement a bien fonctionné, je suis encore malade à certains moments mais moins que d'habitude. »

Traitement différé, puis pause estivale dans le traitement



Florie, 39 ans, atteinte d'un déficit en sous-classes d'Ig, diagnostiquée et substituée depuis 2018 :

« Juste avant l'été, un appel de l'hôpital m'a avisé des tensions d'approvisionnement sur mon traitement du fait de la **crise sanitaire qui a engendré un manque de don de plasma.** J'ai été avertie la veille au soir pour le lendemain de la **déprogrammation de ma cure** en hôpital de jour sans avoir

plus d'information sur la date d'une nouvelle prise en charge. J'ai finalement été recontactée pour être reprogrammée quelques jours après, mais il m'a été indiqué qu'ils allaient procéder à une pause estivale. À cette annonce, j'ai ressenti de l'incompréhension, de la colère aussi, de ne pas savoir si cette pause était vraiment motivée pour mon bien ou si cela était du fait des tensions d'approvisionnement. »

Changement d'immunoglobulines en raison du changement de marché hospitalier

Nicolas, 29 ans, atteint d'un déficit immunitaire commun variable (DICV) diagnostiqué et sous traitement depuis 2008

« Depuis l'été, je teste une immunoglobuline sous-cutanée (IgSC) mensuelle, auparavant j'étais sur une IgSC hebdomadaire. **Le motif de ce changement, ce sont les pénuries sur mon précédent traitement hebdomadaire.** Mon médecin

interniste m'a fait remonter qu'en juin, mon hôpital renouvelait ses contrats auprès des laboratoires et que donc mon ancien médicament n'était plus disponible pour l'année à venir. Concernant les Ig sous forme intraveineuse, c'était compliqué aussi d'y avoir accès compte tenu des stocks reçus par la pharmacie hospitalière en début de mois. Pour en bénéficier, il fallait que je passe à l'hôpital dès réception des stocks car **à la fin du mois, les stocks étaient réservés aux urgences vitales.** Il faut laisser aux patients la possibilité de dire s'ils souhaitent du mensuel, de l'hebdo, à l'hôpital, à domicile... ou carrément de l'IV parce que chacun a ses propres systèmes de contraintes. »



Des changements de traitement rendus nécessaires sans justification médicale

Pr. Isabelle Pellier

• Immunologie pédiatrique au CHU Angers :

« Nous suivons des enfants avec des maladies chroniques rares du système immunitaire qui présentent un risque très important de survenue d'infections graves et récidivantes pouvant conduire à des lésions permanentes de certains organes. Ces déficits du système immunitaire nécessitent une substitution en Immunoglobulines à vie, traitement préventif permettant de prévenir les expressions délétères de la maladie. Il est évident que dans ce contexte, la régularité du traitement est un enjeu majeur pour le développement staturo-pondéral de ces enfants tout en leur évitant les complications infectieuses. Depuis plusieurs années, nous assistons à des tensions sur certaines préparations d'immunoglobulines (sur plusieurs produits de façon successive). Ces situations nous conduisent à intervenir sur



les traitements en place (changement de type d'immunoglobulines par exemple), sans justification médicale, mais uniquement pour gérer les difficultés d'approvisionnement, au détriment de l'équilibre médical et de la qualité de vie de ces patients. Cette situation se répète et s'installe, générant une inquiétude chez les patients et les professionnels. Elle appelle à un travail en profondeur sur les RCP, sur l'approvisionnement, sur la filière, afin de sécuriser de façon préventive le traitement de ces patients. »

Les besoins comme les priorités doivent être évalués au regard de la situation clinique de ces patients.



Dr Guillaume Lefèvre

• Médecine Interne Unité d'Immunologie Clinique au CHU Lille :

« La priorisation des maladies en cas de tension est essentielle, mais elle nécessite maintenant d'aller au-delà au sein de l'hôpital. Nous avons organisé plusieurs réunions associant tous les prescripteurs d'Ig et notamment ceux concernés par la rétrocession pour le traitement à

domicile, en essayant de repartir des AMM qui sont réellement pertinentes, mais également de la réalité clinique des patients. Qu'il s'agisse des DIP, des déficits immunitaires secondaires ou de maladies neurologiques, on parle moins de pathologies ou de groupe de pathologies, que de patients pris individuellement. Et les besoins comme les priorités doivent être évalués au regard de la situation clinique de ces patients. Les collègues neurologues ont fait d'énormes efforts pour libérer des volumes d'Ig, en recourant à d'autres médicaments, corticothérapies, immunosuppresseurs qui ont un niveau de preuve validé par la pratique. De même la réévaluation du traitement substitutif en Ig de certains patients chroniques (Hypogammaglobulinémie, patients greffés, ...) est un sujet à part entière. En structurant davantage l'usage de ces médicaments, on limite les carences pour les patients qui en ont un besoin absolu, et l'on se donne les moyens d'une approche proactive des besoins effectifs. »

Mettre à plat toutes les difficultés afin de se préparer au défi des 10 prochaines années

Dr Nizar Mahlaoui

• Médecin pédiatre au service d'immunohématologie et rhumatologie pédiatrique de l'Hôpital Necker, responsable de l'antenne locale du CEREDIH :



« La problématique de tensions d'approvisionnement des Ig auprès des patients qui en dépendent est internationale et même mondiale. La demande de ce produit est croissante à travers le monde depuis de nombreuses années et en France, toute la chaîne, des prescripteurs aux pharmaciens et aux patients, subit des difficultés d'approvisionnement de ces médicaments dont les patients dépendent de façon fondamentale. L'ANSM a réuni des acteurs de cette filière pour chercher des solutions afin d'éviter toute rupture thérapeutique. Nous avons abouti sur un document extrêmement important qui est la priorisation des indications, diffusé à tous les acteurs impliqués. L'applicabilité est assez bien réalisée, mais des difficultés subsistent.

Pour autant, la demande en médicaments dérivés du plasma, et en premier lieu des Ig, est croissante et toutes les prévisions montrent qu'elle le restera. La situation actuelle n'est pas tenable en l'état et il nous semble essentiel de mettre à plat toutes les difficultés afin de nous préparer au défi des 10 prochaines années, devant cette concurrence mondiale qui est déjà la réalité de terrain en France et dans d'autres pays. »

Nos missions : accompagner, soutenir, représenter.

Créée en 1998 et reconnue d'utilité publique depuis 2007, l'association IRIS a pour mission de représenter les patients atteints de Déficits Immunitaires Primitifs (DIP). Environ 6 000 enfants et adultes sont concernés en France par cet ensemble de 450 maladies génétiques rares, affectant le système immunitaire.

Voici quelques exemples de notre engagement...

Améliorer le diagnostic et la prise en charge :

- Limiter l'errance médicale des patients en améliorant le diagnostic par la sensibilisation des professionnels de santé aux signes d'alertes clinique des DIP.
- Développement d'un programme d'éducation thérapeutique «DIP&Educ» pour les patients adultes atteints d'un déficit immunitaire primitif humoral.
- Promouvoir le don de soi (don de moelle osseuse et don de plasma) pour pérenniser et assurer la sécurité des traitements qui en sont issus.
- Participer et soutenir l'étude DESPISTREC pour inclure les Déficits Immunitaires Combinés Sévères (DICS) dans le programme national de dépistage néonatal.

Soutenir les malades et leurs familles :

- Permanence téléphonique.
- Mise à disposition de deux appartements de répit à proximité de l'Hôpital Necker (Paris) pour les familles DIP de province dont l'enfant est en greffe de moelle osseuse, afin de maintenir l'unité familiale durant cette période difficile.
- Fond de solidarité pour les patients et les familles les plus impactés financièrement par la maladie.
- Relais d'une assistante sociale référente pour accompagner les patients DIP dans leurs démarches administratives.

Représenter les patients :

- Participation aux comités de pilotage de la Direction Générale de la Santé sur la filière plasma en France.
- Participation au comité scientifique temporaire de l'ANSM concernant la gestion des tensions d'approvisionnement en immunoglobulines.
- Développement de campagne de sensibilisation parlementaire sur des sujets spécifiques : accès aux médicaments dérivés du plasma, impact du deuil...

Contact :

> Déléguée Générale

Virginie MILLÈRE
virginie.miliere@associationiris.org

> Chargée de projets

Pauline MORANT
communication@associationiris.org

Association IRIS

247 avenue du Colonel Péchot - 54200 TOUL
Tél : 03 83 64 09 80
Mail : info@associationiris.org

Suivez-nous sur les réseaux sociaux



et sur notre site www.associationiris.org



Avec le soutien institutionnel de:

CSL Behring
Biotherapies for Life™



DES MESURES CONCRÈTES POUR SÉCURISER ET PÉRENNISER L'ACCÈS AUX IMMUNOGLOBULINES

1 Sécuriser durablement l'initiation et la continuité du traitement substitutif en Ig pour tous les patients sans alternative thérapeutique, selon leurs besoins personnalisés, sans restriction de dose, d'espacement des cures, ni d'interruption liée à des tensions d'approvisionnement.

Il est essentiel d'assurer la continuité des traitements et de pouvoir initier le traitement des personnes nouvellement diagnostiquées. C'est la condition pour assurer une couverture suffisante pour prévenir les infections et permettre à ces patients de vivre une vie quasi normale tant au plan familial qu'au plan professionnel.

2 Garantir à chaque patient la possibilité d'accéder et de conserver le traitement qui lui correspond le mieux, les Ig ne sont pas interchangeables.

Chaque patient a un besoin spécifique en Ig, et la tolérance varie d'un patient à l'autre. De fait, les préparations ne sont pas interchangeables et les modalités de traitement (fréquence, quantité, voie d'administration, lieu de traitement) dépendent de la situation individuelle de chacun et sont des facteurs de qualité de vie essentiels. A fortiori dans le cadre d'un traitement chronique, à vie. Il convient, dès lors, de permettre aux patients d'avoir recours aux Ig selon leurs besoins thérapeutiques.

Le référencement de plusieurs Ig (en administration intraveineuse ou sous-cutanée) en pharmacie hospitalière évite les changements d'Ig en fonction des marchés et des indisponibilités.

3 Développer les pratiques d'usage des Ig dans le respect des RCP afin de sécuriser leur utilisation à l'intention des patients avec un besoin avéré.

Comme tout médicament, les Ig sont sujettes à une révision régulière des pratiques permettant d'assurer un bon usage du médicament, de limiter les carences et de sécuriser l'accès aux patients priorités en cas de tension d'approvisionnement. Une concertation entre les professionnels de santé et une approche proactive des besoins optimise l'usage de ces médicaments.

4 Assurer la présence d'une pluralité d'acteurs proposant des Ig afin de disposer d'un panel de préparations permettant aux médecins et aux patients de choisir celle qui est la mieux tolérée, la voie la mieux adaptée et de faire face à la défaillance toujours possible d'un des acteurs.

Il est essentiel que la France soit en situation de proposer des Ig provenant de différents laboratoires pour faire face à la réalité des besoins médicaux que ne saurait couvrir un seul laboratoire. La notion d'autosuffisance ou de souveraineté nationale ne s'applique pas ici si l'on poursuit l'intérêt des patients, il faut au contraire accroître la collecte de plasma au niveau européen et tendre vers une autosuffisance mondiale.

5 Réorganiser durablement la filière afin de contribuer à la souveraineté européenne en matière de collecte de plasma, en accroissant la contribution de la France, nécessaire à la sécurisation de l'approvisionnement en Ig

Les crises se succèdent, la pandémie exacerbe encore les difficultés, il devient évident que le fonctionnement actuel de la filière plasma française ne répond plus aux besoins des patients chroniques comme les DIP, et ne peut y répondre seule. Le plasma est devenu une ressource essentielle pour élaborer des médicaments dérivés comme les Ig, et chaque pays européen, dont la France doit participer à un effort de reconquête de la souveraineté européenne, pour la collecte de cette matière première essentielle.

- A** - The Ever-Increasing Array of Novel Inborn Errors of Immunity: an Interim Update by the IUIS Committee. Journal of Clinical Immunology (2021)
- B** - The Ever-Increasing Array of Novel Inborn Errors of Immunity: an Interim Update by the IUIS Committee. Journal of Clinical Immunology (2021)
- C** - IRIS, « Traitements des DIP », Août 2021
- D** - Organisation Mondiale de la Santé, « Liste des médicaments essentiels », actualisé en juillet 2019
- E** - Journal officiel (JO) du 5 mai 2018
- F** - Loi n°93-5 du 4 janvier 1993 relative à la sécurité en matière de transfusion sanguine et de médicament
- G** - Rapport d'information en conclusion des travaux de la mission d'information sur les médicaments – 23/06/2021 https://www.assemblee-nationale.fr/dyn/15/rapports/cion-soc/l15b4275_rapport-information#_Toc256000162
- H** - ANSM, « Hiérarchisation des indications des immunoglobulines humaines polyvalentes », 02 mai 2018, mis à jour le 8 janvier 2021
- I** - Comité scientifique spécialisé temporaire, « Compte rendu de la séance du 3 avril 2019 », 10 avril 2019
- J** - Arrêté du 27 juillet 2016 fixant la liste des classes thérapeutiques contenant des médicaments d'intérêt thérapeutique majeur mentionnés à l'article L.5121-31 du code de la santé publique
- K** - Ministère des Solidarités et de la Santé, Feuille de route 2019-2022 « Lutter contre les pénuries et améliorer la disponibilité des médicaments en France », Juillet 2019
- L** - Loi n°2019-1446 du 24 décembre 2019 de financement de la sécurité sociale pour 2020
- M** - Convention CEPS sur prix de cession <https://www.legifrance.gouv.fr/jorf/id/JORFTEXT000042749535>
- N** - Décret n°2021-349 du 30 mars 2021 relatif au stock de sécurité destiné au marché national