

COMMISSION DE LA SANTÉ PUBLIQUE, DE L'ENVIRONNEMENT ET DU RENOUVEAU DE LA SOCIÉTÉ du 27/10/2015

Questions de M. André Frédéric à la ministre des Affaires sociales et de la Santé publique sur "les médicaments utilisés 'off-label'"

André Frédéric (PS): Madame la ministre, selon un rapport du KCE, certains médecins prescrivent régulièrement des médicaments *off-label*. Lorsqu'un médicament est utilisé en dehors du dosage, du groupe d'âge ou de patients, de l'indication thérapeutique et/ou de la voie d'administration autorisés, on parle d'utilisation "hors autorisation de mise sur le marché" ou utilisation *off-label*. Toujours selon cette étude du Centre fédéral d'expertise des soins de santé, ces prescriptions seraient surtout utilisées chez les enfants, les femmes enceintes, les patients cancéreux, les malades du VIH-sida ou chez les personnes en soins palliatifs. 80% des médicaments prescrits en pédiatrie concerneraient l'usage *off-label*.

Si parfois, c'est la seule solution pour traiter un patient, cette méthode ne garantit pas toujours l'efficacité et n'est pas sans risque. Le KCE propose donc que des preuves scientifiques fiables soient rassemblées par rapport à ces usages, et qu'en cas de preuves négatives, le *off-label* soit interdit et que, dans le cas contraire, on puisse mettre en place différentes mesures pour que le produit utilisé en *off-label* le soit en toute sécurité, qu'il soit efficace et efficient.

Madame la ministre, avez-vous déjà pris connaissance de ce rapport du KCE? Entendez-vous prendre des mesures pour rencontrer les recommandations émises par celui-ci? Si oui, quelles pourraient être ces mesures?

Maggie De Block, ministre: Monsieur Frédéric, on a pris connaissance du rapport du KCE concernant l'usage *off-label* des médicaments. Ce rapport étant très récent, il devra encore être analysé en détail, en tenant compte également des résultats de l'étude *off-label* réalisée par la Commission européenne ainsi que de l'évolution des discussions au sein du groupe de travail "*safe and timely access to medicines for patients*" de la Commission européenne.

À ce jour, différentes initiatives ont été prises aux niveaux européen et national pour encadrer et limiter l'usage *off-label*. Il s'agit notamment de la réglementation européenne prévoyant des mesures afin d'assurer la collecte des données nécessaires pour définir les conditions d'utilisation d'un médicament chez l'enfant. Il est notamment prévu qu'à l'avenir, tout nouveau médicament ou toute nouvelle indication non encore enregistrée dans l'Union européenne fasse l'objet d'un développement pratique pédiatrique spécifique pour peu que le besoin en soit justifié.

Pour ce qui concerne les médicaments déjà sur le marché qui ne sont plus protégés par un certificat de protection supplémentaire et qui ne procèdent pas d'indications pédiatriques mais qui sont néanmoins prescrits chez l'enfant, d'autres dispositions légales ont été prévues. Il s'agit d'une nouvelle autorisation européenne de mise sur le marché exclusivement pédiatrique reprise sous l'appellation *paediatric-use marketing autorisation* (PUMA). Cette nouvelle autorisation est assortie d'une protection de 10 ans obtenue sur une base volontaire et sur la base d'un *paediatric investigation plan* en bonne et due forme, menée par la firme intéressée.

En ce qui concerne l'utilisation *off-label* des médicaments dans le cadre d'une indication avec un besoin médical non rencontré, il existe des programmes d'usage compassionnels qui consistent à mettre à disposition des patients, un médicament innovant qui ne possède pas encore d'autorisation de mise sur le marché mais pour lequel des études cliniques de phase 3 sont en cours ou sont déjà finalisées.

Une autre possibilité est le recours aux programmes médicaux d'urgence (le Medical Need Program) qui consiste à mettre à disposition des patients un médicament qui possède une autorisation de mise sur le marché en vue d'être utilisé pour une indication qui n'est pas approuvée dans le cadre de ladite autorisation.

La législation nationale concernant ces deux types de programmes a été revue en 2014. C'est ainsi qu'un nouveau processus a été mis en place au sein de la division Recherche et Développement du directeur général de pré-autorisation de l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS) en collaboration avec l'INAMI. Vous trouverez de plus amples informations sur le site web de l'Agence.

En ce qui concerne les recommandations du KCE, une évaluation approfondie des mesures proposées est en cours. Il est ici notamment question des actions à mener au niveau des instances européennes et des firmes. Il pourrait également s'agir de la promotion d'études indépendantes financées par les autorités en collaboration avec les centres d'expertise.

Je rappelle que lorsque l'usage *off-label* ne peut être évité, celui-ci doit être correctement encadré en termes de pharmacovigilance et cet usage se fait sous la responsabilité du médecin prescripteur qui doit en informer son patient.

André Frédéric (PS): Madame la présidente, je remercie Mme la ministre pour sa réponse.