



**Ministère du travail, des relations sociales, de la famille, de la solidarité et de la ville**  
**Ministère du budget, des comptes publics, de la fonction publique et de la réforme de l'Etat**  
**Ministère de la santé et des sports**

DHOS-Sous-direction de la qualité et du  
fonctionnement des établissements de santé  
bureau Qualité et sécurité des soins en établissement de santé  
Personne responsable du dossier :  
P. Kujas 01 40 56 77 43

DGS-Sous direction politique des  
pratiques et des produits de santé  
bureau du Médicament  
Personne responsable du dossier :  
P Cayer-Barrioz : 01 40 56 53 13

La Ministre de la santé et des sports

DSS-Sous-direction du financement du système de soins à  
bureau des Produits de santé  
Personne responsable du dossier :  
F. Simantov : 01 40 56 71 49

Mesdames et Messieurs les Préfets de région  
Direction régionale des affaires sanitaires et  
sociales (Pour information)

Mesdames et Messieurs les Préfets de  
département  
Direction départementale des affaires sanitaires  
et sociales (Pour information)

Mesdames et Messieurs les Directeurs des  
agences régionales de l'hospitalisation (Pour  
application et diffusion aux établissements)

Mesdames et Messieurs les Préfigurateurs des  
Agences régionales de santé (pour attribution)

Mesdames et Messieurs les Directeurs des  
établissements de santé (Pour application  
immédiate)

Monsieur le Directeur général de la Caisse  
nationale de l'assurance maladie des travailleurs  
salariés (Pour application)

Monsieur le Directeur général du régime social des  
indépendants (RSI)

Monsieur le Directeur général de la Caisse Centrale  
de la Mutualité Sociale Agricole (CCMSA)  
Madame la Directrice de l'agence technique de  
l'information sur l'hospitalisation

**CIRCULAIRE** N° DSS/1C/DGS/PP2/DHOS/E2/2010/24 du 25 janvier 2010 relative à la validation des prescriptions initiales de médicaments désignés comme orphelins financés en sus des prestations d'hospitalisation

Date d'application: 1<sup>er</sup> janvier 2010

NOR : SASS1002339C

Classement thématique : Assurance maladie, maternité, décès

**Résumé** : La présente circulaire précise les conditions de mise en œuvre de la validation par les centres de référence ou de compétence de maladies rares des prescriptions initiales en établissement de santé de médicaments désignés comme orphelins au sens du règlement européen (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999, financés en sus des prestations d'hospitalisation. La prise en charge par l'assurance maladie de ces spécialités est subordonnée à cette validation.

**Mots-clés** : Régimes obligatoire d'assurance maladie, Spécialités pharmaceutiques, Produits et prestations, financement en sus des prestations d'hospitalisation, Médicaments orphelins, centre de référence de maladie rare

**Textes de référence** : Articles L. 162-22-7, (art 47-III de la loi n° 2008-1330 du 17 décembre 2008 de financement de la sécurité sociale pour 2009)

**Textes abrogés ou modifiés** : Néant

Annexes

1. Procédure de recueil de la validation de la prescription initiale et éléments de preuve de la validation de la prescription initiale (Annexe 1)
2. Liste des médicaments désignés comme orphelins financés en sus des prestations d'hospitalisation (annexe 2)
3. Liste des centres de référence hors cancer pour les maladies rares et des centres de compétences, tableau de correspondance (annexe 3),
4. Fiche de liaison à renseigner par les établissements de santé (annexe 4).

## **1) Objectif de la mesure d'encadrement des prescriptions de médicaments orphelins**

Afin d'améliorer et de sécuriser les conditions de prescription des médicaments de la liste en sus et de maîtriser l'évolution des dépenses de santé correspondantes, l'article 47 de la loi n° 2008-1330 du 17 décembre 2008 de financement de la sécurité sociale pour 2009 a prévu plusieurs dispositions fondées sur la recherche d'une qualité accrue des pratiques de soins.

La disposition prévue au III de cet article<sup>1</sup> a pour objet d'entourer les prescriptions des médicaments désignés comme orphelins au sens du règlement européen (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 inscrits sur la liste en sus de toutes les garanties médicales de bon usage.

## **2) Champ d'application et mise en œuvre**

Cet encadrement des prescriptions initiales vise les médicaments, au sens du règlement (CE) n°141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999. Il ne concerne que les médicaments désignés comme orphelins<sup>2</sup> inscrits sur la liste des spécialités pharmaceutiques financées en sus des prestations d'hospitalisation.

<sup>1</sup> Inséré au dernier alinéa de l'article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale

<sup>2</sup> Lien internet <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/register/orphreg.htm>

Pour que ces médicaments soient pris en charge par l'assurance maladie en sus des prestations d'hospitalisations, leur prescription initiale par le médecin hospitalier doit désormais être validée par le centre de référence compétent pour la maladie rare concernée (ou bien par un des centres de compétence qui lui sont rattachés). En cas de non respect de cette obligation, le coût du médicament ne peut en aucun cas être supporté par le patient.

Seuls les médicaments prescrits dans une pathologie rare pour laquelle il existe un centre de référence labellisé (ou un des centres de compétence désignés) font l'objet de cet encadrement spécifique. La liste des spécialités concernées, ainsi que les centres de référence (et les centres de compétences) associés figure en annexe. Elle sera mise à jour semestriellement par la DGS sur le site Internet du ministère en charge de la santé ([www.sante.gouv.fr](http://www.sante.gouv.fr))

La mesure ne vise pas les médicaments, inscrits sur la liste en sus, qui, bien qu'ayant été désignés comme orphelins, ne peuvent être à ce stade associés à un centre de référence ou un centre de compétence (exemple des médicaments orphelins utilisés en cancérologie).

Sont précisées en annexe de cette circulaire :

- les modalités de recueil par l'établissement de santé auprès du centre de référence ou de compétence de la validation de la prescription initiale du médicament orphelin ainsi que la formalisation de cette démarche ;
- les informations à fournir par l'établissement de santé à l'assurance maladie chargée de s'assurer, dans le processus de prise en charge financière, que la prescription initiale a fait l'objet d'une validation conforme à la loi ;

### **3) Entrée en vigueur**

La présente instruction s'applique aux prescriptions initiales de médicaments désignés comme orphelins effectuées à compter du 1er janvier 2010. En attendant que les procédures de télétransmission (fichcomp, adaptation de la norme B2) soient mises en place, les caisses d'assurance maladie peuvent effectuer des contrôles a posteriori sur pièces. Dès lors que ces contrôles mettent en évidence l'absence de validation de prescription initiale, la caisse d'assurance maladie sera fondée à mettre en œuvre la procédure de récupération d'indu sur la base de l'article L.133-4 du code de la sécurité sociale.

Pour la ministre et par délégation

*Signé*

Dominique LIBAULT  
Directeur de la sécurité  
sociale

*Signé*

Annie PODEUR  
Directrice de l'Hospitalisation  
et de l'organisation des soins

*Signé*

Sophie DELAPORTE  
Directrice générale adjointe  
de la santé

## Annexe 1

### **I- Procédure de recueil de la validation de la prescription initiale**

#### **1- Recueil par l'établissement de santé émetteur de la prescription d'une validation par le centre de référence ou de compétence**

Il appartient au médecin de l'établissement de santé initiant auprès d'un patient hospitalisé un traitement comportant un médicament orphelin de consulter, selon la forme la mieux adaptée, le centre de référence concerné (ou le centre de compétence qui lui est rattaché) pour recueillir auprès de ce dernier, au travers d'une validation, la confirmation de la pertinence de la prescription initiale envisagée. Cette phase se traduit par l'établissement d'une fiche de liaison (voir annexe 4).

Il est rappelé que seule la prescription initiale doit faire l'objet d'une validation par un centre de référence (ou un centre de compétence qui lui est rattaché) pour une maladie rare : une fois cette prescription initiale validée, les prescriptions ultérieures prolongeant le traitement du patient ne sont plus concernées par cette procédure.

Cette procédure ne s'applique qu'aux seuls médicaments orphelins et aux indications thérapeutiques associées figurant dans le tableau de correspondance joint en annexe, qui sera complété semestriellement par la DGS et disponible sur [www.sante-sports.gouv.fr](http://www.sante-sports.gouv.fr)

#### **2-Éléments de preuve de la validation de la prescription initiale**

La preuve du recueil de la validation par l'établissement de santé est apportée au moyen des éléments précisés ci-dessous, selon que l'établissement de santé est ou non labellisé comme centre de référence ou de compétence pour une maladie rare.

##### **a) L'établissement de santé est labellisé en tant que centre de référence ou de compétence pour une maladie rare**

Dans ce cas, l'ordonnance est un élément de preuve suffisant, sous réserve qu'elle fasse clairement apparaître la qualité de centre de référence ou de compétence. Il n'y a pas à remplir de fiche de liaison.

##### **b) L'établissement de santé prescripteur n'est pas centre de référence ou de compétence**

Dans ce cas, en complément de l'ordonnance, le prescripteur initial renseignera conjointement avec le centre de référence (ou le centre de compétence qui lui est rattaché) la fiche de liaison annexée, indiquant que la prescription initiale a été validée par un centre de référence ou de compétence qui lui est rattaché.

### **II- Circuits d'informations entre les établissements de santé prescripteur de médicaments orphelins inscrits sur la liste en sus et l'assurance maladie/ l'ARH- l'ARS**

Les établissements de santé, à l'appui de la demande de prise en charge des médicaments fournissent les éléments apportant la preuve à l'assurance maladie ou à l'ARH/ARS que la prescription initiale du médicament orphelin a été validée par un centre de référence ou de compétence qui lui est rattaché et qu'en conséquence la prise en charge est légitime. La communication de l'information aux caisses d'assurance maladie compétentes pour le traitement des données de facturation ou à l'ARH/ARS s'effectuera, à titre principal, au travers des circuits existants de facturation.

## **1- Etablissements privés (ex OQN)**

Les établissements doivent transmettre, lors de la prescription initiale, la fiche de liaison attestant de la validation de la prescription initiale du médicament orphelin aux caisses d'assurance maladie en même temps que le bordereau de facturation (modèle S 3404) et de l'ordonnance. Dans le cas où l'établissement est centre de référence (ou centre de compétence), l'ordonnance suffit (cf. a et b du I point 2).

A terme, l'arrêté du 18 décembre 2008 (publié au JO du 24 décembre 2008) relatif aux informations devant figurer dans la facture des médicaments facturables en sus sera modifié pour intégrer l'obligation d'un code attestant de cette procédure de validation de la prescription initiale par un centre de référence ou de compétence. Le flux de facturation directe (norme B2) intégrera cette mention. La fiche de liaison précitée devra cependant toujours être transmise avec les autres pièces justificatives du paiement.

Les établissements sont invités à conserver un double de cette fiche de liaison en cas de demande ponctuelle ultérieure de l'assurance maladie.

## **2- Etablissements ex DG**

Ces établissements prescripteurs adresseront une information à l'ARH/ARS (dans le cadre des processus locaux de facturation) indiquant que le médicament orphelin prescrit et dont l'établissement demande la prise en charge par l'assurance maladie a fait l'objet d'une validation initiale par un centre de référence ou de compétence suivant le cas, conformément au a) et b) du I point 2 ci dessus.

Le fichier FICHCOMP sera modifié à cet effet par l'ATIH et sera mis à disposition des établissements de santé ex DG début 2010. Ce fichier sera anonymisé lors de la transmission à l'ARH/ARS.

Ces établissements conservent avec les autres pièces justificatives du paiement (ordonnance, facture), les éléments de preuve attestant de la validation par le centre de référence ou de compétence : ces éléments de preuve sont ceux définis au I ci-dessus (fiche de liaison).

## Annexe 2

## Médicaments orphelins : inscription sur la liste en sus (octobre 09)

Laboratoire pharmaceutique exploitant	Molécule	Nom commercial de la spécialité	Code UCD
GENZYME SAS	laronidase	ALDURAZYME 100 U/ml, solution pour perfusion	9249907
GLAXOSMITHKLINE	nelerabine	ATRIANCE 5 mg/ml, solution pour perfusion	9304718
PIERRE FABRE MEDICAMENT	busulfan	BUSILVEX 6 mg/ml, solution à diluer pour perfusion intraveineuse, boîte de 8 flacons de 10 ml	9319358
PIERRE FABRE MEDICAMENT	busulfan	BUSILVEX 6 mg/ml, solution à diluer pour perfusion, ampoule	9253381
ORPHAN EUROPE	acide carglumique	CARBAGLU 200 mg, comprimé dispersible	9234053
SHIRE HUMAN GENETIC THERAPIES	idursulfase	ELAPRASE 2mg/ml , solution à diluer pour perfusion, flacon de 3ml	9293593
GENZYME SAS	clofarabine	EVOLTRA 1mg/ml, solution à diluer pour perfusion en flacon de 20ml	9294954
GENZYME SAS	agalsidase beta	FABRAZYME 35 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion	9235058
LIPOMED GMBH	cladribine	LITAK 2 mg/ml, solution injectable en flacon de 5 ml	9271456
BIOMARIN EUROPE LTD	galsulfase	NAGLAZYME 1mg/ml, solution à diluer pour perfusion , flacon de 5 ml	9287196
AXCAN PHARMA	porfimer sodium	PHOTOBARR 15 mg, poudre pour solution injectable	9261920
AXCAN PHARMA	porfimer sodium	PHOTOBARR 75 mg, poudre pour solution injectable	9261937
EISAI SAS	ziconotide	Prialt 100 µg /ml, solution pour perfusion, flacon de 1 ml	9306870
EISAI SAS	ziconotide	Prialt 100 µg /ml, solution pour perfusion, flacon de 2 ml	9317477
EISAI SAS	ziconotide	Prialt 100 µg /ml, solution pour perfusion, flacon de 5 ml	9306887
TKT europe 5S	agalsidase alfa	REPLAGAL 1 mg/ml, solution à diluer pour perfusion en flacon de 1 ml	9269034
TKT europe 5S	agalsidase alfa	REPLAGAL 1 mg/ml, solution à diluer pour perfusion en flacon de 3,5 ml	9238861
CELGENE	lenalinomide	REVLIMID 10 mg, gélule	9298113
CELGENE	lenalinomide	REVLIMID 15 mg, gélule	9298136
CELGENE	lenalinomide	REVLIMID 25 mg, gélule	9298142
CELGENE	lenalinomide	REVLIMID 5 mg, gélule	9298159
NOVEX PHARMA	dexrazoxane	SAVENE 20mg/ml, poudre pour solution à diluer et diluant pour solution pour perfusion	9291602
ALEXION PHARMA France	eculizumab	SOLIRIS, solution à diluer pour perfusion	9299207
WYETH PHARMACEUTICALS FRANCE	temsirolimus	TORISEL 25 mg/ml, solution à diluer et diluant pour solution pour perfusion	9304776
CEPHALON FRANCE	arsenic trioxide	TRISENOX 1 mg/ml, solution à diluer pour perfusion en ampoule de 10 ml	9242911
BAYER SANTE	iloprost	VENTAVIS 10 microgrammes/ml, solution pour inhalation par nébuliseur, ampoule de 1 ml	9297467
BAYER SANTE	iloprost	VENTAVIS 10 microgrammes/ml, solution pour inhalation par nébuliseur, ampoule de 2 ml	9256965
CELGENE	azacitidine	VIDAZA 25 mg/ml, poudre pour suspension injectable, flacon de 100 mg	9274762
ACTELION	miglustat	ZAVESCA 100 mg, gélule	9246725

Annexe 3

**VALIDATION DE LA PREMIERE PRESCRIPTION DES MEDICAMENTS DESIGNES COMME ORPHELINS DISPOSANT D'UNE AUTORISATION DE MISE SUR LE MARCHE, INSCRITS SUR LA LISTE HORS TAA**

**(MISE EN CEUVRE DU DERNIER ALINEA DE L'ARTICLE L. 162-22-7 DU CODE DE LA SECURITE SOCIALE**

En application des dispositions du dernier alinéa de l'article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale, la prise en charge par l'assurance maladie de chacun des médicaments désignés comme orphelins listés ci-dessous disposant d'une AMM et inscrit sur la liste hors TAA, est conditionnée à la validation de leur première prescription par un centre de référence (y compris les établissements identifiés comme multisites) ou un centre de référence, précisé au sein du tableau ci-dessous.

NOM DU MEDICAMENT	SUBSTANCE ACTIVE	INDICATION	LABORATOIRE	CENTRES DE REFERENCE LABELLISES OU CENTRES DE COMPETENCES DESIGNES	DATE AMM
<b>ALDURAZYME</b>	<b>Laronidase</b>	<b>Traitement de la mucopolysaccharidose de type I</b>	<b>Genzyme</b>	<p><b>Centre de référence</b> des maladies Lysosomales à expression neurologique                      APHP                      Hôpital Beaujon                      100 Bd du Général Leclerc                      92118 Clichy Cedex                      Médecin coordonnateur : Dr Nadia. Belmatoug                      Tel : 01 40 87 52 86  <a href="mailto:nadia.belmatoug@bjn.aphp.fr">nadia.belmatoug@bjn.aphp.fr</a></p> <p><b>Centre de référence</b> des maladies héréditaires du métabolisme                      AP-HP Hôpital Necker – Enfants malades                      149 rue de Sèvres                      75743 Paris Cedex 15                      Médecin coordonnateur : Pr Pascale Delonlay                      Tel : 01 44 49 48 52  <a href="mailto:pascale.delonlay@nck.aphp.fr">pascale.delonlay@nck.aphp.fr</a></p> <p><b>Centre de référence</b> des maladies héréditaires du métabolisme                      AP-HP                      Hôpital Robert Debré                      48 Bd Sérurier</p>	<b>10/06/2003</b>

				<p>75019 Paris  Médecin coordonnateur : Dr Hélène. Ogier de Baulny  Tel : 01 40 03 57 07  <a href="mailto:helene.ogier@rdb.aphp.fr">helene.ogier@rdb.aphp.fr</a></p> <p><b>Centre de référence</b> des maladies héréditaires du métabolisme  CHU de Nancy  Hôpital Brabois enfants  5 allée du Morvan  54511 Vandoeuvre les Nancy  Médecin coordonnateur : Pr François. Feillet  Tel : 03 83 15 47 96  <a href="mailto:f.feillet@chu-nancy.fr">f.feillet@chu-nancy.fr</a></p> <p><b>et ses 4 sites constitutifs :</b></p> <p>CHU de DIJON  Hôpital des Enfants  10 Bd du Maréchal de Lattre de Tassigny  21034 Dijon Cedex  Médecin coordonnateur : professeur Frédéric Huet  Tel : 03 80 29 53 13  <a href="mailto:Frederic.huet@chu-dijon.fr">Frederic.huet@chu-dijon.fr</a></p> <p>CHU de REIMS  Rue du général Koenig  51100 Reims  Médecin coordonnateur : docteur Nathalie Bednarek  Tel : 03 26 78 36 02  <a href="mailto:nbednarek@chu.reims.fr">nbednarek@chu.reims.fr</a></p> <p>CHU de Besançon  Hôpital Saint-Jacques  2 place Saint-Jacques</p>
--	--	--	--	--



			<p>25030 Besançon Cedex  Médecin coordonnateur : professeur Alain Menget  Tel : 03 81 21 81 63  <a href="mailto:rea.infantile@chu-besancon.fr">rea.infantile@chu-besancon.fr</a></p> <p>CHU de Strasbourg  1 place de l'hôpital  67091 Strasbourg Cedex  Médecin coordonnateur : docteur Didier Eyer  <a href="mailto:didier.eyer@chru.strasbourg.fr">didier.eyer@chru.strasbourg.fr</a></p> <p><b>Centre de référence</b> des maladies héréditaires du métabolisme  CHRU de Lille  Hôpital Jeanne de Flandre Clinique pédiatrie  Avenue Eugène Avinée  59037 Lille Cedex  Médecin coordonnateur : Dr Dries. Dobbelaere  Tel : 03 20 44 41 49  <a href="mailto:d-dobbelaere@chru-lille.fr">d-dobbelaere@chru-lille.fr</a></p> <p><b>Centre de référence</b> des maladies héréditaires du métabolisme  AP-HM  Hôpital des enfants de la Timone  264 rue Saint Pierre  13385 Marseille Cedex 5  Médecin coordonnateur : Pr Brigitte Chabrol  Tel : 04 91 38 48 00  <a href="mailto:bchabrol@mail.ap-hm.fr">bchabrol@mail.ap-hm.fr</a></p> <p><b>Centre de référence</b> des maladies héréditaires du métabolisme  Hôpital Femme Mère Enfant  Département de pédiatrie – unité des maladies métaboliques  59 Bd Pinel  69 677 Bron Cedex</p>	
--	--	--	---	--

				<p>Médecin coordonnateur : Dr N. Guffon Tel : 04 72 12 95 37 <a href="mailto:nathalie.guffon@chu-lyon.fr">nathalie.guffon@chu-lyon.fr</a></p> <p><b><u>Centres de compétences</u></b></p> <p>CHU de Toulouse Hôpital des Enfants 330, avenue de Grande Bretagne - TSA 70034 – 31059 TOULOUSE Cedex 9 Personne responsable : Dr Pierre. Broue Tel : 05 34 55 85 66 <a href="mailto:broue.p@chu-toulouse.fr">broue.p@chu-toulouse.fr</a></p> <p>CHRU de Tours 2 boulevard Tonnellé 37044 TOURS Cedex 9 Personne responsable : Pr François. Labarthe Tel : 02 47 47 38 18 <a href="mailto:labarthe@med.univ-tours.fr">labarthe@med.univ-tours.fr</a></p> <p>CHU Brest Hôpital Morvan 2, avenue Foch 29609 BREST Cedex Personne responsable : Pr Loic de Parscau Tel : 02 98 22 36 66 <a href="mailto:loic.deparscau@chu-brest.fr">loic.deparscau@chu-brest.fr</a></p>	
<b>CARBAGLU</b>	<b>Carglumic acid</b>	<b>Traitement de l'hyperammoniémie secondaire au déficit en N-acétylglutamate synthase</b>	<b>Orphan Europe</b>	Mêmes centres qu'Aldurazyme à l'exception du centre de référence de l'hôpital Beaujon à Clichy (médecin coordonnateur : Dr Nadia. Belmatoug)	<b>24/01/2003</b>
<b>ELAPRASE</b>	<b>Idursulfase</b>	<b>Traitement de la mucopolysaccharidose de type II (syndrome de Hunter)</b>	<b>TKT Europe</b>	Mêmes centres qu'Aldurazyme	<b>8/01/2007</b>
<b>FABRAZYME</b>	<b>Recombinant humain alpha-</b>	<b>Traitement de la maladie de Fabry</b>	<b>Genzyme</b>	Même centres qu'Aldurazyme et	<b>3/08/2001</b>

	<b>galactosidase A</b>			<p><b>Centre de référence</b> de la maladie de Fabry et des maladies héréditaires du tissu conjonctif à expression cutané-articulaire  Hôpital Raymond Poincaré  Unité fonctionnelle de génétique médicale  104, boulevard Raymond Poincaré  92980 Garches  Médecin coordonnateur : Dr Dominique-Paul Germain  Tel : 01 47 10 77 52  <a href="mailto:dominique.germain@rpc.aphp.fr">dominique.germain@rpc.aphp.fr</a></p> <p><b>et ses deux sites constitutifs :</b></p> <p>CHU de Clermont-Ferrand  Hôpital G. Montpied  30 place Henri Dunant  63000 Clermont-Ferrand  Médecin coordonnateur : Pr Pierre Clavelou  Tel : 04 73 75 22 00  <a href="mailto:pclavelou@chu-clermontferrand.fr">pclavelou@chu-clermontferrand.fr</a></p> <p>CH Toulon  Hôpital Font-Pré  1208 av Colonel Picot  83000 Toulon  Médecin coordonnateur : Patrick Collignon  Tel : 04 94 61 61 92  <a href="mailto:patrick.collignon@ch-toulon.fr">patrick.collignon@ch-toulon.fr</a></p>	
<b>NAGLAZYME</b>	<b>N-acetylgalactosamine 4 sulfatase</b>	<b>Traitement de la mucopolysaccharidose de type VI (syndrome de Maroteaux-Lamy)</b>	<b>Biomarin</b>	Mêmes centres qu'Aldurazyme	<b>24/01/2006</b>
<b>REPLAGAL</b>	<b>Agalsidase alpha</b>	<b>Traitement de la maladie de Fabry</b>	<b>TKT Europe</b>	<p>Même centres qu'Aldurazyme</p> <p>et</p> <p><b>Centre de référence</b> de la maladie de Fabry et</p>	<b>8/02/2001</b>

				<p>des maladies héréditaires du tissu conjonctif à expression cutané-articulaire  Hôpital Raymond Poincaré  Unité fonctionnelle de génétique médicale  104, boulevard Raymond Poincaré  92980 Garches  Médecin coordonnateur : Dr Dominique-Paul Germain  Tel : 01 47 10 77 52  <a href="mailto:dominique.germain@rpc.aphp.fr">dominique.germain@rpc.aphp.fr</a></p> <p><b>et ses deux sites constitutifs :</b></p> <p>CHU de Clermont-Ferrand  Hôpital G. Montpied  30 place Henri Dunant  63000 Clermont-Ferrand  Médecin coordonnateur : Pr Pierre Clavelou  Tel : 04 73 75 22 00  <a href="mailto:pclavelou@chu-clermontferrand.fr">pclavelou@chu-clermontferrand.fr</a></p> <p>CH Toulon  Hôpital Font-Pré  1208 av Colonel Picot  83000 Toulon  Médecin coordonnateur : Patrick Collignon  Tel : 04 94 61 61 92  <a href="mailto:patrick.collignon@ch-toulon.fr">patrick.collignon@ch-toulon.fr</a></p>	
<b>SOLIRIS</b>	<b>Eculizumab</b>	<p><b>Traitement des patients atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN).  Les preuves du bénéfice clinique de Soliris dans le traitement des patients atteints d'HPN sont limitées aux patients ayant un antécédent de transfusions.</b></p>	<b>Alexion Europe</b>	<p><b>Centre de référence</b> des aplasies médullaires rares  AP-HP Hôpital Saint-Louis  Service d'hématologie et des greffes de moelle osseuse  1, avenue Claude Vellefaux  75475 Paris cedex 10  Médecin coordonnateur : Pr Gérard Socié  Tel : 01 42 44 91 40</p>	

				<a href="mailto:Gerard.socie@paris7.jussieu.fr">Gerard.socie@paris7.jussieu.fr</a>	
VENTAVIS	Iloprost	Traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire primitive dans le but d'améliorer la tolérance à l'effort et les symptômes chez les patients en classe fonctionnelle III.	Schering	<p><b>Centre de référence</b> de l'hypertension pulmonaire sévère  AP-HP Hôpital Antoine Bécclère  Service de pneumologie  157, rue de la Porte de Trivaux  92141 Clamart cedex  Médecin coordonnateur : Pr Gérald Simonneau  Tel : 01 41 07 95 95  <a href="mailto:gerald.simonneau@abc.aphp.fr">gerald.simonneau@abc.aphp.fr</a></p> <p><b>Centres de compétences</b></p> <p><b>Alsace</b></p> <p>Hôpitaux Universitaires de Strasbourg  1 Place de l'Hôpital  67091 Strasbourg cedex  Personne responsable : Dr Matthieu Canuet  Tél : 03 69 55 04 45 ou 46  <a href="mailto:matthieu.canuet@chru-strasbourg.fr">matthieu.canuet@chru-strasbourg.fr</a></p> <p><b>Aquitaine</b></p> <p>CHU Bordeaux  Service de chirurgie thoracique - Hôpital du Haut Lévêque - Avenue de Magellan - 33604 PESSAC cedex  Personne responsable : Dr Claire Dromer  Tél : 05 57 65 60 09  <a href="mailto:claire.dromer@chu-bordeaux.fr">claire.dromer@chu-bordeaux.fr</a></p> <p><b>Auvergne</b></p> <p>Hôpital Gabriel Montpied  CHU Clermont-Ferrand  58 rue Montalembert BP69 63003</p>	

				<p>CLERMONT FERRAND Cedex 1          Personne responsable : Dr Claire Dauphin          Tél : 04 73 751 412  <a href="mailto:cdauphin@chu-clermontferrand.fr">cdauphin@chu-clermontferrand.fr</a></p> <p><b>Bourgogne</b></p> <p>CHU de DIJON          2 Bd Mal de Lattre de Tassigny          21079 Dijon          Personne responsable : Dr Claudio Rabec          Tél : 03 80 29 32 48  <a href="mailto:claudio.rabec@chu-dijon.fr">claudio.rabec@chu-dijon.fr</a></p> <p><b>Bretagne</b></p> <p>CHU de BREST          Hôpital de La Cavale Blanche, Boulevard          Tanguy Prigent          29609 Brest cedex          Personne responsable : Dr Irène. Frachon          Tél : 02 98 34 73 50  <a href="mailto:irene.frachon@chu-brest.fr">irene.frachon@chu-brest.fr</a></p> <p>CHU Rennes          Hôpital Pontchaillou          2 rue Henri Guillou          35033 RENNES CEDEX 3          Personne responsable : Dr Céline Chabanne          Tél : 02 99 28 24 73  <a href="mailto:celine.chabanne@chu-rennes.fr">celine.chabanne@chu-rennes.fr</a></p> <p><b>Centre</b></p> <p>CHRU de Tours          2 boulevard Tonnellé          37044 TOURS Cedex 9          Personne responsable : Pr Patrice Diot</p>	
--	--	--	--	--	--

			<p>Tél : 02.47.47.37.87  <a href="mailto:diot@med.univ-tours.fr">diot@med.univ-tours.fr</a></p> <p><b>Champagne-Ardennes</b></p> <p>CHU de Reims  Hôpital Robert Debré  Avenue du Général Koenig  51092 REIMS Cedex  Personne responsable : Pr Roland Joussaud  Tél : 03 26 78 71 92  <a href="mailto:rjaussaud@chu-reims.fr">rjaussaud@chu-reims.fr</a></p> <p><b>Languedoc-Roussillon</b></p> <p>CHU de Montpellier  Hôpital Arnaud de Villeneuve,  371, avenue doyen Gaston Giraud  34295 MONTPELLIER cedex5  Personne responsable : Dr Arnaud Bourdin  Tél : 04 67 33 60 91  <a href="mailto:a-bourdin@chu-montpellier.fr">a-bourdin@chu-montpellier.fr</a></p> <p><b>Limousin</b></p> <p>CHU de LIMOGES  Site Dupuytren  2 avenue Martin Luther King  87042 LIMOGES cedex 1  Personne responsable : Pr François Vincent  Tél : 05.55.05.86.08  <a href="mailto:francois.vincent@chu-limoges.fr">francois.vincent@chu-limoges.fr</a></p> <p><b>Lorraine</b></p> <p>Hôpitaux de Brabois  Service des Maladies Respiratoires et  Réanimation Respiratoire  Rue du Morvan</p>	
--	--	--	--	--

				<p>54511 VANDOEUVRE LES NANCY CEDEX  Personne responsable : Pr François Chabot  Tél : 03 83 15 40 21  <a href="mailto:f.chabot@chu-nancy.fr">f.chabot@chu-nancy.fr</a></p> <p><b>Midi Pyrénées</b></p> <p>CHU de TOULOUSE Hôpital Larrey  24, chemin de Pouvoirville TSA 30030 - 31059  TOULOUSE Cedex 9  Personne responsable : Dr Bruno Degano  Tél : 05 67 77 17 09  <a href="mailto:degano.b@chu-toulouse.fr">degano.b@chu-toulouse.fr</a></p> <p><b>Nord Pas de Calais</b></p> <p>CHRU de Lille  Hôpital Cardiologique  Bd du Pr Jules Leclercq  59037 LILLE CEDEX  Personne responsable : Dr Pascal de Groot  Tél : 03 20 44 50 45  <a href="mailto:pdegroote@chru-lille.fr">pdegroote@chru-lille.fr</a></p> <p><b>Basse Normandie</b></p> <p>CHU DE CAEN  Avenue Côte de Nacre  14033 CAEN cedex  Personne responsable : Dr Emmanuel Bergot  Tél : 02 31 06 46 77  <a href="mailto:bergot-b@chu-caen.fr">bergot-b@chu-caen.fr</a></p> <p><b>Haute Normandie</b></p> <p>CHU de Rouen  1, rue de Germont  76000 Rouen  Personne responsable : Dr Fabrice Bauer</p>	
--	--	--	--	---	--



				<p>Tél : 02.32.88.82.32  <a href="mailto:fabrice.bauer@chu-rouen.fr">fabrice.bauer@chu-rouen.fr</a></p> <p><b>Pays de la Loire</b></p> <p>CHU de Nantes  Hôpital Nord Laennec  route de Saint-Herblain  44100 Nantes  Personne responsable : Dr Alain Haloun  Tél : 02 40 16 52 35  <a href="mailto:alain.haloun@chu-nantes.fr">alain.haloun@chu-nantes.fr</a></p> <p><b>Poitou Charentes</b></p> <p>CHU de Poitiers  2, rue de la milétrie  CHU de POITIERS BP 577, 86 021 POITIERS  cedex  Personne responsable Pr P. Roblot et Dr.  Michèle Adoun  Tél : 05 49 44 44 22  Fax : 05 49 44 43 83  <a href="mailto:p.robLOT@chu-poitiers.fr">p.robLOT@chu-poitiers.fr</a>  <a href="mailto:m.adoun@chu-poitiers.fr">m.adoun@chu-poitiers.fr</a></p> <p><b>Provence Alpes Côte d'Azur</b></p> <p>CHU de NICE  Hôpital Pasteur  30 avenue de la voie romaine  BP 1069  06002 NICE cedex 1  Personne responsable Dr Lemoigne  Tél : 04.92.03.88.95.67  <a href="mailto:lemoigne.f@chu-nice.fr">lemoigne.f@chu-nice.fr</a></p> <p>AP-HM  Sainte Marguerite</p>	
--	--	--	--	---	--

			<p>270, bd sainte Marguerite 13009 MARSEILLE Personne responsable Pr Martine Reynaud- Gaubert Tél : 04.91.74.46.19 <a href="mailto:martine.reynaud@ap-hm.fr">martine.reynaud@ap-hm.fr</a></p> <p><b>Rhône-Alpes</b></p> <p>CHU Lyon et Grenoble Groupement Hospitalier EST - Hôpital Louis Pradel 1, place de l'hôpital 69288 Lyon CEDEX 02 Personne responsable Pr Jean-François Cordier Tél : 04 72 35 72 69 <a href="mailto:jean-francois.cordier@chu-lyon.fr">jean-francois.cordier@chu-lyon.fr</a></p> <p><b>Martinique</b></p> <p>PZQ BP 632 97261 fort de France Personne responsable Dr Jocelyn Inamo Tél : 05 96 55 21 71 <a href="mailto:Jocelyn.inamo@chu-fortdefrance.fr">Jocelyn.inamo@chu-fortdefrance.fr</a></p> <p><b>Réunion</b></p> <p>CHR site du GHSR BP 350 97448 St Pierre cedex Personne responsable Dr Patrice Poubeau Tél : 02 62 35 91 75 <a href="mailto:patrice.poubeau@chr-reunion.fr">patrice.poubeau@chr-reunion.fr</a></p> <p><b>Centre de référence</b> des malformations cardiaques complexes AP-HP Hôpital Necker - Enfants Malades Service de cardiologie pédiatrique</p>	
--	--	--	---	--

			<p>149, rue de Sèvres 75743 Paris cedex 15 Médecin coordonnateur : Pr Damien Bonnet Tel : 01 41 07 95 95 <a href="mailto:damien.bonnet@nck.aphp.fr">damien.bonnet@nck.aphp.fr</a></p> <p><b>et ses deux sites constitutifs :</b></p> <p>AP-HP Hôpital Robert Debré 48 Bd Sérurier 75019 Paris Médecin coordonnateur : Dr Jean-Marc Lupoglazof Tel : 01 40 03 22 34 <a href="mailto:jean-marc.lupoglazof@rdb.aphp.fr">jean-marc.lupoglazof@rdb.aphp.fr</a></p> <p>Centre chirurgical Marie Lannelongue 133 av de la Résistance 92350 Le Plessis Robinson Médecin coordonnateur : Pr Alain Serraf Tel : 01 40 94 85 11 <a href="mailto:aserraf@ccml.com">aserraf@ccml.com</a></p> <p><b>Centres de compétences</b></p> <p><b>Alsace</b></p> <p>Hôpital Civil - CHU 1 Place de l'Hôpital 67091 Strasbourg Personne responsable : Pr Bernard Eisenmann Tél : 03 88 11 62 43 <a href="mailto:bernard.eisenmann@chru-strasbourg.fr">bernard.eisenmann@chru-strasbourg.fr</a></p> <p><b>Aquitaine</b></p> <p>CHU BORDEAUX Service des pathologies congénitales de l'adulte</p>	
--	--	--	---	--

			<p>et de l'enfant Hôpital cardiologique du Haut-Lévêque  Avenue de Magellan  33604 PESSAC cedex  Personne responsable : Pr Jean-Benoit Thambo  Tél : 05 57 65 64 65  <a href="mailto:jean-benoit.thambo@chu-bordeaux.fr">jean-benoit.thambo@chu-bordeaux.fr</a></p> <p><b>Auvergne</b></p> <p>Hôpital Gabriel Montpied  CHU Clermont-Ferrand  58 rue Montalembert BP69 63003  CLERMONT FERRAND Cedex 1  Personne responsable : Pr Jean-René Lusson  Tél : 04 73 751 410  <a href="mailto:irlusson@chu-clermontferrand.fr">irlusson@chu-clermontferrand.fr</a></p> <p><b>Bourgogne</b></p> <p>CHU de DIJON  (Hôpital d'enfants)  10 Bd Mal de Lattre de Tassigny  21079 Dijon cedex  Personne responsable : Dr Caroline Bonnet  Tél : 03 80 29 34 14  <a href="mailto:caroline.bonnet@chu-dijon.fr">caroline.bonnet@chu-dijon.fr</a></p> <p><b>Bretagne</b></p> <p>CHU Rennes  Hôpital Pontchaillou  2 rue Henri Guillou  35033 RENNES CEDEX 3  Personne responsable : Dr Jean-Marc Schleich  Tél : 02 99 28 25 17  <a href="mailto:jean-marc.schleich@chu-rennes.fr">jean-marc.schleich@chu-rennes.fr</a></p>	
--	--	--	---	--

				<p><b>Centre</b></p> <p>CHRU de Tours  2 boulevard Tonnellé  37044 TOURS Cedex 9  Personne responsable : Pr Alain Chantepie  Tél : 02.47.47.47.55  <a href="mailto:chantepie@med.univ-tours.fr">chantepie@med.univ-tours.fr</a></p> <p><b>Champagne-Ardennes</b></p> <p>CHU de Reims  American Memorial Hospital  49 rue Cognacq Jay  51092 REIMS Cedex  Personne responsable : Pr Patrice Morville  Tél : 03 26 78 77 54  <a href="mailto:pmorville@chu-reims.fr">pmorville@chu-reims.fr</a></p> <p><b>Languedoc-Roussillon</b></p> <p>CHU de Montpellier  Hôpital Arnaud de Villeneuve  371, avenue doyen Gaston Giraud  34295 MONTPELLIER cedex5  Personne responsable : Pr Michel Voisin  Tél : 04 67 33 66 43  <a href="mailto:m-voisin@chu-montpellier.fr">m-voisin@chu-montpellier.fr</a></p> <p><b>Lorraine</b></p> <p>Hôpitaux de Brabois  Unité de chirurgie cardiaque pédiatrique  Département de Chirurgie Cardio-vasculaire et  Transplantations  Rue du Morvan  54511 VANDOEUVRE LES NANCY  Personne responsable : Pr Loïc Mace  Tél : 03 83 15 49 55</p>	
--	--	--	--	---	--

				<p><a href="mailto:l.mace@chu-nancy.fr">l.mace@chu-nancy.fr</a></p> <p><b>Midi Pyrénées</b></p> <p>CHU de TOULOUSE Hôpital des Enfants  330, avenue de Grande Bretagne - TSA 70034  31059 TOULOUSE Cedex 9  Personne responsable : Pr Yves Dulac  Tél : 05 34 55 85 96  <a href="mailto:dulac.y@chu-toulouse.fr">dulac.y@chu-toulouse.fr</a></p> <p><b>Nord Pas de Calais</b></p> <p>Hôpital Cardiologique  Bd du Pr Jules Leclercq  59037 LILLE CEDEX  Basse Normandie  Personne responsable : Pr Christian Rey  Tél : 03 20 44 50 62  <a href="mailto:crey@chru-lille.fr">crey@chru-lille.fr</a></p> <p><b>Basse Normandie</b></p> <p>CHU DE CAEN  Avenue Côte de Nacre  14033 CAEN cedex  Personne responsable : Pr Pascale Maragne  Tél : 02 31 06 63 43  <a href="mailto:maragnes-p@chu-caen.fr">maragnes-p@chu-caen.fr</a></p> <p><b>Haute Normandie</b></p> <p>CHU de Rouen  1, rue de Germont,  76000 Rouen  Personne responsable : Dr Isabelle Durand  Tél : 02.32.88.87.55  <a href="mailto:isabelle.durand@chu-rouen.fr">isabelle.durand@chu-rouen.fr</a></p>	
--	--	--	--	--	--

				<p><b>Pays de la Loire</b></p> <p>CHU de Nantes  Hôpital mère-enfant  Clinique médicale pédiatrique  7 quai Moncoussu  44093 Nantes Cedex 1  Personne responsable : Dr Véronique Gournay  Tél : 02 40 08 35 64  <a href="mailto:veronique.gournay@chu-nantes.fr">veronique.gournay@chu-nantes.fr</a></p> <p><b>Picardie</b></p> <p>CHU d'AMIENS  place V. Pauchet  80054 Amiens cedex 1  Personne responsable : Dr Amel Mathiron  Tél : 03.22.66.83.95  <a href="mailto:mathiron.amel@chu-amiens.fr">mathiron.amel@chu-amiens.fr</a></p> <p><b>Poitou Charentes</b></p> <p>CHU de Poitiers  2, rue de la milétrie  CHU de POITIERS BP 577, 86 021 POITIERS  cedex  Personne responsable Pr P. Roblot et Dr.  Michèle Adoun  Tél : 05 49 44 44 22  Fax : 05 49 44 43 83  <a href="mailto:p.roblot@chu-poitiers.fr">p.roblot@chu-poitiers.fr</a>  <a href="mailto:m.adoun@chu-poitiers.fr">m.adoun@chu-poitiers.fr</a></p> <p><b>Provence Alpes Côte d'Azur</b></p> <p>CHU de NICE  Hôpital Pasteur  30 avenue de la voie romaine</p>	
--	--	--	--	---	--

				<p>BP 1069 06002 NICE cedex 1 Personne responsable Dr Lemoigne Tél : 04.92.03.88.95.67 <a href="mailto:lemoine.f@chu-nice.fr">lemoine.f@chu-nice.fr</a></p> <p>AP-HM Sainte Marguerite 270, bd sainte Marguerite 13009 MARSEILLE Personne responsable Pr Martine Reynaud- Gaubert Tél : 04.91.74.46.19 <a href="mailto:martine.revnaud@ap-hm.fr">martine.revnaud@ap-hm.fr</a></p> <p>Hôpital La Timone 264, rue Saint-Pierre 13385 Marseille Cedex 05 Personne responsable : Pr Alain Fraisse Tel 04 91 38 67 50 <a href="mailto:alain.fraisse@ao-hm.fr">alain.fraisse@ao-hm.fr</a></p> <p><b>Rhône-Alpes</b></p> <p>Hôpital Louis Pradel 28 avenue Doyen Lépine 69677 Lyon-Bron cedex Personne responsable : Pr Sylvie di Filippo Tél : 04 72 35 78 71 <a href="mailto:sylvie.di-philippo@chu-lvon.fr">sylvie.di-philippo@chu-lvon.fr</a></p> <p>CHU de Grenoble BP 217 38043 Grenoble Cedex 09 Personne responsable : Dr Gérard Blaysat Tél : 04 76 76 94 95 <a href="mailto:gblaysat@chu-grenoble.fr">gblaysat@chu-grenoble.fr</a></p> <p><b>Martinique</b></p>	
--	--	--	--	--	--



				<p>PZQ  BP 632 97261 fort de France  Personne responsable : Dr H Lucron  Tél : 05 96 55 21 71  <a href="mailto:Hugues.lucron@chu-fortdefrance.fr">Hugues.lucron@chu-fortdefrance.fr</a></p> <p><b>Réunion</b></p> <p>CHR site CH Félix Guyon  Bellepierre  97405 Saint Denis cedex  Responsable : Dr T Attali  Tél : 02 62 90 58 34  <a href="mailto:tania.attali@chr-reunion.fr">tania.attali@chr-reunion.fr</a></p>	
<b>ZAVESCA</b>	<b>Miglustat</b>	<b>Traitement de la maladie de Gaucher</b>	<b>Oxford GlycoSciences</b>	Mêmes centres qu'ALDURAZYME	<b>20/11/2002</b>

