

## Contexte

L'utilisation hors-étiquette (hors indication ou *off-label*) ou non autorisée (sans avis de conformité ou *unlicensed*) de médicaments est fréquente en pédiatrie en raison du faible nombre d'études réalisées.

Un médicament est considéré comme émergent si :

- médicament coûteux (> 200€ par dose)
- médicament obtenu via une autorisation spéciale (ATU/PAS)
- médicament utilisé hors-indication reconnue dans la monographie

Afin d'encadrer l'utilisation des médicaments émergents, un programme de suivi a été mis en place en 2014 au centre hospitalier universitaire Sainte-Justine.

## Objectif

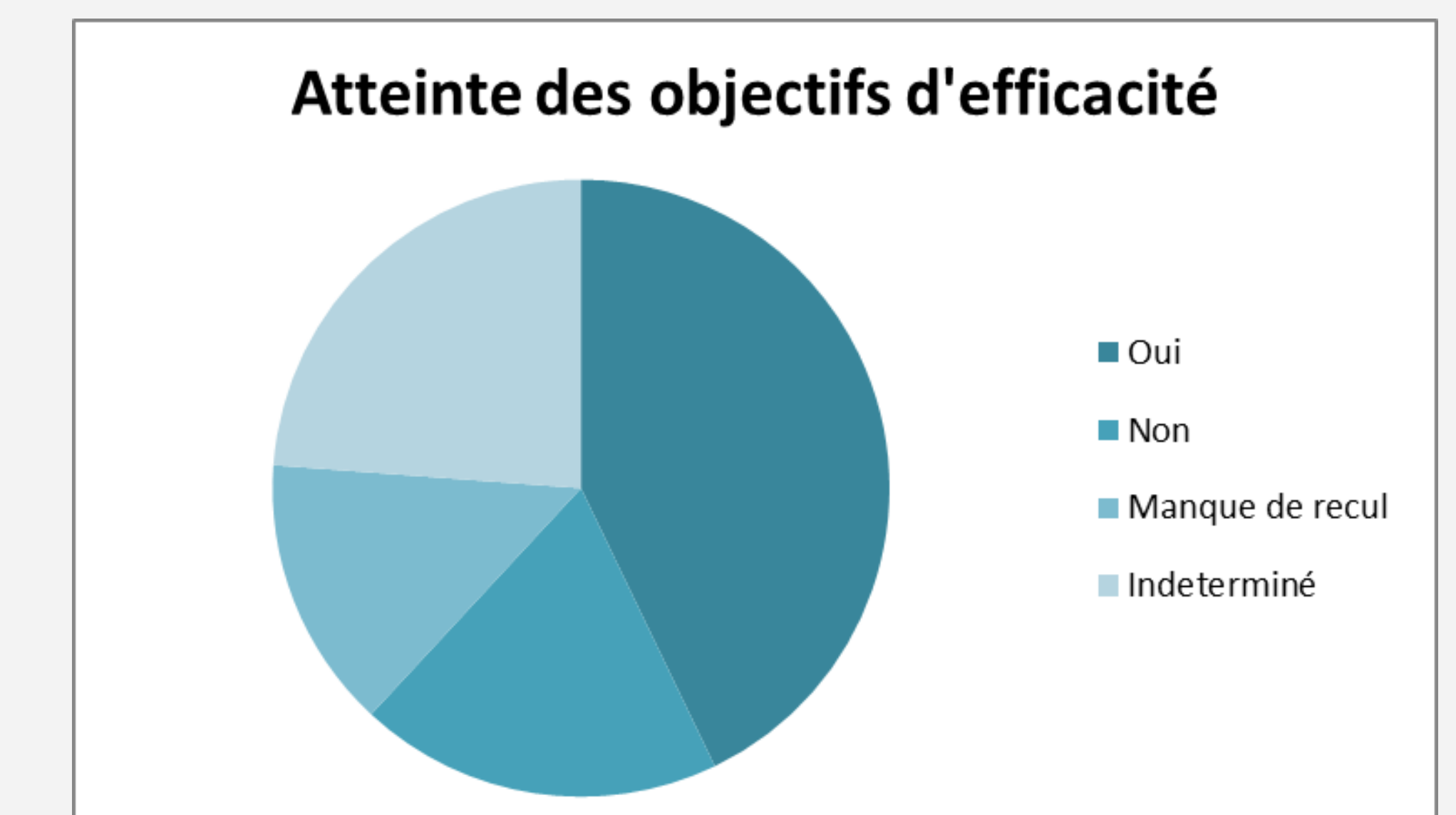
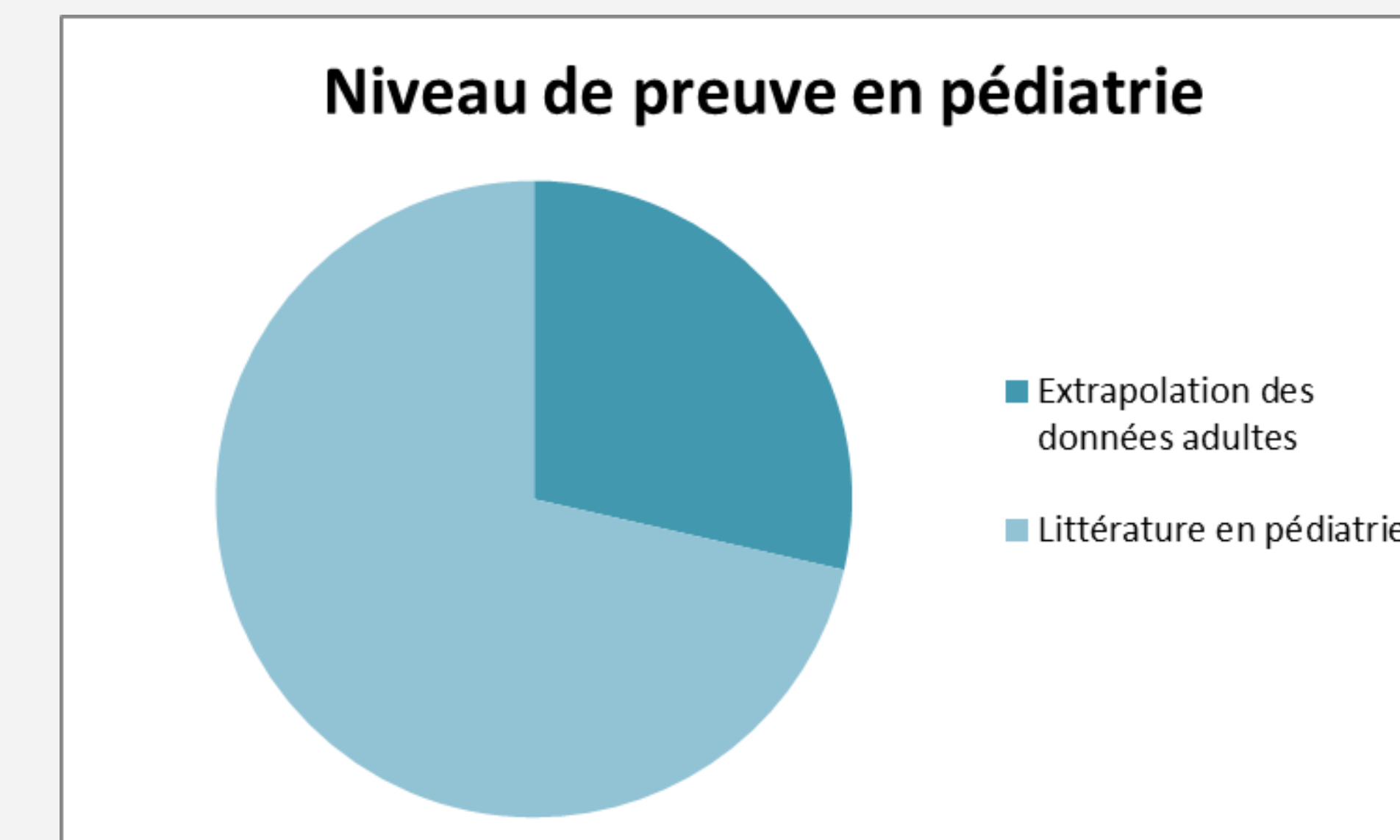
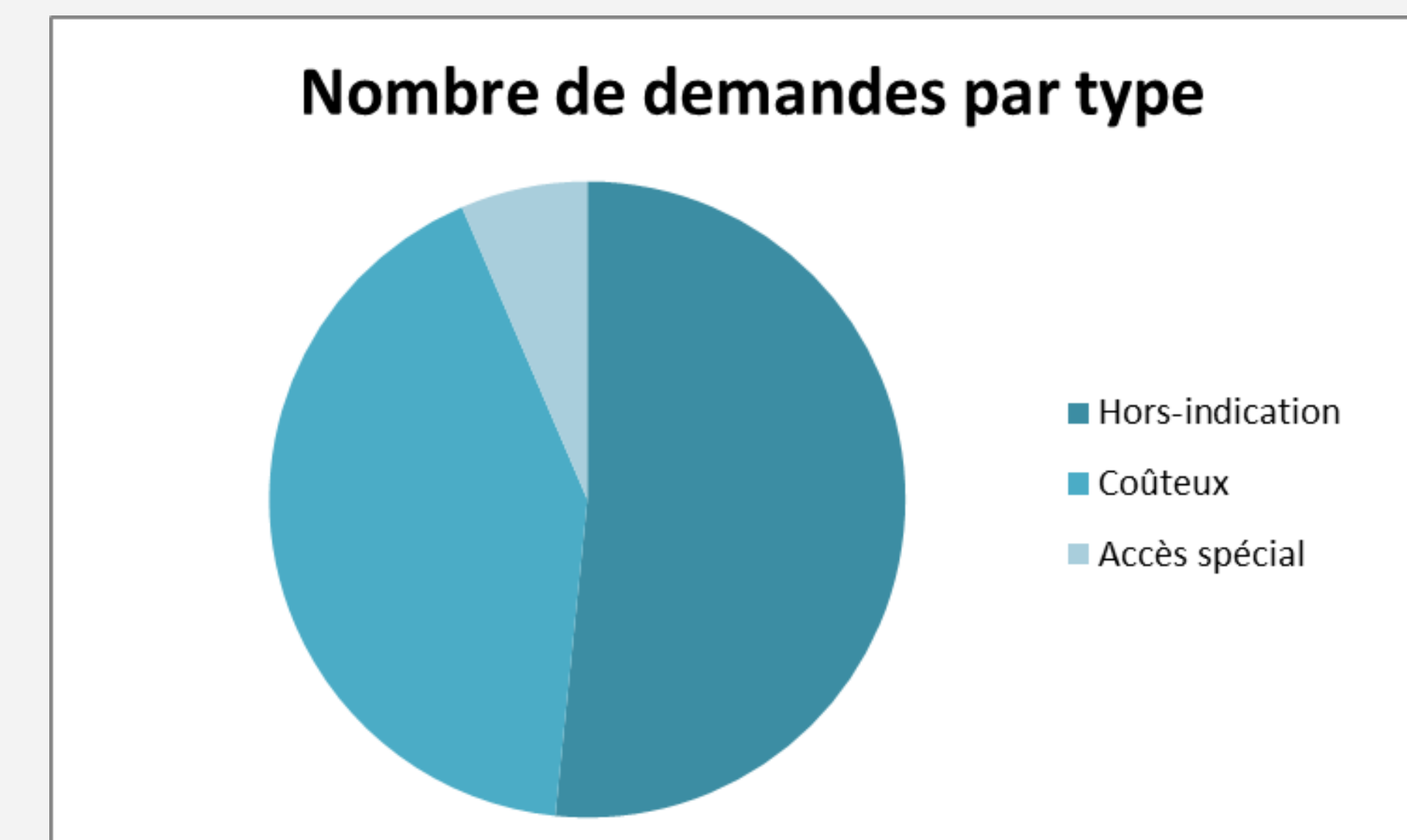
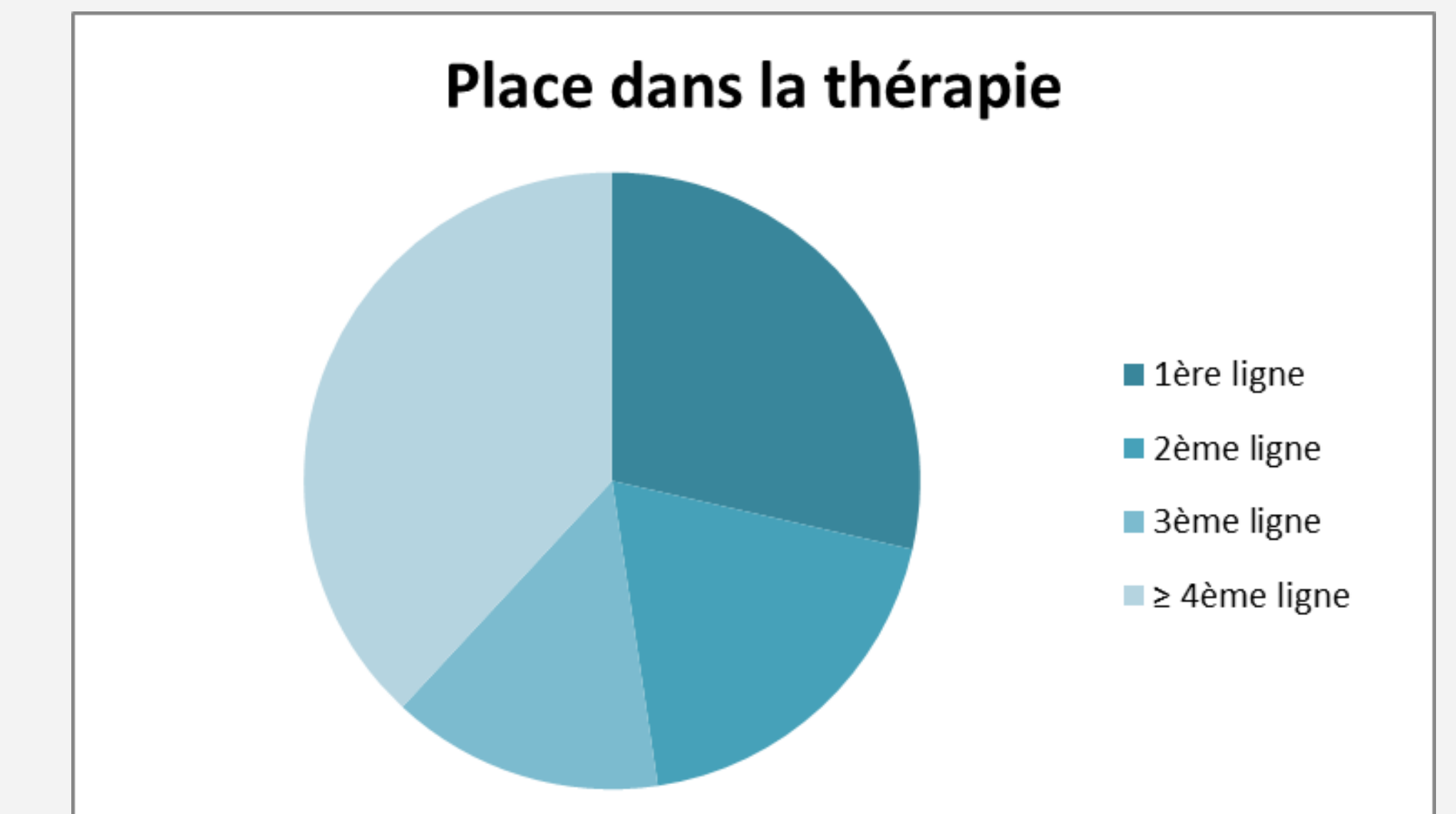
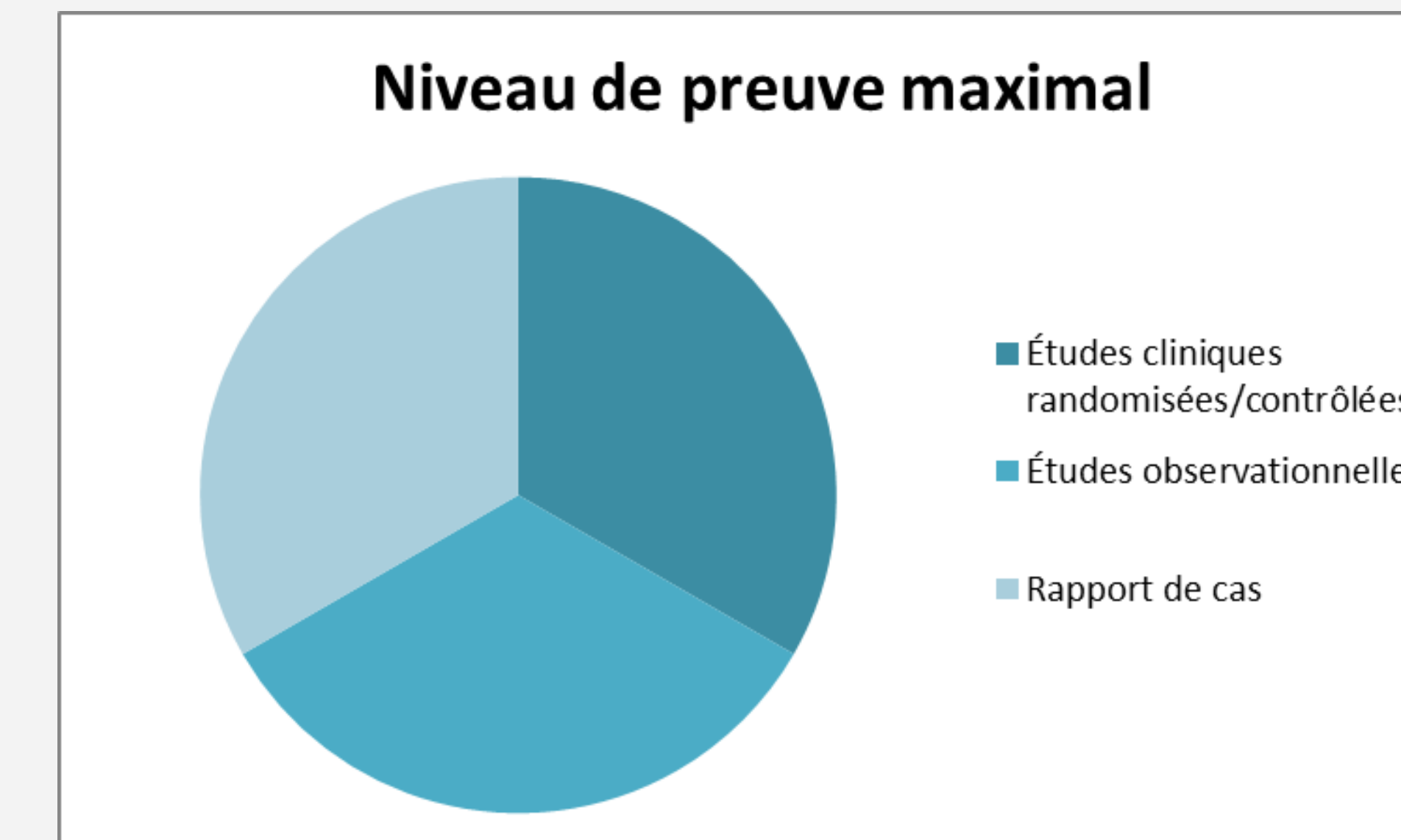
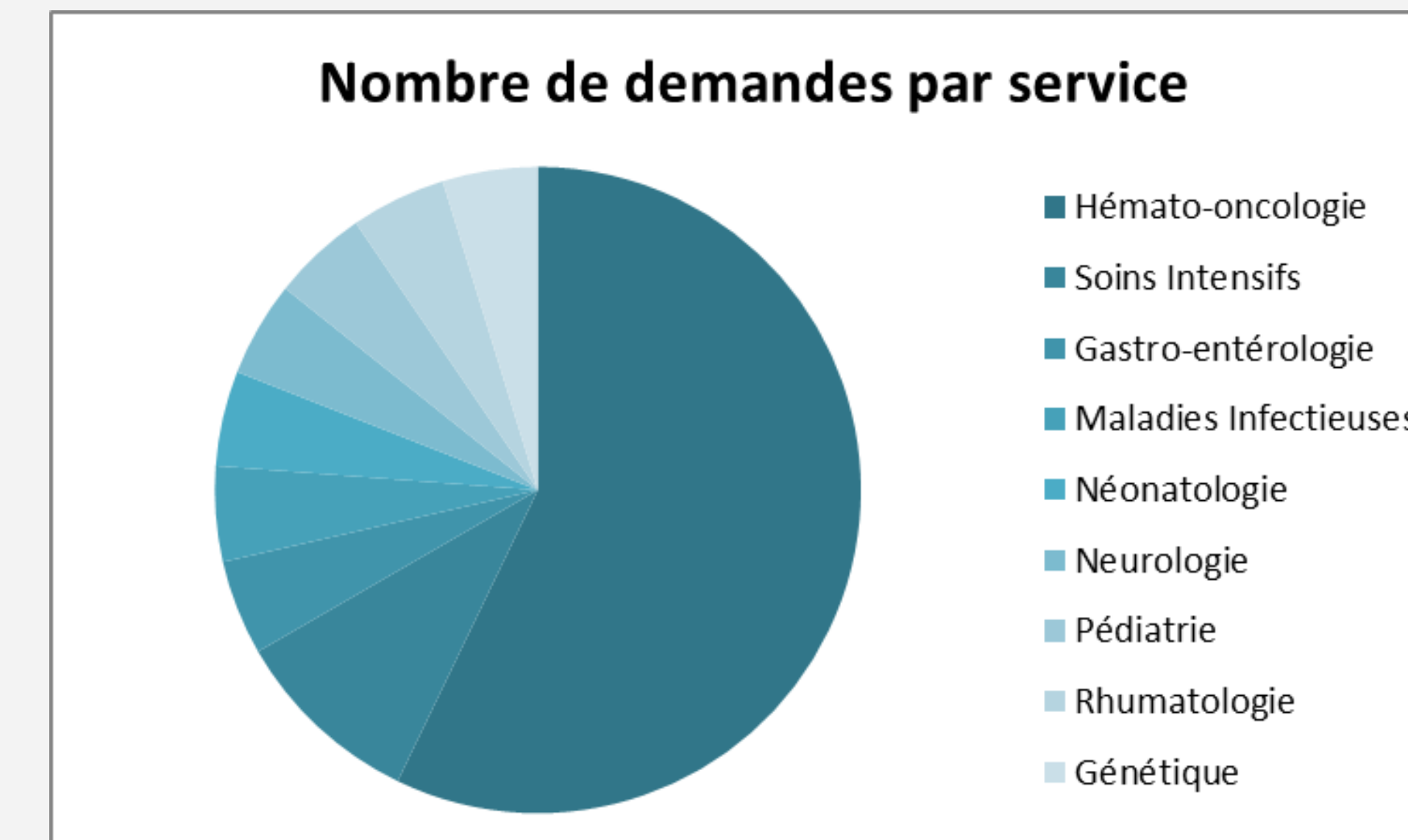
L'objectif principal de cette étude est de décrire l'encadrement réglementaire et l'utilisation des médicaments émergents dans un centre hospitalier universitaire.

## Matériels et méthodes

- Étude rétrospective descriptive.
- Centre hospitalier universitaire mère-enfant de 500 lits.
- Toutes les demandes d'utilisation de médicaments émergents reçues entre le 1<sup>er</sup> avril 2018 et le 1<sup>er</sup> février 2019 ont été incluses.
- Données extraites à partir du dossier pharmacologique informatisé.
- Étude de 12 variables relative au formulaire à compléter par le médecin-pharmacien pour une demande de « médicament émergent » :
  - ⇒ Données démographiques : service, critère d'émergence
  - ⇒ Données de littérature probante et population étudiée
  - ⇒ Place dans la stratégie thérapeutique et alternatives tentées
  - ⇒ Données d'efficacité
  - ⇒ Données d'innocuité
- Seules des statistiques descriptives ont été effectuées.

## Résultats

Au total 21 demandes de médicaments émergents ont été reçues pour 20 patients



- Le plus gros fournisseur de demandes de médicaments émergents est le service d'hémato-oncologie (57% des demandes).
- La majorité des demandes sont des demandes d'utilisation de médicaments hors-indication (52%).

- Les demandes étaient basées autant sur des études cliniques randomisées (33.3%) que sur des études observationnelles (33.3%) ou des rapports de cas (33.3%).
- La majorité des études de références ont été réalisées en pédiatrie (71%).

- La majorité des demandes concernaient des traitements de 4<sup>ème</sup> ligne ou plus (38%)
- Les objectifs d'efficacité fixés à l'initiation du traitement ont été atteints (43%), non atteints (19%), indéterminé (24%) ou manque de recul (14%).

## Discussion / Conclusion

- Pour la période étudiée, les médicaments émergents concernaient majoritairement des médicaments utilisés hors indication et le service d'hémato-oncologie ; toutes les demandes de médicaments émergents étaient justifiées par des données de la littérature et 71% de cette littérature concernait des populations pédiatriques ; le traitement s'est avéré efficace pour 43% des demandes de médicaments émergents; pour les autres demandes, le traitement s'est avéré inefficace ou l'efficacité était indéterminée ; aucune toxicité n'a été observée
- Il est possible d'encadrer l'utilisation de médicaments émergents en hôpital. Ce programme permet d'assurer un bon usage en documentant la justification et le plan de suivi compte tenu des éléments de coûts et d'incertitude.