MÉDICAMENTS ÉMERGENTS EN PÉDIATRIE : NOUVEAU PROGRAMME D'ENCADREMENT ET ÉTUDE DESCRIPTIVE SUR UNE PÉRIODE D'UN AN

Jennifer Corny[1], candidate au Pharm D, Camille Cotteret[1], candidate au Pharm D, Elaine Pelletier[1], Denis Lebel[1], B. pharm, M. Sc, Philippe Ovetchkine, MD, FRCPC[3], Jean-François Bussières[1,2], B Pharm, MSc, MBA, FCSHP

1- Département de pharmacie et URPP, CHU Sainte-Justine, Montréal (Québec) Canada; 2- Faculté de pharmacie, Université de Montréal, Montréal (Québec) Canada; 3- Département de pédiatrie, CHU Sainte-Justine, Montréal (Québec) Canada

Introduction : Les médicaments émergents (définis comme médicaments non commercialisés au Canada, utilisés hors indication, très coûteux) font partie de l'arsenal pharmacologique et représentent un défi de gestion thérapeutique. Un programme d'encadrement incluant un formulaire de demande d'accès a été élaboré afin de justifier, de documenter et de surveiller leur utilisation.

Objectifs : Décrire l'utilisation des médicaments émergents dans notre centre.

Méthodologie : Toutes les demandes de médicaments émergents reçues entre le 1er octobre 2014 et le 30 septembre 2015 ont été incluses. Les éléments analysés incluent : place dans la thérapie, niveau de preuve publié, critères de surveillance de l'efficacité et de l'innocuité, confirmation du consentement du patient et de l'approbation administrative. Une revue de littérature a été réalisée afin de retracer les données publiées sur l'utilisation de chaque médicament demandé.

Résultats : 58 demandes ont été enregistrées dans notre base de données anonymisée (48 patients). L'âge médian des patients était de 8 ans [0-18] et 53 % étaient des patients d'hémato-oncologie. Les demandes ont concerné 28 médicaments : programme d'accès spécial (n=19), hors-indication (n=36) et coûteux (n=3). Seize demandes visaient une première intention de traitement et 32 demandes visaient les 3es et 4es intentions. 38 % des demandes étaient supportées scientifiquement par des essais cliniques randomisés contrôlés. 25% des demandes étaient soutenues par des données extrapolées de l'adulte. Des critères d'efficacité et d'innocuité ont été monitorés dans 91 % des cas.

Conclusion : Le nouveau programme a permis d'améliorer la description, la justification et la surveillance de l'utilisation des médicaments émergents dans notre centre.