



La Haute Autorité de Santé (HAS) a réévalué les traitements par l'hormone de croissance prescrits aux enfants non déficitaires

La HAS

, au regard de la gravité de l'état de santé des enfants concernés, conclut en faveur du maintien au remboursement des hormones mais rappelle la nécessité de respecter un certain nombre de précautions d'usage et de s'attacher à une prise en charge globale de ces enfants

. L

e Collège de la HAS

appelle à une réflexion collective sur

la qualité de vie des personnes de petite taille, afin de contribuer à changer le regard porté sur eux

dans

notre société.

L'hormone de croissance est aujourd'hui principalement prescrite à des enfants qui présentent un déficit en hormone de croissance. Elle l'est également pour des enfants non déficitaires mais à qui la prescription d'hormone peut apporter un bénéfice quant à leur état de santé général. La réévaluation rendue publique aujourd'hui répond à cette dernière situation, qui englobe 5 indications (voir

encadré). Au cours de ce travail, les deux commissions de la HAS qui ont participé à cette réévaluation ont

abordé

trois questions principales : l'efficacité de ces traitements

,

notamment

en termes de gain de taille

chez des enfants sans déficit en hormone de croissance

; l'évaluation du sur-risque de

morbidité

et de

mortalité

; la caractérisation de la petite taille en tant que pathologie

.

Une prise en charge qui doit être globale

Dans son avis rendu public aujourd'hui, le Collège de la HAS reprend l'avis de la Commission d'Evaluation Economique et de Santé Publique (CEESP) qui a souligné l'insuffisance des données permettant de conclure quant à l'existence d'un intérêt pour la collectivité

[\[1\]](#)

du traitement de la petite taille des enfants non déficients par l'hormone de croissance.

Le Collège de la HAS rappelle que le traitement par hormone de croissance n'est pas le seul élément de la prise en charge de ces enfants et plaide pour que la petite taille soit abordée par la collectivité au travers de chacune de ses conséquences . Il peut s'agir de conséquences psychologiques, sociales ainsi que sur la qualité de vie des enfants puis des adultes, dans le cadre plus général de la lutte contre les discriminations associées au handicap et à la petite taille . L'objectif est de contribuer à changer le regard de la société sur ce sujet.

Un traitement médicamenteux à surveiller

Au-delà de cette réflexion collective sur la prise en charge de la petite taille et le regard porté par notre société sur les personnes concernées, le Collège de la HAS reprend la proposition de la Commission de la Transparence (CT) de maintenir au remboursement les huit spécialités d'hormone de croissance [\[2\]](#) réévaluées.

Dans ses conclusions, la CT conclut que l'administration de l'hormone de croissance aux enfants ne présentant pas de déficit et atteints le plus souvent de maladies rares, complexes et aux symptômes multiples (dont une petite taille) peut permettre un gain de taille variable selon les patients. Mais les preuves de cette efficacité demeurent de faible niveau et les données actuellement disponibles ne permettent ni d'infirmier ni de confirmer un sur-risque de décès à long terme.

Dans ce contexte, la Commission de la Transparence propose le maintien au remboursement de l'hormone de croissance mais appelle à la vigilance des professionnels de santé : la nécessité de discuter des avantages et des inconvénients du traitement avant son instauration, de respecter strictement les doses préconisées par l'AMM, d'arrêter le traitement après 1 an en cas d'absence de réponse au traitement et de réévaluer le traitement après 1 et après 2 ans.

Ces conclusions concordent avec celles d'autres instances d'évaluation à travers le monde

Le 19 décembre 2011, l'Agence Européenne du Médicament (EMA) confirmait le rapport bénéfice/risque favorable des spécialités d'hormone de croissance, dans le strict respect des termes de l'AMM.

Concernant la sécurité d'emploi à long terme de ces traitements, des données complémentaires de morbi-mortalité issues d'une étude paneuropéenne sont attendues à la fin de l'année 2012 en vue d'une réévaluation.

Cinq indications pour l'hormone de croissance chez les enfants non déficients

L'hormone de croissance est indiquée dans 5 cas en France

- la petite taille pour l'âge gestationnel (SGA) n'ayant pas rattrapé leur taille à l'âge de 2 ans : 300 enfants
- Le syndrome de Turner : près d'un millier d'enfants
- Le syndrome de Prader-Willi : 250 et 400 enfants
- L'insuffisance rénale chronique : quelques enfants traités, à peu près
- Le déficit en gène Shox : très peu d'enfants

[2] Genotonorm (Pfizer), Maxomat (Sanofi Aventis – plus commercialisé depuis le 31 décembre 2010), Norditropine (Novo Nordisk), Nutropinaq (Ipsen), Omnitrope (Sandoz), Saizen (Serono), Umatrope (Lilly) et Zomacton (Ferring).

[1] évalué dans l'ensemble des dimensions collectives suivantes : efficience, coût d'opportunité, coût global pour la collectivité, équité et égalité d'accès aux soins, aspects organisationnels et professionnels, effets allant au-delà de la personne traitée (i.e. externalités, pouvant être liées à la santé ou non), cohérence avec la politique de santé publique, aspects sociaux, aspects éthiques et moraux, aspects réglementaires/juridiques.

Écrit par HAS

Lundi, 30 Janvier 2012 12:58 -

Consultez les documents en ligne sur www.has-sante.fr