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 déficitaires par l'hormone de croissanc
e.

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'infirmer 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 M
édicament (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 atte
ndues à la fin de l'année 2012 en vue d'une réévaluation.

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

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

-	la petite taille pour l'âge gestationnel (SCA) n'ayant pas rattrapé leu	300 enfants nés	
-	Le syndrome de Turner	près d'un millier	d'enfa
-	Le syndrome de Prader-Willi	entre 250 et 400 enfants	en
-	L'insuffisance rénale chronique	quelques centaines d'enfants	traité s, à pe
-	Le déficit en gêne Shox	très peu	d'enfa

[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.

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