



**François Houÿez**

EURORDIS  
Plateforme Maladies Rares  
96 rue Didot  
F-75014 Paris  
+331 56 53 52 18

**M. Nicolas Revel**

Directeur Général  
Caisse Nationale d'Assurance Maladie  
50, avenue du Professeur André Lemierre  
75986 Paris Cedex 20

Objet : Accès aux soins dans un autre Etat Membre – Enfant Lysiane Pakter

**Monsieur le Directeur Général,**

EURORDIS, l'Organisation Européenne des Maladies Rares, défend les droits des malades en ce qui concerne l'accès aux soins dans un autre Etat Membre de l'Union Européenne et de l'Espace Economique Européen, entre autres activités.

A ce titre, EURORDIS soutient les démarches des parents de Lysiane Pakter face au refus de l'Assurance Maladie de leur demande de soins médicaux programmés en Allemagne.

Lors des débats au Parlement européen pour l'adoption de la Directive 2011/24/UE du 9 mars 2011 relative à l'application des droits des malades en matière de soins de santé transfrontaliers, EURORDIS a défendu l'adoption de la Directive du fait des limites du Règlement 883/2004 et du formulaire S2 que nous avons identifiées.

L'imprécision du Règlement 883/2004 dans certaines situations a conduit la Cour de Justice Européenne à faire jurisprudence à plusieurs reprises, par exemple dans son arrêt 157/99, 12/07/2001 Geraets- Smits. Cette jurisprudence abondante a conduit les autorités européennes à combler le vide juridique en adoptant la Directive 2011/24/UE.

En aucun cas la transposition nationale de la Directive ne doit représenter une régression du droit par rapport à la jurisprudence de la Cour. Dans l'arrêt Geraets-Smits, la CJUE stipule que :

- L'autorisation préalable ne peut pas être refusée si le traitement est suffisamment éprouvé et validé par la science médicale internationale et

- L'autorisation préalable peut être refusée lorsqu'un traitement identique ou présentant le même degré d'efficacité pour le patient peut être obtenu en temps opportun auprès d'un établissement ayant conclu une convention avec la caisse de maladie dont relève l'assuré (absence de nécessité médicale)

### **La transposition de la Directive dans le droit français**

Dans le Code de Santé Publique, l'article R160-2 modifié par Décret n°2017-736 du 3 mai 2017 - art. 1 stipule que :

II.- L'autorisation ne peut être refusée lorsque les conditions suivantes sont réunies :

1° La prise en charge des soins envisagés est prévue par la réglementation française ;

2° Ces soins sont appropriés à l'état de santé du patient ;

3° Un traitement identique ou présentant le même degré d'efficacité ne peut pas être obtenu en France dans un délai acceptable sur le plan médical, compte tenu de l'état de santé actuel du patient et de l'évolution probable de son affection.

### **Au sujet de Lysiane**

**En ce qui concerne le point 1°** : les soins utilisant des techniques chirurgicales (ostéogénèse par distraction de la mâchoire, étirement de la mâchoire, trachéostomie, pose d'un tube nasopharyngé...) pour traiter le syndrome de Pierre Robin sont prévus par la réglementation française. La collectivité a pris les dispositions pour que les enfants naissant avec ce syndrome soient traités. Une technique, la labioglossopexie consiste à coudre l'extrémité de la langue du bébé sur la lèvre inférieure, avec un taux d'échec élevé, dû à la déchirure de la langue ou de la lèvre. Si ce type de soin est prévue par la réglementation française, alors une méthode alternative non chirurgicale, non invalidante et en un mot non barbare, comme la plaque de palais de Tübingen avec extension vélaire mérite tout autant de l'être.

**En ce qui concerne le point 2°** : les travaux listés en annexe attestent d'une plus grande efficacité de la Plaque de Palais proposée en Allemagne.

**En ce qui concerne le point 3°** : la Plaque de Palais doit être implantée dans des délais très brefs après la naissance, délais qui ne permettent pas au système de soins français d'acquérir cette technique sans exposer l'enfant à une perte de chance.

Le traitement proposé en Allemagne (Plaque de Palais de Tübingen avec extension vélaire) est indiqué pour traiter les troubles de la déglutition et de la ventilation au cours du syndrome de Pierre Robin, mais c'est le seul point commun avec les traitements proposés en France. Ceux-ci ne sont pas identiques : ventilation mécanique externe avec toutes les limitations des mouvements que cela impose à un très jeune enfant, ou intervention chirurgicale complexe et douloureuse. Ainsi, Lysiane était hospitalisée en France 5 semaines consécutives en soins intensifs, sans aucune sortie envisagée ou bien en hospitalisation à domicile avec ventilation assistée.

Outre plus, les soins dispensés en France semblent moins efficaces que la Plaque de Palais : les auteurs de l'étude prospective (1) concluent : « Cette étude de cohorte longitudinale et prospective confirme l'efficacité de la Plaque de Palais pour l'amélioration de l'obstruction des voies aériennes supérieures et la prise de poids chez des enfants hospitalisés pour le syndrome de Pierre Robin ».

Enfin ce traitement par implant a été testé par différentes équipes, et un tiers des enfants naissant avec le syndrome de Pierre Robin en Allemagne en bénéficient déjà (voir sélection d'articles scientifique en annexe).

Si l'avis d'experts français est qu'il convient de mener des essais comparatifs contrôlés avant toute décision de prise en charge, nous tenons à réfuter l'idée d'une comparaison directe. Cela n'est tout simplement plus éthiquement possible. Les données de comparaison avec contrôles historiques permettent de comparer les méthodes (comparaison indirecte).

Les auteurs de l'étude citée (Multicenter study on the effectiveness of the pre-epiglottic baton plate for airway obstruction and feeding problems in Robin sequence. Poets et al. Orphanet Journal of Rare Diseases (2017) 12:46) l'expliquent: la mesure du gain de poids avec les différentes méthodes permet de comparer leur efficacité relative.

Sur cette base, la méthode TPP est au moins aussi efficace que les autres, voire meilleure. Et en tous cas, en termes de confort pour l'enfant, de qualité de vie, de sécurité aussi, elle leur est supérieure.

Aussi, l'équipoise n'est plus réalisée, en tous cas en Allemagne, où médecins et parents sont informés des différentes techniques disponibles. Aucun médecin ne souhaitera conduire un essai clinique randomisé avec affectation par tirage au sort de la méthode à utiliser pour chaque enfant. L'état des connaissances en la matière ne le permet plus, car ils sont déjà convaincus de la supériorité globale de la méthode TPP. Les parents le refuseraient également.

*"Clearly, a controlled study design would have been preferable. This, however, was impossible in participating centres, as there was no longer equipoise among team members. (However, we tried everything possible to minimize other potential sources of bias and thus consider our results valid against a background of studies performed in patients with rare conditions.)"*

### **Ce que préconise EURORDIS dans le cas général**

En ce qui concerne la transposition de la Directive 2011/24/UE par les Etats Membres, EURORDIS a préconisé les principes suivants :

- Efficacité : les mesures prises par les Etats-Membres doivent être de nature à aider les citoyens dans leurs démarches, et les administrations sanitaires doivent se mettre au service des citoyens pour faciliter l'accès à leur droit
- Proportionnalité : la Directive encadre le régime d'autorisation préalable en le limitant à ce qui est nécessaire et proportionné à l'objectif poursuivi et ne peut

constituer un moyen de discrimination arbitraire ni une entrave injustifiée à la libre circulation des patients conformément à son article 8.1

- Justice : le régime d'autorisation préalable doit permettre au demandeur d'exposer sa demande, d'introduire un recours si refus, et l'administration doit s'enquérir auprès d'experts connaissant la maladie en question avant d'autoriser ou non le malade à recourir à des soins à l'étranger

Dans l'intérêt des citoyens français, EURORDIS vous demande de suivre ces principes. La Directive a été adoptée précisément afin de permettre à des malades d'accéder aux soins les plus efficaces proposés dans l'Union Européenne, même si ces soins ne sont pas disponibles dans leur Etat Membre d'affiliation.

Selon les experts traitant les enfants atteints de la séquence de Pierre Robin : « Si les troubles fonctionnels sont bien compensés pendant la première année de vie, l'évolution est favorable. Les troubles alimentaires et respiratoires, ainsi que la glossoptose, s'améliorent au cours des 2 premières années de vie, la croissance mandibulaire corrige le rétrognathisme en 3 à 6 ans. La fente palatine peut être fermée chirurgicalement avant 9 mois. Le pronostic neurologique de ces enfants est alors bon ».

EURORDIS vous invite à considérer d'urgence la situation de cet enfant et des autres dans le même cas afin de faciliter leur droit d'accéder à des soins de qualité. A défaut, cela risquerait d'entraîner une perte de chances avec un retentissement considérable tout au long de leur vie.

Avec mes respectueux hommages, je vous prie d'agréer, Monsieur l'expression de ma considération la plus distinguée.



François Houyez, Directeur de l'Accès aux Soins  
[francois.houyez@eurordis.org](mailto:francois.houyez@eurordis.org)

EURORDIS  
17 Novembre 2017

Copie: Mme Emmanuelle Lafoux, Directrice Générale, Caisse Primaire d'Assurance Maladie de Lyon

Annexe

**1. Multicenter study on the effectiveness of the pre-epiglottic baton plate for airway obstruction and feeding problems in Robin sequence.**

Poets CF, Maas C, Buchenau W, Arand J, Vierzig A, Braumann B, Müller-Hagedorn S. In *Orphanet J Rare Dis*. 2017 Mar 9;12(1):46. doi: 10.1186/s13023-017-0602-8.

**2. Functional treatment of airway obstruction and feeding problems in infants with Robin sequence.**

Buchenau W, Wenzel S, Bacher M, Müller-Hagedorn S, Arand J, Poets CF in *Arch Dis Child Fetal Neonatal Ed*. 2017 Mar;102(2):F142-F146. doi: 10.1136/archdischild-2016-311407. Epub 2016 Jul 19.

**3. Initial treatment and early weight gain of children with Robin Sequence in Germany: a prospective epidemiological study.**

Maas C, Poets CF in *Arch Dis Child Fetal Neonatal Ed*. 2014 Nov;99(6):F491-4. doi: 10.1136/archdischild-2014-306472. Epub 2014 Aug 27.

**4. Airway and feeding problems in infants with Fairbairn-Robin triad deformities.**

du Plessis SM, van den Berg HJ, Bütow KW, Hoogendijk CF. *Curationis* 2013;36(1):E1-9.

**5. The influence of the Tübingen soft palate plate and early cleft closure on the nasopharyngeal airway for the management of airway obstruction in an infant with Pierre Robin sequence: A case report.**

Gerzanic LI, Feichtinger M, Kärcher H in *Int J Surg Case Rep*. 2012;3(12):608-10. doi: 10.1016/j.ijscr.2012.08.011. Epub 2012 Aug 31.