



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

Méthode d'élaboration des PNDS

21 juin 2017

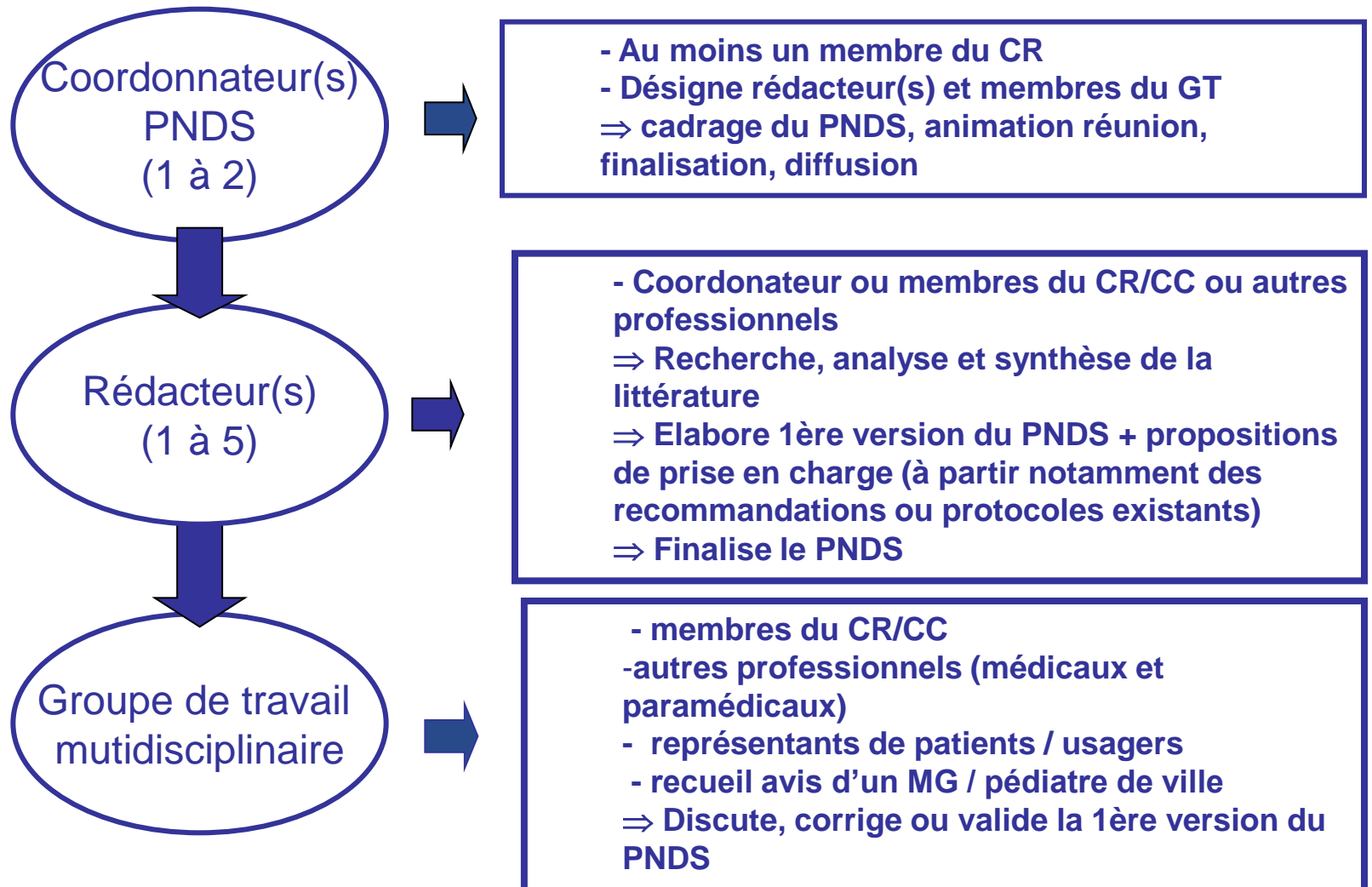
Proposer une méthode adaptée

- PNDS ➔ domaine de la bonne pratique
- S'appuyer sur l'expertise des professionnels des centres de référence et de compétences
- Intégrer systématiquement les représentants de patients et d'usagers dans les groupes de travail

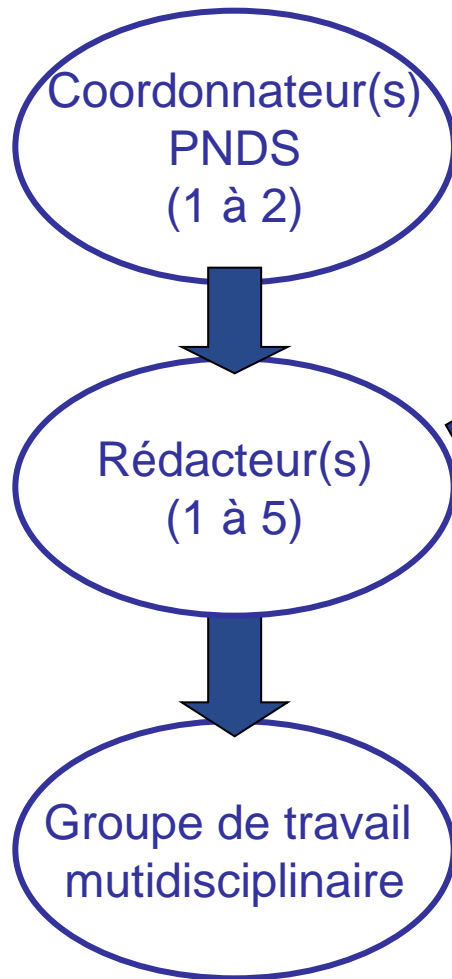


- Fournir une méthode adaptée et simplifiée, tenant compte :
 - des recommandations déjà élaborées par les centres de référence maladies rares, dépositaires de connaissances et de compétences scientifiques expertes,
 - en intégrant et adaptant au contexte français le cas échéant les recommandations établies par des experts étrangers
- Remplacer la validation des PNDS par un audit
- Mettre sur le site de la HAS les PNDS et les audits produits

Acteurs



Acteurs et productions

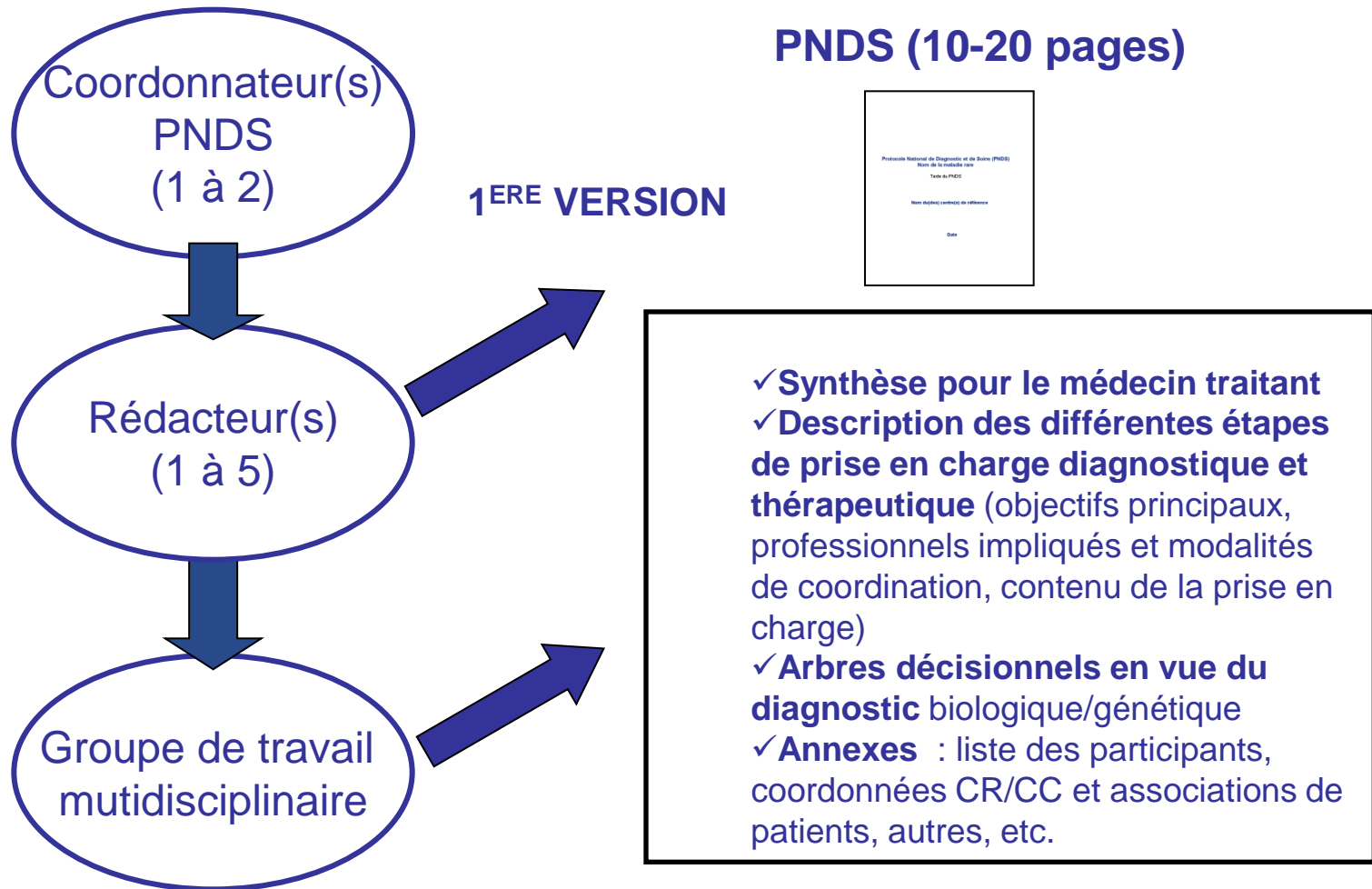


Argumentaire

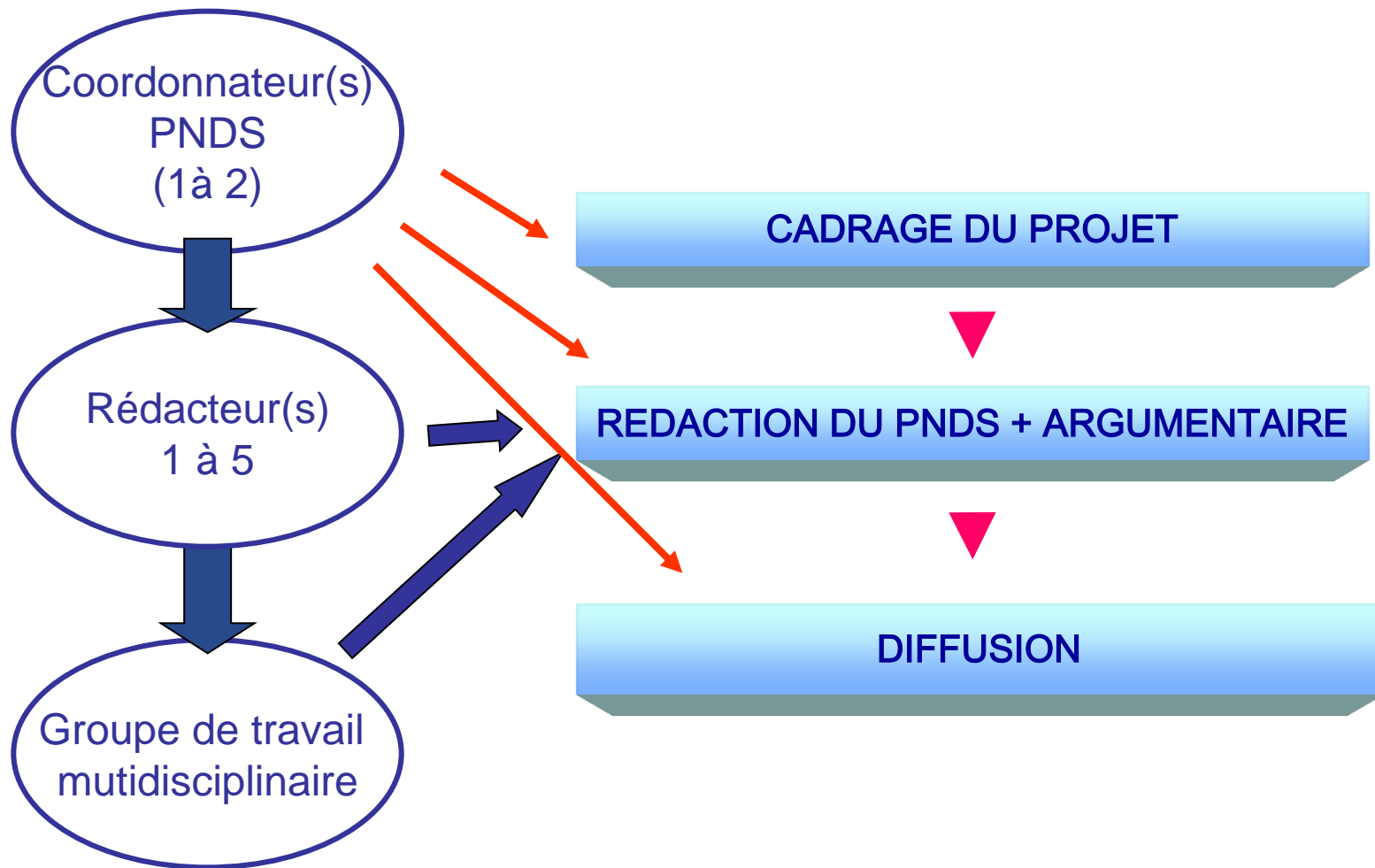
Protocole National de Diagnostic et de Soins (PNDS) Nom de la maladie rare Argumentaire Nom du/des centre(s) de référence Date
--

- ✓ **Informations sur les modalités de réalisation du PNDS** (stratégie de recherche documentaire, liste des participants, modalités de concertation du groupe d'experts, etc.)
- ✓ **Analyse ciblée et synthèse de la littérature**, dont médicaments ou dispositifs hors AMM, de diffusion récente, de rapport bénéfique/risque incertain, coûteux, examens invasifs ou irradiants, éléments de la prise en charge non consensuels parmi les experts, etc.
- ✓ **Liste des références bibliographiques**

Acteurs et productions



Méthode en 3 étapes



Méthode en 3 étapes

– Etape 1 : Cadrage du projet

- le champs du PNDS (questions incluses et non incluses, populations et/ou situations particulières, etc.)
- les éléments de prise en charge nécessitant une recherche/analyse bibliographique
- les rédacteurs, la composition du groupe d'experts
- le calendrier prévisionnel

⇒ **Envoi déclaration d'intention à la HAS**

– Etape 2 : Rédaction du PNDS avec son argumentaire

- Groupe d'experts multidisciplinaire avec une ou plusieurs réunions physiques (visioconférence ou E-meeting possible)
- Possibilité de recueil de l'avis de certains experts par courrier avant la réunion
- Finalisation du PNDS par les rédacteurs et le (s) coordonnateur(s)

⇒ **Envoi PNDS finalisé à la HAS**

– Etape 3 : Diffusion du PNDS

PNDS mis en ligne :

- sur le site de la HAS (modèle mise à disposition)
- sur le site du centre de référence (avec l'argumentaire)

Hors AMM

- **Le PNDS doit mentionner que l'indication (ou les conditions d'utilisation) est (sont) hors AMM ++**

- **Possibilité de prescription en l'absence d'alternative :**
 - Si existence d'une Recommandation Temporaire d'Utilisation (RTU) ou si spécialité jugée indispensable par le médecin
 - Information du patient nécessaire
 - Mention « prescription hors AMM » sur l'ordonnance + motif de la prescription dans le dossier médical

- **Argumentaire scientifique : inclure les données sur le rapport bénéfice- risque**

- **Chapitre spécifique intégré dans le modèle**

Financement / gestion des conflits d'intérêt

- Financement du PNDS indépendant de industries de santé
- Déclaration d'intérêt pour tous les participants (coordonnateur(s), rédacteur(s), experts multidisciplinaires)
- Analyse des déclarations d'intérêts conformément au guide HAS en vigueur

2 pages dédiées aux PNDS sur le site HAS

- 1 Page : Liste des PNDS produits par les centres de référence + audits
- 1 Page destiné aux centres de référence : méthode + grille d'évaluation de la qualité méthodologique + modèle de PNDS + modèle de déclaration d'intérêts

Protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS)

La production de protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS) par les experts des centres de référence maladies rares a été prévue initialement dans le premier plan national maladies rares 2005-2008 et a été confirmée dans le deuxième plan national maladies rares 2011-2014 à l'aide d'une [méthode proposée par la Haute Autorité de Santé \(HAS\)](#).

L'objectif d'un PNDS est d'explicitier aux professionnels concernés la prise en charge diagnostique et thérapeutique optimale actuelle et le parcours de soins d'un patient atteint d'une maladie rare donnée. Il a pour but d'optimiser et d'harmoniser la prise en charge et le suivi de la maladie rare sur l'ensemble du territoire.

Le PNDS peut servir de référence au médecin traitant (médecin désigné par le patient auprès de la Caisse d'assurance maladie) en concertation avec le médecin spécialiste notamment au moment d'établir le protocole de soins conjointement avec le médecin conseil et le patient, dans le cas d'une demande d'exonération du ticket modérateur au titre d'une affection hors liste.

Le tableau ci-dessous reprend l'ensemble des PNDS élaborés par les centres de référence avec accompagnement de la HAS.

Pour chacun d'entre eux une date de validation est indiquée ainsi qu'un pictogramme de statut du PNDS.

Les synthèses destinées au médecin généraliste traitant sont disponibles sur [une page spécifique](#).

La HAS se réserve le droit de procéder à un [audit](#) de la qualité méthodologique de quelques PNDS.

Légende des pictogrammes :



PNDS de moins
de 5 ans



PNDS de
plus de 5 ans



PNDS en cours
d'actualisation



PNDS archivé

PNDS élaborés par les centres de référence			
N°	Titre du PNDS	Date de mise en ligne	Statut
88	Purpura thrombopénique immunologique	08/06/2017	

Synthèses destinées au médecin généraliste traitant

Sont présentées sur cette page les synthèses destinées au médecin généraliste traitant des PNDS disponibles sur le site de la HAS.

Documents

- > [PNDS 1 - Mucoviscidose - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 302,17 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 7 - Vascularites nécrosantes systémiques - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 285,24 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 8 - Hypertension artérielle pulmonaire \(HTAP\) - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 131,49 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 9 - Syndrome de Turner - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 155,3 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 10 - Maladie de Wilson - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 275,23 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 13 - Syndromes de Marfan et apparentés - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 124,09 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 14 - Syndromes thalassémiques majeurs et intermédiaires - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 250,79 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 15 - Cardiopathies congénitales complexes - Tétralogie de Fallot et l'atrésie pulmonaire à septum ouvert \(APSO\) - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 268,13 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 16 - Cardiopathies congénitales complexes - Truncus arteriosus - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 270,25 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 17 - Cardiopathies congénitales complexes - Transposition simple des gros vaisseaux \(TGV\) - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 270,85 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 18 - Atrésie de l'oesophage - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 287,88 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 19 - Sclérodermie systémique - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 281,9 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 20 - Syndrome de Cushing - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 283,55 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 21 - Aplasie médullaire - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 118,33 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 23 - Maladie de Rendu-Osler - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 149,45 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 25 - Purpura thrombopénique immunologique de l'enfant et de l'adulte - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 311,21 Ko) 🎧 Écouter
- > [PNDS 27 - Syndromes drépanocytaires majeurs de l'enfant et de l'adolescent - Synthèse à destination du médecin traitant](#) (📄 143,76 Ko) 🎧 Écouter

Méthode d'élaboration des Protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS)

L'axe A-3 du [plan 2011-2014](#) prévoit l'élaboration de PNDS par les centres de référence et de compétence, à l'aide d'une méthode proposée par la Haute Autorité de Santé (HAS) :

- ⊗ reposant « sur la recherche des preuves scientifiques et sur la concertation de tous les acteurs concernés » ;
- ⊗ prenant en compte les recommandations ou protocoles français ou internationaux existants (adaptés au contexte français le cas échéant).

Tout centre de référence souhaitant élaborer un PNDS doit :

- ⊗ compléter une [déclaration d'intention](#) d'élaboration de PNDS puis l'adresser à la HAS ;
- ⊗ se référer au guide méthodologique HAS 2012 « [Méthode d'élaboration d'un protocole national de diagnostic et de soins pour les maladies rares](#) » qui décrit les principes méthodologiques et le processus d'élaboration d'un PNDS. Le guide 2012 actualise le guide « Méthode d'élaboration du protocole national de diagnostic et de soins et de la liste des actes et prestations par le centre de référence d'une maladie rare » publié par la HAS en mars 2006.

Une [grille d'évaluation](#) de la qualité méthodologique d'un PNDS est proposée. C'est un outil d'aide à l'élaboration du PNDS, auquel peuvent se référer les centres de référence et de compétence tout au long du projet.

Une fois finalisé, le PNDS ainsi produit par le centre de référence est mis en ligne sur le site de la HAS mais il ne fait pas l'objet d'une validation par les instances de la HAS. En revanche, la HAS se réserve le droit de procéder ponctuellement et de façon aléatoire (tirage au sort) à l'évaluation de la qualité méthodologique de quelques PNDS, en se référant au guide méthodologique HAS 2012 et à la grille d'évaluation mentionnée ci-dessus ([Audit des PNDS](#)).

Le PNDS et son argumentaire scientifique doivent être adressés à la HAS sous un format spécifique. (Format [Texte PNDS](#) - Format [Argumentaire scientifique PNDS](#))

Dans un souci de transparence, de prévention et de gestion des conflits d'intérêts, tous les participants à l'élaboration du PNDS (coordonnateur(s), rédacteur(s), membres du groupe de travail) doivent remplir une [déclaration d'intérêt](#). Les déclarations d'intérêts doivent être analysées et prises en compte, en vue d'éviter les conflits d'intérêts, conformément au guide HAS « [Guide des déclarations d'intérêts et de gestion des conflits d'intérêts](#) ».

> Documents complémentaires