



Critères d'initiation et de poursuite du remboursement de STRENSIQ

Le remboursement de STRENSIQ est soumis aux conditions publiées sur <https://spezialitaetenliste.ch/>, notamment la confirmation d'un diagnostic de HPP. Les tableaux ci-dessous précisent les critères d'éligibilité initiaux et de maintien du remboursement en fonction de l'âge. Les courbes des paramètres sont déterminantes pour l'évaluation, dans la mesure où elles sont attribuables à l'HPP. Les écarts de valeur dus à des événements intercurrents (p. ex. infections aiguës, blessures, opérations, immobilisation) doivent être documentés avec la date et la cause et ne sont pas pris en compte dans la décision de remboursement.

L'évaluation de l'utilité thérapeutique et du remboursement s'effectue en deux phases. Au cours du traitement initial (TI) (première année de traitement ; pour les patients périnataux/infantiles, avec examen intermédiaire au sixième mois), la réponse initiale à l'asfotase alfa est évaluée. À partir de la deuxième année de traitement commence le traitement d'entretien (TE), dans lequel le remboursement est basé sur le maintien du bénéfice cliniquement pertinent obtenu. L'attribution au TI ou au TE dépend exclusivement de la durée du traitement déjà effectué, indépendamment de l'âge.

L'évaluation du remboursement est basée sur l'âge : ce sont les domaines et les critères du groupe d'âge actuel qui sont déterminants, et non l'apparition initiale des symptômes. Si un patient passe dans un nouveau groupe d'âge (6 mois / 5 ans / 18 ans), les critères correspondants adaptés à l'âge sont appliqués ; la première valeur mesurée valide dans le nouveau critère introduit sert de référence pour les évaluations ultérieures au sein de ce groupe d'âge.

Un changement de critères n'est pas autorisé en dehors d'un changement de groupe d'âge. Dans les domaines avec des critères alternatifs (logique OU), seul le paramètre de référence qui remplissait le domaine correspondant au début du traitement (paramètre de référence) est déterminant pour l'évaluation TI/TE. Les paramètres alternatifs du même domaine qui n'ont pas été relevés ou qui n'ont pas été remplis ne peuvent pas être utilisés a posteriori pour remplir les critères TI/TE du domaine.

Au début du traitement, les mesures de référence prévues sont relevées et documentées dans chaque domaine. Seuls les critères de mesure relevés lors de la référence sont déterminants pour l'évaluation dans les domaines TI et TE; dans les domaines avec logique OU, le paramètre de référence qui a été atteint dans le domaine au début du traitement sert de référence. Il n'est pas permis de modifier le paramètre de référence ou d'ajouter des critères de mesure alternatifs afin de satisfaire a posteriori aux conditions TI/TE. Le passage à une nouvelle tranche d'âge en raison de l'âge fait exception à cette règle : dans ce cas, les instruments de mesure adaptés à l'âge sont introduits et la première valeur de mesure valide obtenue avec le nouvel instrument sert de référence pour la suite de l'évaluation.

Cas particuliers:

Pour les patients périnataux/infantiles, l'évaluation initiale jusqu'au 12e mois est effectuée selon les critères de ce groupe ; à partir du traitement d'entretien (à partir de la 2e année), l'évaluation est effectuée selon le groupe d'âge actuel.

Si un changement de groupe d'âge intervient au cours de la première année de traitement, le paramètre de référence de base déterminé au début du traitement et correspondant au domaine concerné reste déterminant pour l'évaluation TI après 12 mois. Le changement de tranche d'âge ne remplace pas le contrôle d'amélioration TI. Les instruments adaptés à l'âge de la nouvelle tranche d'âge sont introduits en complément et leur première valeur mesurée valide sert de référence pour le TE à partir de la deuxième année. Si les instruments ne sont plus applicables en raison de l'âge, l'instrument de remplacement prévu du même domaine s'applique.



Groupe I : périnatal / infantile (de la naissance jusqu'au 6e mois)

Domaine	Critères de démarrage	Poursuite du traitement après le traitement initial	Poursuite du traitement Traitement d'entretien
	1 domaine doit être rempli	2 domaines sur 3 doivent être remplis	
Survie	<ul style="list-style-type: none"> Apparition périnatale sans autre restriction <u>ou</u> Début infantile (0 à 6 mois) sans autre restriction. 	<ul style="list-style-type: none"> Survie 	<ul style="list-style-type: none"> Évaluation à partir de la 2e année de traitement selon les critères de traitement d'entretien du groupe II (6 mois - < 5 ans).
Respiration		<ul style="list-style-type: none"> Diminution de l'assistance respiratoire¹ (heures/24 h) ≥ 30 % par rapport à la valeur de référence, <u>ou</u> Absence d'assistance respiratoire¹ ≥ 28 jours consécutifs avec une SpO₂ stable ≥ 92-95 % dans l'air ambiant. 	
Radiologie		Examen intermédiaire après 6 mois de traitement : <ul style="list-style-type: none"> RGI-C² amélioration ≥ +1 par rapport à la valeur de référence, <u>ou</u> RSS³ diminution de ≥ 0,5 point par rapport à la valeur de référence Fin du traitement initial après 12 mois : <ul style="list-style-type: none"> Fehler! Textmarke nicht definiert. amélioration ≥ +2 par rapport à la valeur de référence, <u>ou</u> RSS^{3/2} Diminution ≥ 1 .0 points par rapport à . la valeur initiale 	

Groupe II : 6 mois à 4 ans

Domaine	Critères de départ	Poursuite du traitement Traitement initial	Poursuite du traitement Traitement d'entretien
	Au moins 1 domaine doit être rempli	2 domaines sur 3 doivent être remplis	
Développement / fonction	Développement moteur global retardé, défini comme au moins un <ul style="list-style-type: none"> AIMS⁴ ≤ 5e percentile <u>ou</u> Fehler! Textmarke nicht definiert. Composite moteur⁹ < 85 <u>ou</u> PDMS-2 GMQ³ < 85 <u>ou</u> Étapes importantes de l'OMS non atteintes : <ul style="list-style-type: none"> incapacité à se tenir debout sans aide ≥ 17 mois <u>ou</u> pas de marche autonome ≥ 18 mois (âge corrigé). <u>ou</u> Troubles de la croissance/du poids liés à la maladie ⁴ , définis comme au moins l'un des éléments suivants : <ul style="list-style-type: none"> WAZ⁵ ≤ -2 <u>ou</u> WLZ/WHZ⁶ ≤ -2 <u>ou</u> Baisse WAZ ≥ 1,0 Z en 6 mois 	<ul style="list-style-type: none"> Fehler! Textmarke nicht definiert. amélioration ≥ +10 points de percentile par rapport à la valeur de référence <u>ou</u> BSIDComposite moteur⁹ ≥ 85 <u>ou</u> PDMS-2-GMQ⁵ ≥ 85 <u>ou</u> Atteinte des étapes importantes définies par l'OMS <u>ou</u> <ul style="list-style-type: none"> WAZ⁷ Augmentation ≥ +0,5 par rapport à la valeur de référence <u>ou</u> normalisation à une valeur Z ≥ -2, <u>ou</u> WLZ/WHZ⁸ Augmentation ≥ +0,5 par rapport à la valeur de référence <u>ou</u> normalisation à une valeur Z ≥ -2 	<ul style="list-style-type: none"> AIMS⁴ pas de baisse supérieure à ≥ 1 percentile principal (50/25/10/5) <u>et</u> pas de baisse ≥ 10 points de percentile par rapport au meilleur résultat <u>ou</u> Fehler! Textmarke nicht definiert. Composite moteur⁹ aucune baisse ≥ 10 points par rapport au meilleur résultat <u>ou</u> PDMS-2-GMQ⁵ pas de baisse ≥ 10 points par rapport au meilleur résultat <u>ou</u> <u>ou</u> <ul style="list-style-type: none"> pas de baisse WAZ⁷ ≥ 0,5 par rapport à la meilleure valeur, <u>ou</u> si Z ≥ -2, pas de rechute à < -2, <u>ou</u> pas de baisse WLZ/WHZ⁸ ≥ 0,5 par rapport à la meilleure valeur <u>ou</u> si Z ≥ -2, pas de rechute à < -2
Respiration	Uniquement pertinent pour les patients présentant des symptômes périnataux/infantiles → couvert dans le groupe I.		<ul style="list-style-type: none"> Maintien <u>ou</u> amélioration supplémentaire des états atteints
Radiologie	Trouble actif de la minéralisation (rachitisme/ostéomalacie) visible à la radiographie, compatible avec l'HPP : <ul style="list-style-type: none"> Signes de rachitisme au niveau du poignet ou du genou (par exemple, creux/effilochage/physe élargie, mesuré éventuellement à l'aide d'un RSS ≥ 2 dans ≥ 1 région) <u>ou</u> Fractures d'insuffisance atraumatiques ou pseudofractures (zones de Looser/lignes de Milkman) 	<ul style="list-style-type: none"> Fehler! Textmarke nicht definiert. Amélioration ≥ +2 par rapport à la valeur de référence, <u>ou</u> 2 Diminution de ≥ 1,0 point par rapport à la valeur de référence <u>ou</u> Consolidation de la fracture/pseudofracture de l'index : <ul style="list-style-type: none"> pontage/cal osseux dans ≥ 2 plans <u>ou</u> sclérose/disparition claire de la zone de Looser 	<ul style="list-style-type: none"> RGI-C² Stable ≥ +2 par rapport à la valeur de référence, <u>ou</u> RSS³ aucune augmentation ≥ +1 par rapport à la meilleure valeur <u>et</u> <ul style="list-style-type: none"> Pas de nouvelle fracture/pseudo-fracture au niveau d'une fracture/pseudo-fracture d'insuffisance précédemment consolidée, <u>et</u> ≤ 1 nouvelle fracture d'insuffisance ou pseudofracture atraumatique (zones de Looser/lignes de Milkman) par 12 mois.
Douleur / interférence	Douleurs musculo-squelettiques significatives et récurrentes interférant avec la vie quotidienne, malgré l'essai d'analgésiques, définies comme suit : <ul style="list-style-type: none"> Intensité : FLACC⁷ ≥ 4/10 <u>ou</u> FPS-R⁸ ≥ 6/10 relevée ≥ 2 jours/semaine pendant ≥ 4 semaines, <u>et</u> Interférence : PedsQL⁹ 2-4 < -1 SD par rapport à la norme, <u>et</u> réponse insuffisante¹⁰ à 2 analgésiques de classes différentes. 	Intensité améliorée <u>ou</u> interférence améliorée : <ul style="list-style-type: none"> FLACC⁷ <u>ou</u> FPS-R⁸ Amélioration ≥ 2/10 points ou ≥ 30 % par rapport à la moyenne de référence <u>ou</u> PedsQL⁹ Amélioration ≥ +4,5 points par rapport à la valeur de référence <u>et</u> aucune détérioration de l'intensité <u>ou</u> de l'interférence par rapport à la valeur de référence : <ul style="list-style-type: none"> FLACC⁷ <u>ou</u> FPS-R⁸ Pas d'augmentation ≥ +2 points par rapport à la moyenne de référence <u>et</u> PedsQL⁹ Pas de baisse ≥ 4,5 points par rapport à la valeur de référence 	Intensité stable : <ul style="list-style-type: none"> FLACC⁷ <u>ou</u> FPS-R⁸ Aucune augmentation ≥ +2 points par rapport au meilleur résultat <u>et</u> Interférence stable : <ul style="list-style-type: none"> PedsQL⁹ Pas de baisse ≥ 4,5 points par rapport au meilleur résultat

¹ Assistance respiratoire : toutes les heures avec O₂ supplémentaire et/ou VNI/IMV (valeur de référence calculée comme moyenne sur 7 jours)

² Rickets Severity Score/Thacher : score de gravité à un moment donné (généralement 0-10, poignet + genou)

³ Peabody Developmental Motor Scales-2 Gross Motor Quotient : test de motricité normalisé pour les enfants âgés de 0 à 5 ans

⁴ Les troubles de la croissance/du poids ne constituent un critère d'initiation du traitement que s'ils sont documentés dans le cadre d'une HPP avec atteinte osseuse et qu'aucune autre cause principale n'est documentée. Ceci repose sur l'autorisation de Swissmedic, qui concerne uniquement le traitement des manifestations osseuses de l'HPP.

⁵ Score Z du poids par rapport à l'âge

⁶ Score Z du poids par rapport à la taille/longueur

⁷ Face-Legs-Activity-Cry-Consolability Score – Évaluation de la douleur par observation (r-FLACC en cas de particularités de développement/communication) pour les enfants âgés de 0 à 7 ans

⁸ Échelle de douleur faciale – Révisée : auto-évaluation de la douleur, âge (3 -) 4 à 7 ans

⁹ Inventaire de la qualité de vie pédiatrique

¹⁰ Définition d'une réponse insuffisante : réduction de l'intensité de la douleur par rapport à la valeur de référence de < 2 points sur une échelle de 0 à 10 (NRS-11/FPS-R/FLACC/r-FLACC) ou < 20 mm sur l'échelle EVA de 100 mm, ou diminution relative des valeurs < 30 %.



Groupe III : 5 à 17 ans

Domaine	Critères de départ	Poursuite du traitement Traitement initial	Poursuite du traitement Traitement d'entretien
	Au moins 1 domaine doit être rempli	2 domaines sur 3 doivent être remplis	
Développement / fonction	<ul style="list-style-type: none"> limitée Mobilité Bleck AES¹¹ : score compris entre 1 et 6, <u>et</u> mesure de référence 6MWT¹² (pour le suivi IT / ET) 	<ul style="list-style-type: none"> 6MWT¹² amélioration de +30 m par rapport à la valeur de référence <u>ou</u> ≥ +10 % par rapport à la valeur de référence 	<ul style="list-style-type: none"> 6MWT¹² aucune perte de ≥ 10 % <u>ou</u> ≥ 30 m par rapport au meilleur résultat
Radiologie	<p>Trouble actif de la minéralisation (rachitisme/ostéomalacie) visible à la radiographie, compatible avec l'HPP :</p> <ul style="list-style-type: none"> Signes de rachitisme au niveau du poignet ou du genou (par exemple, creux/effilochage/physse élargie, mesuré éventuellement à l'aide d'un RSS ≥ 2 dans ≥ 1 région) <u>ou</u> Fractures d'insuffisance atraumatiques ou pseudofractures (zones de Looser/lignes de Milkman) 	<ul style="list-style-type: none"> Fehler! Textmarke nicht definiert. Amélioration ≥ +2 par rapport à la valeur de référence, <u>ou</u> 2 Diminution de ≥ 1,0 point par rapport à la valeur de référence <p><u>ou</u></p> <p>Consolidation de la fracture/pseudofracture de l'index :</p> <ul style="list-style-type: none"> pontage/cal osseux dans ≥ 2 plans <u>ou</u> sclérose/disparition claire de la zone de Looser 	<ul style="list-style-type: none"> RGI-C² Stable ≥ +2 par rapport à la valeur de référence, <u>ou</u> RSS³ aucune augmentation ≥ +1 par rapport à la meilleure valeur <p><u>et</u></p> <ul style="list-style-type: none"> Pas de nouvelle fracture/pseudo-fracture au niveau d'une fracture/pseudo-fracture d'insuffisance précédemment consolidée (même localisation), <u>et</u> ≤ 1 nouvelle fracture d'insuffisance ou pseudofracture atraumatique (zones de Looser/lignes de Milkman) par 12 mois.
Douleur / interférence	<p>5-7 ans :</p> <p>Douleurs musculo-squelettiques importantes et récurrentes interférant avec la vie quotidienne, malgré la prise d'analgésiques, définies comme suit :</p> <ul style="list-style-type: none"> Intensité : FLACC⁷ ≥ 4/10 <u>ou</u> FPS-R⁸ ≥ 6/10 relevée ≥ 2 jours/semaine pendant ≥ 4 semaines, <u>et</u> Interférence : PedsQL⁹ 5-7 < -1 SD par rapport à la norme, <u>et</u> réponse insuffisante¹⁰ à 2 analgésiques de classes différentes à des doses adaptées au poids. 	<p>5-7 J :</p> <p>Intensité améliorée <u>ou</u> interférence améliorée :</p> <ul style="list-style-type: none"> FLACC⁷ <u>ou</u> FPS-R⁸ amélioration de ≥ 2/10 points ou ≥ 30 % par rapport à la moyenne de référence <u>ou</u> PedsQL⁹ Amélioration ≥ +4,5 points par rapport à la valeur de référence <p><u>et</u></p> <p>ni l'intensité ni l'interférence ne se détériorent par rapport à la valeur de référence :</p> <ul style="list-style-type: none"> FLACC⁷ <u>ou</u> FPS-R⁸ Pas d'augmentation ≥ +2 points par rapport à la moyenne de référence <u>et</u> PedsQL⁹ Pas de baisse ≥ 4,5 points par rapport à la valeur de référence 	<p>5-7 ans :</p> <p>Intensité stable :</p> <ul style="list-style-type: none"> FLACC⁷ <u>ou</u> FPS-R⁸ Pas d'augmentation ≥ +2 points par rapport au meilleur résultat <p><u>et</u></p> <p>Interférence stable :</p> <ul style="list-style-type: none"> PedsQL⁹ Pas de baisse ≥ 4,5 points par rapport au meilleur résultat
	<p>À partir de 8 ans :</p> <p>Douleurs musculo-squelettiques significatives et récurrentes interférant avec la vie quotidienne, malgré la prise d'analgésiques, définies comme suit :</p> <ul style="list-style-type: none"> Intensité : NRS 11/VAS¹³ ≥ 6/10/60 mm pour ≥ 2 mesures/semaine pendant ≥ 4 semaines, <u>et</u> Interférence : PROMIS Ped PI¹⁴ T ≥ 60 <u>ou</u> FDI¹⁵ ≥ 13, <u>et</u> Réponse insuffisante¹⁰ à deux analgésiques de classes différentes à des doses adaptées au poids. 	<p>À partir de 8 ans :</p> <p>Intensité améliorée <u>ou</u> interférence améliorée :</p> <ul style="list-style-type: none"> NRS 11/VAS¹³ Amélioration ≥ 2/10 points / 20 mm ou ≥ 30 % par rapport à la moyenne de référence <u>ou</u> PROMIS Ped PI¹⁷ <u>ou</u> FDI¹⁸ Diminution ≥ 5 points par rapport à la valeur de référence <p><u>et</u></p> <p>ni l'intensité ni l'interférence ne se détériorent par rapport à la valeur de référence :</p> <ul style="list-style-type: none"> NRS 11/VAS¹³ Pas d'augmentation ≥ +2 points / 20 mm par rapport à la moyenne de référence <u>et</u> PROMIS Ped PI¹⁷ <u>ou</u> FDI¹⁸ aucune augmentation ≥ 5 points par rapport à la valeur de référence 	<p>À partir de 8 ans :</p> <p>Intensité stable :</p> <ul style="list-style-type: none"> NRS 11/VAS¹³ Pas d'augmentation de < +2 points / 20 mm par rapport à la meilleure valeur <p><u>et</u></p> <p>Interférence stable :</p> <ul style="list-style-type: none"> PROMIS Ped PI¹⁷ aucune augmentation ≥ 5 points par rapport à la meilleure valeur <u>ou</u> FDI¹⁸ aucune augmentation ≥ 5 points par rapport à la meilleure valeur

Groupe IV : ≥ 18 ans avec apparition des symptômes pendant l'enfance

Domaine	Critères de départ	Poursuite du traitement Traitement initial	Poursuite du traitement Traitement d'entretien
	2 domaines doivent être remplis	2 des 3 domaines doivent être remplis	
Développement / fonction	<ul style="list-style-type: none"> Mobilité réduite Bleck AES¹¹ : score compris entre 1 et 6, <u>et</u> mesure de référence 6MWT¹⁵ (pour le suivi IT / ET) 	<ul style="list-style-type: none"> 6MWT¹² amélioration ≥ +30 m par rapport à la valeur de référence <u>ou</u> ≥ +10 % par rapport à la valeur de référence 	<ul style="list-style-type: none"> 6MWT¹² aucune perte ≥ 10 % <u>ou</u> ≥ 30 m par rapport au meilleur résultat
Radiologie	<ul style="list-style-type: none"> Fracture d'insuffisance atraumatique actuelle ou pseudofracture (zone de Looser/ligne de Milkman) <u>ou</u> antécédents de fractures/pseudofractures atraumatiques, récurrentes ou ne cicatrisant pas/mal consolidant. 	<p>Consolidation de la fracture/pseudofracture d'insuffisance indexée :</p> <ul style="list-style-type: none"> pontage/cal osseux dans ≥ 2 plans <u>ou</u> sclérose/disparition claire de la zone de Looser 	<ul style="list-style-type: none"> Pas de nouvelle fracture/pseudofracture au niveau d'une fracture d'insuffisance/pseudofracture précédemment consolidée (même localisation), <u>et</u> ≤ 1 nouvelle fracture d'insuffisance ou pseudofracture atraumatique (zones de Looser/lignes de Milkman) par 12 mois.
Douleur / interférence	<p>Douleurs musculo-squelettiques significatives et récurrentes interférant avec la vie quotidienne, malgré l'essai d'analgésiques, définies comme suit :</p> <ul style="list-style-type: none"> Intensité : NRS 11 ≥ 6/10 <u>ou</u> VAS ≥ 60 mm pour ≥ 2 mesures/semaine pendant ≥ 4 semaines¹⁶, <u>et</u> Interférence : PROMIS Adult PI¹⁷ T ≥ 60 <u>ou</u> BPI-Interference¹⁶ ≥ 4/10, <u>et</u> réponse insuffisante¹⁰ à 2 analgésiques de classes différentes à dose adaptée au poids. 	<p>Intensité améliorée <u>ou</u> interférence améliorée :</p> <ul style="list-style-type: none"> NRS 11/VAS¹³ amélioration de ≥ 2/10 points / 20 mm <u>ou</u> ≥ 30 % par rapport à la moyenne de référence <u>ou</u> PROMIS Adult PI¹⁷ Diminution ≥ 5 points par rapport à la valeur de référence <u>ou</u> BPI-I¹⁹ Diminution ≥ 1 point par rapport à la valeur de référence <p><u>et</u></p> <p>ni l'intensité ni l'interférence ne se détériorent par rapport à la valeur de référence :</p> <ul style="list-style-type: none"> NRS 11/VAS¹³ Aucune augmentation ≥ +2 points / 20 mm par rapport à la moyenne de référence <u>et</u> PROMIS Adult PI¹⁷ Aucune augmentation ≥ 5 points par rapport à la valeur de référence <u>ou</u> BPI-I¹⁹ Aucune augmentation ≥ 1 point par rapport à la valeur de référence 	<p>Intensité stable :</p> <ul style="list-style-type: none"> NRS 11/VAS¹³ Aucune augmentation ≥ +2 points / 20 mm par rapport à la meilleure valeur <p><u>et</u></p> <p>Interférence stable :</p> <ul style="list-style-type: none"> PROMIS Adult PI¹⁷ Aucune augmentation ≥ 5 points par rapport à la meilleure valeur <u>ou</u> BPI-I¹⁹ Aucune augmentation ≥ 1 point par rapport à la meilleure valeur

¹¹ Score modifié de Bleck sur l'efficacité de la marche

¹² Test de marche de 6 minutes : distance parcourue en mètres en 6 minutes sur un parcours standardisé

¹³ Échelle d'évaluation numérique / échelle visuelle analogique pour indiquer l'intensité de la douleur, à partir de 8 ans environ

¹⁴ PROMIS Pediatric Pain Interference / PROMIS Pain Interference (Adult), interférence spécifique à la douleur, T-Score

¹⁵ Inventaire des incapacités fonctionnelles

¹⁶ Inventaire succinct de la douleur – Échelle d'interférence