

Nouvelles modalités d'HAD en neuropédiatrie

Journées pédiatriques
Université d'été de la FNEHAD

Vendredi 24 juin 2022

Dr Claire Mehler Jacob
HAD pédiatrique APHP - Paris



Place de l'HAD dans le PNDS polyhandicap

Engagement de l'institution

neuropédiatre dans l'équipe

Projets alternatifs

créativité

■ **Maladie rare : moins de 1 personne sur 2000**

- ▶ 3 millions de personnes en France
- ▶ Concernent les **moins de 5 ans dans la moitié des cas**
- ▶ Responsables de **10% des décès entre 1 et 5 ans !**
- ▶ 80% d'origine génétique, déficience motrice sensorielle ou intellectuelle chez 50%
- ▶ Enjeux : suivi global, parcours de soins, liens ville hôpital

▶ **Un défi pour les HAD pédiatriques !**

■ **Parcours de soins complexes**

■ **Place de l'HAD pour parcours plus efficaces, respectueux de la qualité de vie**

- ▶ En aigu évident
- ▶ En chronique ? Réflexions nombreuses

- **Les HDJ dans le cadre des maladies métaboliques avec ERT**
- **La prise en charge des enfants polyhandicapés**

Enzymothérapie à domicile

- **Administration d'une enzyme recombinante en remplacement de l'enzyme absente/non fonctionnelle**
 - ▶ **enzymothérapie substitutive (ou ERT « Enzyme Replacement Therapy »)**

- **Administration par voie intraveineuse, pour l'instant en Hôpital de Jour, de manière hebdomadaire pour une durée souvent indéterminée (au minimum du diagnostic à l'âge adulte).**

			Dysmorphie	Os/articulations	Fie/rate	Cœur	Régression cognitive	oeil		
Mucopolysaccharidoses	I	Hurler Scheie	++	++	++	+	++	++	Aldurazyme	2003
	II	Hunter	++	+	++	+	++	-	Elaprase	2007
	IV	Morquio	-	++	+	±	-	±	Vimizim	2014
	VI	Maroteaux Lamy	++	+	++	+	-	+	Naglazyme	2006
Glygogénose		Pompe	-	-	+	+++	atteinte musculaire		Myozyme	2006

■ Prise en charge hospitalière

- ▶ HdJ hebdomadaires,
- ▶ VVP ou PAC
- ▶ Réévaluation hospitalière biannuelle

■ EI nombreux décrits mais peu fréquents

- ▶ Fièvre, frissons, tachycardie, céphalée, hypertension artérielle, diarrhées, toux, vomissements, rhinorrhée, otorrhée, éruption cutanée, prurit, urticaire, désaturation, respiration sifflante, douleur abdominale...
- ▶ Les plus graves: bronchospasme, œdème de Quincke, choc anaphylactique...
- ▶ Anticorps anti-enzyme

■ Pas d'augmentation de la fréquence dans le temps

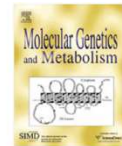
Possible en HAD
→ Bibliographie
→ Expériences ponctuelles
→ Expertise pour sécurisation des traitements au domicile



Contents lists available at ScienceDirect

Molecular Genetics and Metabolism

journal homepage: www.elsevier.com/locate/ymgme



Brief Communication

Home infusion therapy is safe and enhances compliance in patients with mucopolysaccharidoses

MPS II et VI : 11 patients

Barbara K. Burton ^{a,c,*}, Chani Wiesman ^b, Andrea Paras ^{a,b,c}, Katherine Kim ^{a,b,c}, Rachel Katz ^c



Contents lists available at ScienceDirect

Molecular Genetics and Metabolism Reports

journal homepage: www.elsevier.com/locate/ymgmr

J Inherit Metab Dis
DOI 10.1007/s10545-008-0980-0

ORIGINAL ARTICLE

Correspondence

MPS I : 117 patients

Real-world data assessment of safety of home-based and hospital/outpatient-based laronidase enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidosis I

Molecular Genetics and Metabolism Reports 14 (2018) 15–18

Home treatment with Elaprase® and Naglazyme® is safe in patients with mucopolysaccharidoses types II and VI, respectively

MPS II et VI (17 et 6 patients)

S. Bagewadi · J. Roberts · J. Mercer · S. Jones · J. Stephenson · J. E. Wraith



Contents lists available at ScienceDirect

Molecular Genetics and Metabolism Reports

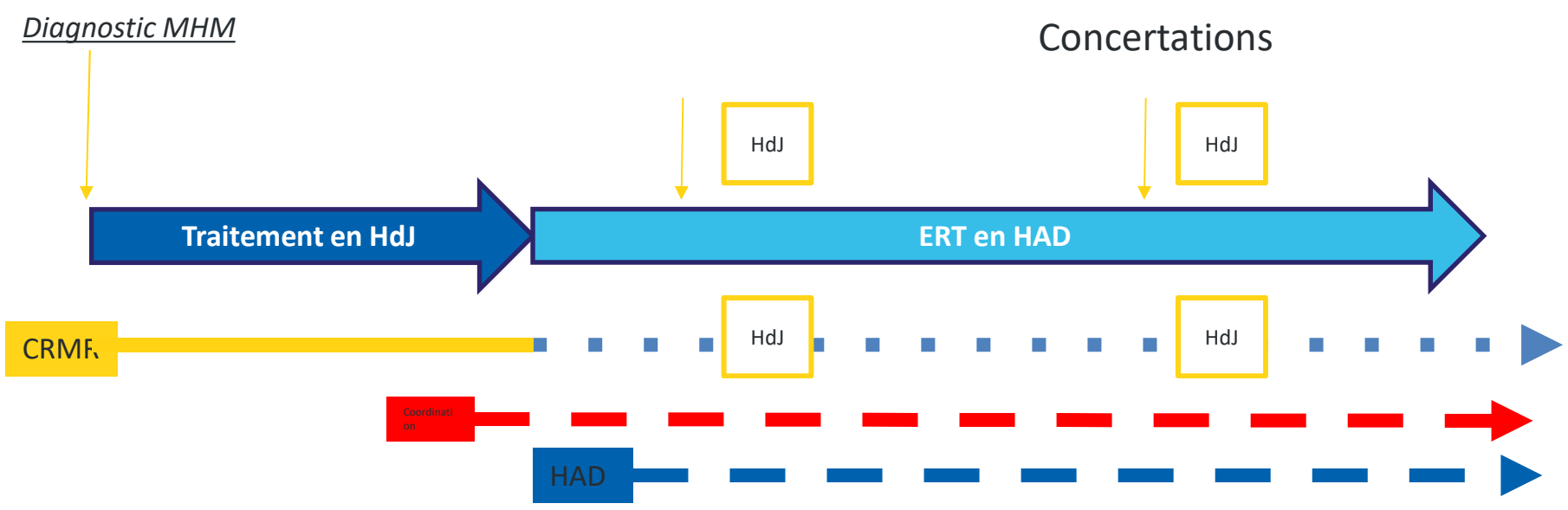
journal homepage: www.elsevier.com/locate/ymgmr

MPS IV (14 patients)

Home infusion with Elosulfase alpha (Vimizim^R) in a UK Paediatric setting

Niamh Finnigan*, Jane Roberts, Jean Mercer, Simon A. Jones

Willink Biochemical Genetics Unit, Manchester Centre for Genomic Medicine, Central Manchester University Hospitals NHS Foundation Trust, Saint Mary's Hospital, UK



Enzymothérapie au domicile



Prévention du risque: ANTICIPATION

Date 1^{ère} rédaction : 30 novembre 2021

Date de mise à jour :

Rédacteur : Nom : Dr Gatbois statut : PH HAD

tel : 01 73 73 58 39

Accord de la famille pour transmettre les informations : oui

Nom : M Prénom : Meh Date de naissance : 6 6 2006

Adresse (détaillée : escalier, code...) 26 rue barbarababara 75 018 paris 4^{ème} étage

Tel : 07 7766776677

Poids de l'enfant à 29 kg

- En cas d'effet indésirable

- **ANTICIPATION**

- ▶ SAMU Informé
- ▶ Médecin joignable
- ▶ Personnel formé
- ▶ Médicaments disponibles
au domicile

Formation des parents

Synthèse clinique et contexte :

Adolescent de 15 ans transféré en HAD le 10 novembre 2021 pour enzymothérapie par Vimizim à domicile pour maladie de Morquio

Dose Vimizim 60 mg reconstitué dans 250 ml

Débit par palier avec surveillance toutes les 15 minutes (température, TA, FR, FC, vérifier l'absence de symptômes (nausée, frissons, crampes, flush, rash, douleur abdo) puis toutes les heures au débit de 100 ml/h

Rincer avec 25 ml de serum phy au même débit (100ml/h)

Maintenir la surveillance pendant 30 minutes après la perfusion

En cas de réaction modérée (picotements, chaleur, larmoiement, nausée, vomissement, frissons, urticaire, démangeaison) lors de la perfusion de vimizim

1 : stop la perfusion

2 : perfuser 1 ampoule de polaramine (5 mg/1 ml) en IV (SC ou IM si besoin)

3 : solupred 30 mg PO ou 60 mg de solumedrol dans 10 ml de serum phy en IVDL 5 min

En cas de réaction sévère (trouble hémodynamique, tachycardie > 140, dyspnée, bronchospasme) lors de la perfusion de vimizim

1 : stop la perfusion

2 : anapen : 0,3 mg IM

3 : 60 mg de solumedrol dans 10 ml de serum phy en IVDL 5 min

4 : appeler le 15

5 : prévenir le médecin HAD et le pédiatre de NCK 01 44 38 18 18 ou 01 42 19 26 97 (WE et après 18h30)

Au domicile : 2 ampoules de polaramine, solupred, cp à 20 mg, solumedrol 4 ampoules de 20 mg, ampoules serum phy à 10 ml, 2 stylos anapen

Suivi par HAD AP-HP unité centre tel 01 73 73 54 XX nuit 01 73 73 54 XX pédiatre24/24 : 01 73 73 58 XX

Médecin hospitalier référent: Dr Pichard

Centre ou service de référence : service neuro métabolique NCK tel 01 44 38 XX X X ou 01 42 19 XX XX (WE et après 18h30)

Prévention du risque: ANTICIPATION

- **En cas d'effet indésirable**

- **ANTICIPATION**

- ▶ SAMU Informé
- ▶ Médecin joignable
- ▶ Personnel formé
- ▶ Médicaments disponibles
au domicile

Nom : M Prénom : Meh Date de naissance : 6 6 2006

Adresse (détaillée : escalier, code...) 26 rue barbarababara 75 018 paris 4^{ème} étage

Tel : 07 7766776677

Poids de l'enfant à 29 kg

Synthèse clinique et contexte :

Adolescent de 15 ans transféré en HAD le 10 novembre 2021 pour enzymothérapie par Vimizim à domicile pour maladie de Morquio

Suivi par HAD AP-HP unité centre tel 01 73 73 54 XX nuit 01 73 73 54 XX pédiatre24/24 : 01 73 73 58 XX

Médecin hospitalier référent: Dr Pichard

Centre ou service de référence : service neuro métabolique NCK tel 01 44 38 XX X X ou 01 42 19 XX XX (WE et après 18h30)

Formation des parents

Prévention du risque: ANTICIPATION

- **En cas d'effet indésirable**

- **ANTICIPATION**

- ▶ SAMU Informé

- ▶ Médecin joignable

- ▶ Personnel formé

- ▶ Médicaments disponibles

au domicile

Formation des parents

Dose Vimizim 60 mg reconstitué dans 250 ml

Débit par palier avec surveillance toutes les 15 minutes (température, TA, FR, FC , vérifier l'absence de symptômes (nausée, frissons, crampes, flush, rash, douleur abdo) puis toutes les heures au débit de 100 ml/h

Rincer avec 25 ml de serum phy au même débit (100ml/h)

Maintenir la surveillance pendant 30 minutes après la perfusion

En cas de réaction modérée (picotements, chaleur, larmoiement, nausée, vomissement, frissons, urticaire, démangeaison) lors de la perfusion de vimizim

1 : stop la perfusion

2 : perfuser 1 ampoule de polaramine (5 mg/1 ml) en IV (SC ou IM si besoin)

3 : solupred 30 mg PO ou 60 mg de solumedrol dans 10 ml de serum phy en IVDL 5 min

En cas de réaction sévère (trouble hémodynamique, tachycardie > 140, dyspnée, bronchospasme) lors de la perfusion de vimizim

1 : stop la perfusion

2 : anapen : 0,3 mg IM

3 : 60 mg de solumedrol dans 10 ml de serum phy en IVDL 5 min

4 : appeler le 15

5 : prévenir le médecin HAD et le pédiatre de NCK 01 44 38 18 18 ou 01 42 19 26 97 (WE et après 18h30)

Au domicile : 2 ampoules de polaramine, solupred, cp à 20 mg, solumedrol 4 ampoules de 20 mg , ampoules serum phy à 10 ml, 2 stylos anapen

- **Modalités des visites à domicile, les numéros de téléphone pour contacter l'unité, la pluridisciplinarité de l'équipe, avant de réaliser le soin.**

- **Matériel nécessaire pour plusieurs soins au domicile.**

Définir le lieu du soin
Organiser l'espace pour
plusieurs heures

- **Vérification de la préparation :**

- ▶ ouverture sécurisée,
- ▶ vérification de la concordance de l'identité notée sur le carton et celle du patient visité.
- ▶ Vérification de la composition

- **Préparation du matériel nécessaire au soin, contrôle des paramètres vitaux (TA, FC, FR, T°)**

- **Voie d'abord**

- **Perfusion avec paliers de débit**

- **Surveillance des constantes par 15 puis 30 minutes**

- ▶ Formation des parents

- **La traçabilité de l'administration**



■ **Deuxième visite :**

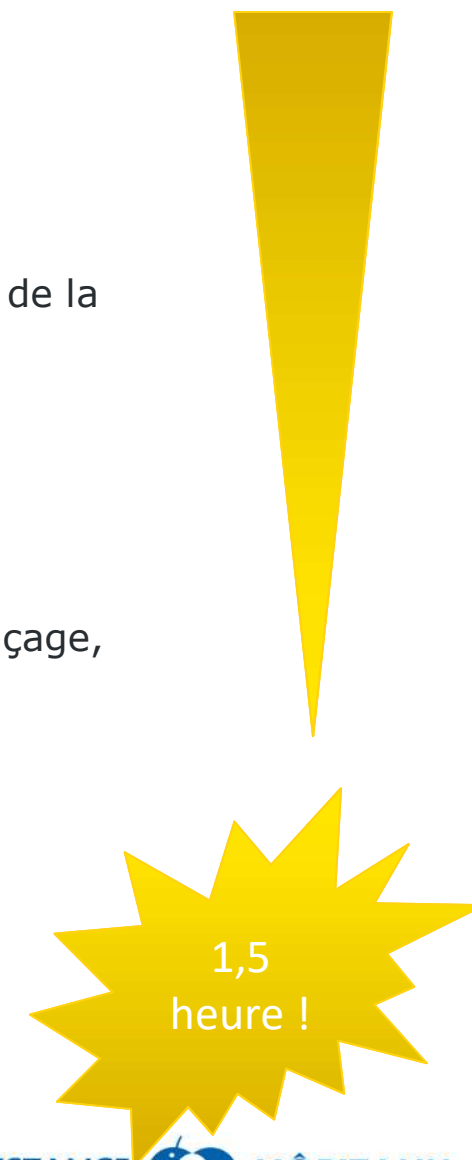
- ▶ Surveillance pendant la première heure par IPDE
- ▶ Départ de l'IPDE, Surveillance par les parents
- ▶ Retour au domicile de l'IPDE : rinçage, débranchement, retrait de la voie

■ **Troisième visite :**

- ▶ Surveillance pendant la première heure par IPDE
- ▶ Départ de l'IPDE, Surveillance par les parents
- ▶ Retour au domicile de l'IPDE : supervision des parents pour rinçage, débranchement, retrait de la voie
- ▶ Evaluation des compétences de la famille

■ **Quatrième visite :**

- ▶ Surveillance pendant la première heure par IPDE
- ▶ Départ de l'IPDE, Surveillance par les parents
- ▶ Rinçage, débranchement, retrait de la voie



■ Partenariat avec centre de référence

- ▶ Identification des patients candidats
 - *Au moins 6 mois en HdJ*
 - *Absence d'EI*
 - *Souhait des parents*

■ Coordination

- ▶ Lien centre de référence, HdJ, Unité de soins
- ▶ Centralisation de la préparation pharmaceutique
- ▶ Discussion jour, voie d'abord

■ Formation de la famille à débiter dès l'HdJ

- ▶ Surveillance clinique EI
- ▶ Surveillance voie d'abord
- ▶ Manipulation ±

■ 14 enfants

- ▶ 8 MPS IV A (Morquio)
- ▶ 3 MPS I (Hurler) et 1 MPS II (Hunter)
- ▶ 2 maladies de Pompe

■ Fratries : 2 paires

■ Début de l'HAD :

- ▶ Âge de 4 à 17 ans
- ▶ Depuis 7 mois à 3a 9 mois

■ Aucune réhospitalisation en urgence

■ Aucun appel au samu

■ Appel pédiatre HAD pour événement intercurrent

■ Evaluation a faire

- ▶ Retour des parents et des enfants positifs
- ▶ Retour des centres de référence positifs
- ▶ De nos équipes aussi

■ Mais risque

- ▶ Moins de suivi par centre de référence
- ▶ Moins de questionnement
- ▶ Suivi pluridisciplinaire
- ▶ Moyens à dégager ?

- **Programme ETP (en cours)**
- **Augmentation de la cohorte**
 - ▶ Limite moyens humains (pharmacies, US)
- **Maintien des liens avec centres hospitaliers de référence**
- **Suivi global par l'HAD**
 - ▶ Lien scolarité
 - ▶ Lien rééducateurs
 - ▶ Staff, moyens dédiés ?

HdJ HAD clinique

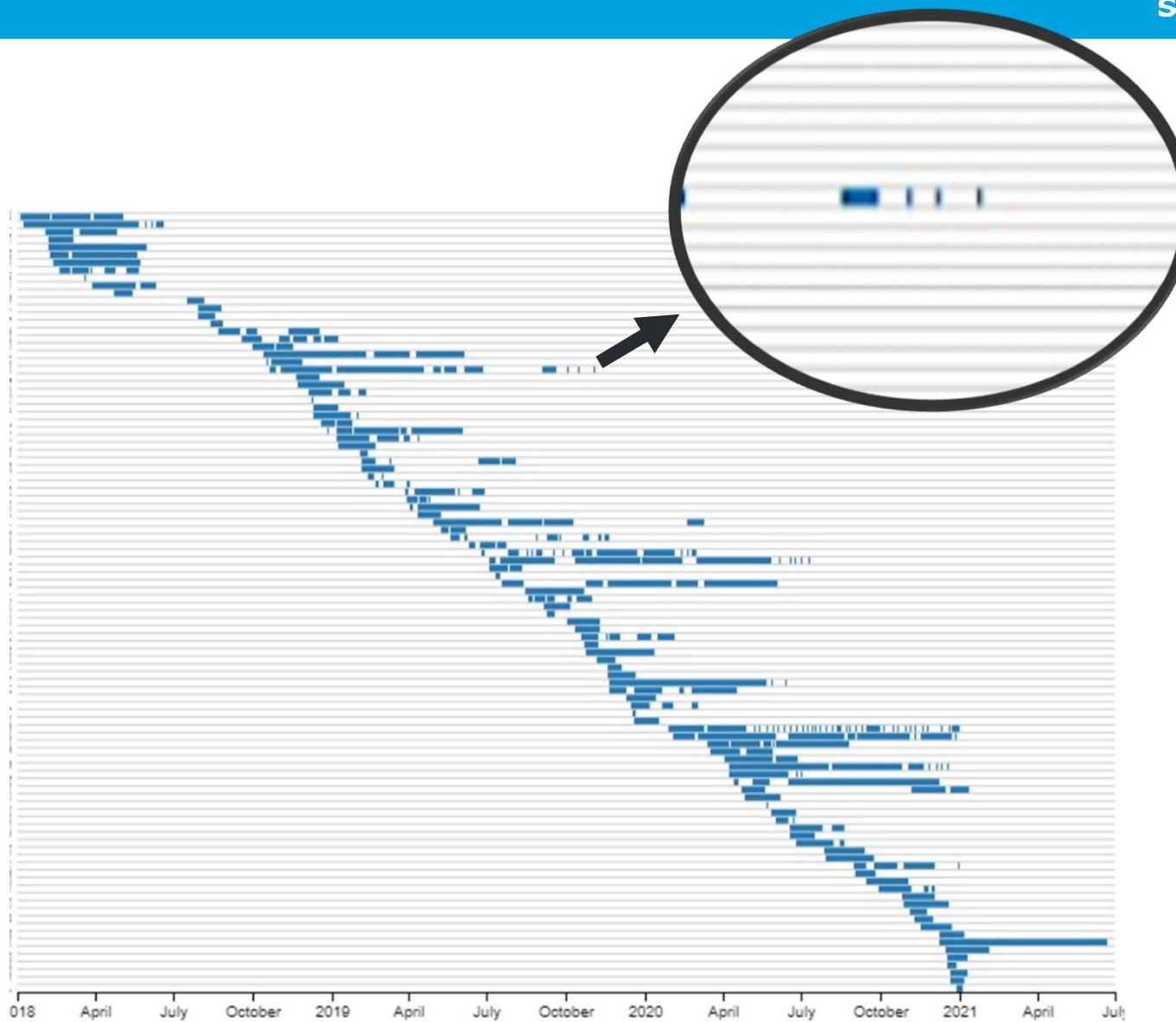
- **Polyhandicap, handicap lourd**

- **HAD classique initialement**

- **Au domicile complexités multiples**

- ▶ Intrinsèque : alimentation, douleur ...
- ▶ Environnementale → sans solution, modification du parcours ...
- ▶ Aidants

→ Maintien d'une HAD avec temporalité adaptable ?



Implications des familles

■ Evolution longue

- ▶ Parfois maladie évolutive

■ Rapport aux soins

- ▶ Expertise sur des soins complexes, mais sans être soignants

■ Rapport aux décompensations

- ▶ Risque vital, répétitions

■ Impact famille, fratrie

■ Altération de la qualité de vie

■ **11 enfants en 3 ans**

- ▶ moyenne 21 mois, médiane 4 mois [12j – 8a]
- ▶ Plus jeunes

■ **5 pris en charge par SESSAD ou CAMSP (5/11)**

■ **8 viennent de l'hôpital**

■ **2 déjà au domicile et 1 en SSR**

- ▶ Plus fréquents

■ **Motifs : identiques mais**

- ▶ Soins palliatifs identifiés pour tous (dont motif de PEC 8/11)
- ▶ 4/11 douleur (=)
- ▶ 3 nursing lourds (+)

2 à 51 journées

■ **Supports digestifs ou respiratoires idem**

■ **Plus d'antalgiques (8/11) et de nursing (3/11)**

■ **Interventions multidisciplinaires**

- ▶ Diététicienne +++ 8/11
- ▶ Assistante sociale 8/11

■ **VAD médicale pour 10/11!**

■ **Liens ERRSPP 9/11, fiches Samu 9/11**

■ **Répit (3/11)**

Soins palliatifs !

Besoin diét et AS

Besoins identifiés des familles

■ Enfants à risque de décompensation

- ▶ Réponse médicale non hospitalière

■ Regard clinique

- ▶ Réévaluation douleur, alimentation, transit ...
- ▶ Adaptation traitements

■ Réassurance

■ Micro-répit ?

■ Coordination

27

Et les équipes ?

■ Difficultés régulières

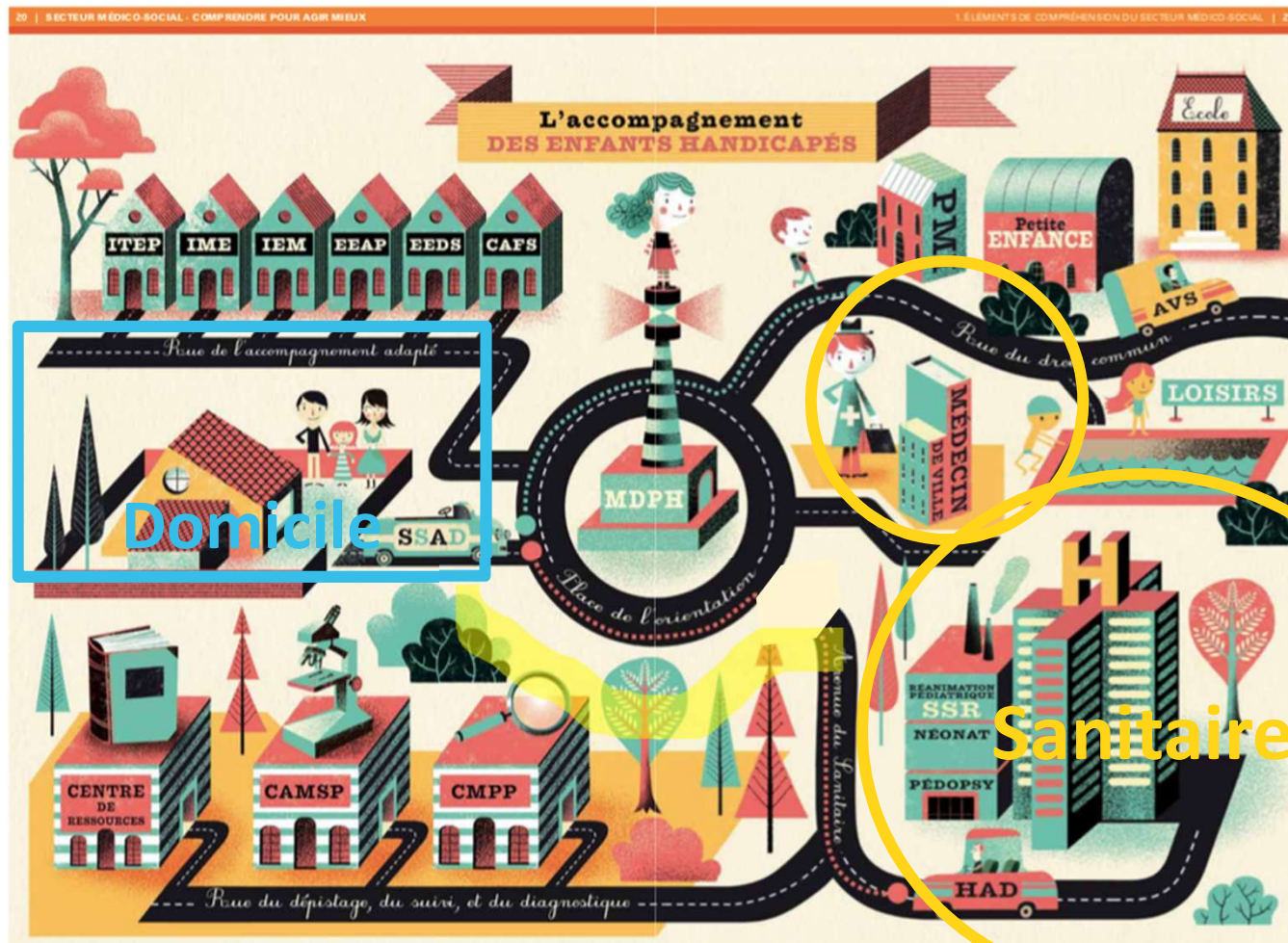
- ▶ Chronicité
 - *Perte de sens*
 - *Questionnements*

■ Importance de fixer des objectifs pour les visites

- ▶ Réévaluation clinique
- ▶ Réadaptation des soins
- ▶ Coordination, liens
- ▶ Education, réassurance
- ▶ répit



<https://www.cnsa.fr/documentation/guide-secteur-ms-web.pdf>



<https://www.cnsa.fr/documentation/guide-secteur-ms-web.pdf>

Une place à prendre ?

■ Suivi médico social

- ▶ Non en place, en cours d'organisation
- ▶ Dépassé par l'aggravation

■ Hôpital

- ▶ Pas toujours souhaité
- ▶ Submergé...
- ▶ Hospitalisations difficiles pour les familles, non adapté pour les réévaluation

HAD Frontière, experte

Mais aussi flexible et globale

31

HAD : un outil de soins à temporalité variable

- **Adaptabilité de l'institution**
 - **Singularité de chaque patient au sein de son domicile**
 - **Expérience des relations avec les aidants au sein de leurs domiciles**
 - **Durée des projets variables qq jours à quelques mois, voire ...**
- **Continuité entre les différents projets**
- **Prise en charge des aidants**

HAD comme soins de support

- **Soutien logistique**
 - Matériel
 - Médicaments
 - Aménagement du domicile
- **Prise en charge complète**
 - Tarification à la journée
 - tous les soins et Tout le matériel
 - Les transports en lien avec l'HAD
- **Coordination**
 - Acteurs de soins et de vie multiples
 - Coordination des différents intervenants
 - Synthèse et lien avant consultation hospitalière
 - Liens avec les autres soignants : ESME, réseaux, libéraux...
 - Co-intervention avec les autres acteurs

- **Place de l'HAD à affirmer en neuropédiatrie**
- **Rôle dans le parcours de soins des patients atteints de maladies rares**
- **Réflexion sur HAD et chronicité**
- **Agilité de l'HAD, place entre sanitaire et médico-social...**