



Konferenz der kantonalen Gesundheits-
direktorinnen und -direktoren

Conférence des directrices et directeurs
cantonaux de la santé

Conferenza delle direttrici e dei direttori
cantionali della sanità

Médecine hautement spécialisée

Haus der Kantone
Speichergasse 6, CH-3001 Bern

+41 31 356 20 20
office@gdk-cds.ch

www.gdk-cds.ch

Réévaluation Oncologie pédiatrique

Rapport explicatif pour le rattachement à la médecine hautement spécialisée

RAPPORT FINAL

Berne, 26 août 2021

Table des matières

1.	Résumé	4
2.	Mandat	6
3.	Démarche.....	6
4.	Description du domaine MHS	8
4.1	Traitement stationnaire général des cancers.....	9
4.2	Traitement des neuroblastomes	10
4.3	Traitement des sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses malignes....	10
4.4	Traitement des tumeurs du système nerveux central.....	11
4.5	Transplantations de cellules souches hématopoïétiques autologues	11
4.6	Transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques.....	12
4.7	Traitement des rétinoblastomes.....	12
4.8	Traitement des leucémies myéloïdes aiguës.....	12
5.	Critères de rattachement à la médecine hautement spécialisée	13
5.1	Critères CIMHS concernant le domaine de l'oncologie pédiatrique	13
6.	Résultats de la consultation	17
6.1	Avis	17
6.1.0	Avis concernant l'ensemble les domaines partiels.....	17
6.1.1	Traitement stationnaire général des cancers	18
6.1.2	Traitement des neuroblastomes	19
6.1.3	Traitement des sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses malignes	19
6.1.4	Traitement des tumeurs du système nerveux central	20
6.1.5	Transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques (TCSH).....	20
6.1.6	Transplantations de cellules souches hématopoïétiques autologues (TCSH).....	21
6.1.7	Traitement des rétinoblastomes	21
6.1.8	Traitement des leucémies myéloïdes aiguës	22
6.2	Appréciation de l'organe scientifique MHS	23
6.2.0	Avis concernant l'ensemble des domaines partiels.....	23
6.2.1	Traitement stationnaire général des cancers	24
6.2.2	Traitement des neuroblastomes	25
6.2.3	Traitement des sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses.....	25
6.2.4	Traitement des tumeurs du système nerveux central	25
6.2.5	Transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques (TCSH).....	25
6.2.6	Transplantations de cellules souches hématopoïétiques autologues TCSH).....	26
6.2.7	Traitement des rétinoblastomes	26
6.2.8	Traitement des leucémies myéloïdes aiguës	26
6.3	Conclusion de la consultation	27

7. Perspectives	28
Annexes	29
A1 Représentation du domaine MHS de l'oncologie pédiatrique dans la classification suisse des interventions chirurgicales (CHOP version 2021) et la classification internationale des maladies (CIM -10-GM-2021).....	29
A2 Références.....	30
A3 Abréviations	32

1. Résumé

Les cantons sont tenus d'établir conjointement une planification pour l'ensemble de la Suisse dans le domaine de la médecine hautement spécialisée (MHS) (art. 39, al.^{2bis} LAMal). Dans le cadre de la mise en œuvre de la convention relative à la médecine hautement spécialisée (CIMHS), le domaine de l'oncologie pédiatrique a été pour la première fois réglementé de façon légalement contraignante en 2013 et les premiers mandats de prestations attribués à différents centres MHS. Les mandats de prestations – et donc la liste des hôpitaux MHS dans ce domaine MHS – étaient en vigueur jusqu'au 31 décembre 2015, ou jusqu'au 31 décembre 2016 pour les transplantations de cellules souches hématopoïétiques autologues et allogéniques, et sont contrôlés dans le cadre d'une réévaluation.

Conformément aux dispositions du Tribunal administratif fédéral, il convient, pour la planification de la MHS, de suivre une procédure formellement séparée en deux temps qui distingue entre **rattachement** d'un domaine de prestations à la MHS (définition du domaine MHS) et **attribution** des prestations (établissement de la liste des hôpitaux MHS). La procédure de rattachement à la MHS vise à contrôler si le domaine de l'oncologie pédiatrique remplit les critères d'inclusion dans la MHS au sens de la CIMHS (art. 1 et art. 4, al. 4). C'est à cette fin que les organes de la CIMHS ont examiné la définition du domaine MHS « oncologie pédiatrique » de 2013 afin de déterminer si d'éventuelles adaptations sont nécessaires. La définition mise à jour du domaine MHS est présentée dans le présent rapport final.

Le domaine de la pédiatrie oncologique comprend le traitement des enfants et adolescents jusqu'à leur 18^e année révolue dans les huit domaines partiels suivants :

1. Traitement stationnaire général des cancers
2. Traitement des neuroblastomes
3. Traitement des sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses malignes
4. Traitement des tumeurs du système nerveux central
5. Transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques (TCSH)
6. Transplantations de cellules souches hématopoïétiques autologues (TCSH)
7. Traitement des rétinoblastomes
8. Traitement des leucémies myéloïdes aiguës

Outre les cinq domaines partiels de l'oncologie pédiatrique issus de la première évaluation de 2013, trois autres domaines partiels ont été créés dans le cadre de la réévaluation actuelle. Le traitement des rétinoblastomes, qui était jusqu'à présent rattaché au domaine MHS « pédiatrie et chirurgie pédiatrique hautement spécialisées », a été intégré au domaine de l'oncologie pédiatrique. Par ailleurs, l'ancien domaine partiel « transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques et autologues (TCSH) » a été scindé en deux domaines partiels distincts. De surcroît, le traitement des leucémies myéloïdes aiguës (LMA), qui était auparavant inclus dans le premier domaine partiel « traitement des enfants et adolescents cancéreux en milieu hospitalier », est dorénavant défini comme un domaine partiel séparé. Pour le reste, le premier domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers » a été rebaptisé, car l'intitulé original « Traitement des enfants et adolescents cancéreux en milieu hospitalier » a été considéré comme incorrect car équivoque.

Tous les domaines partiels précités se caractérisent sans exception par de faibles nombres de cas et des méthodes de traitement complexes nécessitant une infrastructure spécialisée et une coopération multidisciplinaire et multiprofessionnelle de spécialistes hautement qualifiés, et tous sont liés à des activités de recherche au niveau international. Pour ces raisons, les conditions pour le rattachement de l'oncologie pédiatrique à la MHS sont toujours remplies.

La définition remaniée de ce domaine MHS a fait l'objet d'une consultation en juin 2020. La grande majorité des participants à la consultation approuve le nouveau rattachement des huit domaines partiels de l'oncologie pédiatrique à la MHS. Tant les définitions dans la terminologie médicale que leur représentation dans la classification suisse des interventions chirurgicales (CHOP) et la classification internationale des maladies (CIM) sont bien accueillies par la majorité des participants. La consultation n'a débouché sur aucune adaptation structurelle ou de fond de la définition du domaine MHS qui avait été proposée.

Décision de rattachement à la MHS

Vu la recommandation de l'organe scientifique MHS, l'organe de décision MHS décide que l'oncologie pédiatrique doit continuer à être rattachée à la MHS.

2. Mandat

Les cantons sont tenus d'établir conjointement une planification pour l'ensemble de la Suisse dans le domaine de la médecine hautement spécialisée (MHS) (art. 39, al. 2^{bis} LAMal¹). C'est à cette fin qu'ils ont signé la convention intercantonale relative à la médecine hautement spécialisée (CIMHS)², et se sont ainsi engagés, dans l'intérêt d'une prise en charge médicale adaptée aux besoins, de haute qualité et économique, à planifier et à attribuer de conserve les prestations hautement spécialisées. La CIMHS constitue la base légale pour l'attribution des prestations ; elle fixe les processus de décision et définit les critères qu'une prestation doit remplir pour être considérée comme hautement spécialisée (voir à ce propos le chapitre « Critères de rattachement à la médecine hautement spécialisée »). Les décisions d'attribution prises dans le cadre de la mise en œuvre de la CIMHS ont force légale dans toute la Suisse et, en vertu de l'art. 9, al. 2 de la CIMHS, prévalent sur les attributions de prestations cantonales. En ratifiant la convention, les cantons ont délégué à l'organe de décision MHS la compétence pour définir et planifier le domaine de la MHS. La CIMHS fixe par ailleurs certains principes qui doivent être respectés dans la planification à l'échelle nationale. Ne sont concernées que les prestations cofinancées par les assurances sociales suisses, en particulier l'assurance obligatoire des soins (AOS) (art. 7, al. 4, CIMHS). Afin de parvenir à des synergies, il convient de veiller à ce que les prestations médicales faisant l'objet d'une concentration soient attribuées à un petit nombre de centres multidisciplinaires (art. 7, al. 1, CIMHS). La planification doit inclure l'enseignement et la recherche et tenir compte des interdépendances entre les différents domaines médicaux hautement spécialisés (art. 7, al. 2 et 3, CIMHS).

La planification de la MHS conforme aux besoins est un processus dynamique qui dépend des capacités hospitalières requises et peut se faire de façon progressive. Lors de l'établissement de la liste des hôpitaux MHS, il importe de tenir compte des modifications intervenues dans l'offre de soins de même que des changements structurels et humains significatifs survenus entre-temps. Les attributions de prestations sont par conséquent limitées dans le temps (art. 3, al. 4 CIMHS) et sont contrôlées régulièrement dans le cadre d'une procédure de réévaluation.

3. Démarche

Dans le cadre de la mise en œuvre de la CIMHS, le domaine de l'oncologie pédiatrique a été réglementé pour la première fois de façon légalement contraignante en 2013 et les premiers mandats de prestations attribués à divers centres.³ Les mandats de prestations – et donc la liste des hôpitaux MHS dans ce domaine MHS – étaient en vigueur jusqu'au 31.12.2015, ou jusqu'au 31.12.2016 pour les transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques et autologues, et doivent être contrôlées dans le cadre d'une réévaluation. Conformément aux dispositions du Tribunal administratif fédéral, il convient, pour la planification de la MHS, de suivre une procédure formellement séparée en deux temps qui distingue entre **rattachement** d'un domaine de prestations à la MHS (définition du domaine MHS) et **attribution** des prestations (établissement de la liste des hôpitaux MHS).

La procédure de rattachement à la MHS vise à contrôler si le domaine de l'oncologie pédiatrique continue à remplir les critères d'inclusion dans la MHS au sens de la CIMHS (art. 1 et art. 4, al. 4). C'est à cette fin que l'organe scientifique MHS a examiné la définition du domaine MHS « oncologie pédiatrique » de 2013 afin de déterminer si d'éventuelles adaptations sont nécessaires. Dans le présent rapport, le domaine MHS est défini (dans la définition actualisée) aussi bien dans la terminologie médicale que dans la classification suisse des interventions chirurgicales (CHOP) et la classification internationale des maladies (CIM) (voir annexe 1).

La réévaluation visant à savoir si le domaine de l'oncologie pédiatrique doit continuer à être rattaché à la MHS se fonde sur l'examen des éléments-clés suivants:

- Examen critique de la définition des interventions hautement spécialisées, c.-à-d. quelles opérations/interventions doivent être considérées comme hautement spécialisées ?
- Examen du degré de respect des critères CIMHS selon l'art. 1 de la CIMHS

¹ Loi fédérale du 18 mars 1994 sur l'assurance-maladie (LAMal), RS 832.10

² Convention intercantonale relative à la médecine hautement spécialisée (CIMHS) du 14 mars 2008.

³ Les attributions de prestations dans le domaine de l'oncologie pédiatrique hautement spécialisée ont été publiées dans la Feuille fédérale (FF 2013 6773, 6781, 6783, 6786, 6789) et sont consultables sur le site internet de la Conférence des directeurs de la santé (<https://www.gdk-cds.ch/de/hochspezialisierte-medizin/spitalliste>).

- Examen complémentaire du degré de respect des critères CIMHS selon l'art. 4, al. 4 de la CIMHS.

Dans le cadre de la procédure de consultation, un large éventail de destinataires a eu la possibilité de prendre position sur le choix et la définition du domaine MHS considéré. Les avis formulés ont été compilés de manière systématique dans un **rapport sur les résultats**⁴ et sont accessibles au public sur le site internet de la Conférence des directrices et directeurs cantonaux de la santé (www.gdk-cds.ch). La décision de rattachement prise par l'organe de décision MHS est publiée dans la Feuille fédérale. Ce n'est qu'une fois le rattachement entériné que débutera la deuxième phase de la planification, savoir l'attribution des prestations. Une procédure de candidature est organisée avant l'attribution des mandats de prestations ; elle offre aux fournisseurs de prestations intéressés la possibilité de se porter candidats à un mandat de prestations.

⁴ Consultation relative au rattachement à la MHS du domaine MHS « oncologie pédiatrique » du 16 juin 2020, rapport sur les résultats du 26 août 2021.

4. Description du domaine MHS

Les cancers dans l'enfance et l'adolescence se distinguent à divers titres de ceux à l'âge adulte. Les principales différences concernent la fréquence des cancers dans leur ensemble, la localisation des tumeurs, leur morphologie, le comportement biologique et le pronostic. Les cancers chez l'enfant et l'adolescent sont très rares (*cf.* paragraphe sur la rareté). L'utilisation, dans des institutions de référence en garantissant la qualité, de stratégies thérapeutiques appropriées ainsi que de méthodes diagnostiques spéciales (imagerie médicale, immuno-histochimie, cytogénétique et génétique moléculaire) a permis d'améliorer continuellement les taux de succès thérapeutique. A l'heure actuelle, le taux de guérison en Suisse est de 88 % (taux de survie à 5 ans) et donc nettement plus élevé que chez l'adulte [1]. Il n'en reste pas moins que les cancers demeurent, avec les accidents, la principale cause de décès chez l'enfant en Suisse [2].

Dans la mesure où, chez l'enfant et l'adolescent, les cancers se développent à partir de types de tissus des plus variés, ces tumeurs sont classées selon le type tissulaire (histologie) et non pas selon leur localisation. La classification internationale des tumeurs chez l'enfant (ICCC-3) distingue 12 groupes de tumeurs; les cancers les plus fréquents sont les leucémies (34 % de l'ensemble des tumeurs), suivies par les tumeurs du système nerveux central (21 %) et les lymphomes (11 %). Les cancers dérivés des tissus embryonnaires comprennent notamment le neuroblastome (7 %), développé à partir du tissu nerveux primitif, le néphroblastome, développé à partir du tissu rénal, et l'hépatoblastome (6 %) dans le foie, le rétinoblastome (2 %), développé à partir des cellules de la rétine, ainsi que des tumeurs des cellules germinales (4 %). Par ailleurs, chez les enfants plus âgés et les adolescents, on observe avec une fréquence croissante des tumeurs osseuses malignes (4 %) et des sarcomes des tissus mous (6 %), qui proviennent du tissu conjonctif et de tissus de soutien dégénérés [3].

Outre les différences déjà mentionnées, les cancers de l'enfant et de l'adolescent se distinguent aussi notablement par le traitement requis. La plupart des tumeurs de l'enfant et de l'adolescent répondent bien à la chimiothérapie, et dans la majorité des tumeurs solides, le principe de la chimiothérapie néoadjuvante est appliqué. Étant donné la forte tendance de ces tumeurs à métastaser rapidement, la chimiothérapie revêt ici un rôle crucial (elle permet en effet d'éliminer les micro-métastases qui existent déjà le plus souvent dès le diagnostic). Qui plus est, le recours à une chimiothérapie néoadjuvante avant le traitement local (opération et/ou radiothérapie) permet de tuer aussi des cellules cancéreuses au sein de la tumeur même et de réduire le volume tumoral, si bien qu'on pratique beaucoup moins d'opérations mutilantes et que, dans les tumeurs osseuses, les opérations conservatrices (au lieu d'amputations des membres) sont souvent possibles aujourd'hui. À la différence des adultes, le traitement est donc ici avant tout fondé sur une chimiothérapie systémique – principale composante d'un traitement combiné complexe – reposant sur plusieurs cycles de chimiothérapie avec plusieurs médicaments, éventuellement complétée par de la chirurgie, de la radiothérapie ou des greffes de moelle osseuse.

Le domaine de la pédiatrie oncologique comprend le traitement des enfants et adolescents jusqu'à leur 18^e année révolue dans les huit domaines partiels suivants :

1. Traitement stationnaire général des cancers
2. Traitement des neuroblastomes
3. Traitement des sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses malignes
4. Traitement des tumeurs du système nerveux central
5. Transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques (TCSH)
6. Transplantations de cellules souches hématopoïétiques autologues (TCSH)
7. Traitement des rétinoblastomes
8. Traitement des leucémies myéloïdes aiguës

Dans le cadre de la première évaluation du domaine « oncologie pédiatrique » en 2013, cinq sous-domaines avaient été définis qui, en raison du petit nombre de cas, des formes de traitement complexes et coûteuses nécessitant une étroite coopération multidisciplinaire entre différents spécialistes, étaient considérés comme hautement spécialisés au sens de la CIMHS. Outre les cinq domaines partiels de l'oncologie pédiatrique issus de la première évaluation de 2013, trois autres domaines partiels ont été créés dans le cadre de la réévaluation actuelle. Le traitement des rétinoblastomes, qui était jusqu'à présent

rattaché au domaine MHS « pédiatrie et chirurgie pédiatrique hautement spécialisées », a été intégré au domaine de l'oncologie pédiatrique, car il s'agit d'une pathologie cancéreuse. De plus, l'ancien domaine partiel « Transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques et autologues (TCSH) » a été scindé en deux domaines partiels distincts, car ils diffèrent en ce qui concerne le bilan diagnostique préalable, la méthode de traitement et les exigences imposées aux centres de traitement. De surcroît, le traitement des leucémies myéloïdes aiguës (LMA), qui était auparavant inclus dans le premier domaine partiel « traitement des enfants et adolescents cancéreux en milieu hospitalier », est dorénavant défini comme un domaine partiel séparé. Cela tient au fait que les LMA chez l'enfant et l'adolescent sont beaucoup plus rares que les leucémies lymphoblastiques aiguës (LLA) et que leur traitement est encore plus complexe que le traitement stationnaire général des cancers chez l'enfant et l'adolescent.

Pour le reste, le premier domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers » a été rebaptisé, car l'intitulé original « traitement des enfants et adolescents cancéreux en milieu hospitalier » a été considéré comme incorrect car équivoque. Ce nouveau titre indique clairement que ce domaine partiel couvre le traitement de base général des cancers dans l'enfance et l'adolescence, tandis que les traitements et opérations rattachés à l'un des sept autres domaines partiels nécessitent des compétences particulières supplémentaires (cf. chapitre 4.1.)

Enfin, un âge limite uniforme a été fixé à 18 ans révolus pour tous les domaines partiels de l'oncologie pédiatrique dans le cadre de la présente réévaluation. Cette démarcation entre pédiatrie et médecine pour adultes correspond aux normes internationales pour la définition de l'enfance et de l'adolescence (OMS et Convention des Nations Unies relative aux droits de l'enfant); elle est également soutenue par les recommandations de l'Association suisse pour la santé des adolescents (ASSA) [4] ainsi que par le groupe d'accompagnement MHS « oncologie pédiatrique » et l'organe scientifique MHS. Dans le domaine de la pédiatrie oncologique spécifiquement, on dispose en outre d'études qui attestent que la qualité des résultats du traitement des adolescents avancés et des adultes jeunes atteints de leucémie avec des protocoles d'études pédiatriques est meilleure dans les centres d'oncologie pédiatrique que dans les services hospitaliers de médecine pour adultes [5-8]. Bien que, sur le plan physique, le développement de certains systèmes (musculo-squelettique notamment) chez les jeunes de 16 à 17 ans puisse être comparable à celui des adultes, il faut toutefois aussi tenir compte, outre le développement physique, des aspects psychologiques et sociaux qui, eux, diffèrent fondamentalement chez les adolescents et les adultes. Dans le souci d'un traitement et d'une prise en charge globale des patients mineurs, il convient qu'un âge limite uniforme de 18 ans révolus s'applique désormais dans tous les domaines pédiatriques de la MHS.

Les sous-chapitres suivants s'attachent à définir les huit domaines partiels de l'oncologie pédiatrique sur le plan médical. Les codes CHOP et CIM (voir annexe 1) servent à donner une définition exacte du domaine MHS.

4.1 Traitement stationnaire général des cancers

Font partie de ce domaine partiel l'ensemble des traitements stationnaires des cancers chez l'enfant et l'adolescent qui ne sont pas rattachés séparément à l'un des sept autres domaines partiels de l'oncologie pédiatrique. Il s'agit des traitements des lymphomes malins, des tumeurs rénales, des tumeurs des cellules germinales, des tumeurs malignes embryonnaires, de l'histiocytose langerhansienne, des tumeurs malignes du foie⁵, des leucémies lymphoblastiques aiguës, des anémies aplasiques sévères, des syndromes myélodysplasiques ainsi que du traitement d'autres cancers rares de l'enfant et l'adolescent. A côté des interventions chirurgicales pour les cancers précités comme l'ablation partielle ou totale des tissus ou des organes atteints, ce domaine partiel comprend également les chimiothérapies stationnaires chez l'enfant et l'adolescent. Ne font en revanche pas partie de ce domaine partiel les chimiothérapies pour les rétinoblastomes et les leucémies myéloïdes aiguës, qui font l'objet d'un rattachement distinct aux domaines partiels correspondants. Cela est justifié par le fait que la chimiothérapie intra-artérielle et intra-vitréenne dans les rétinoblastomes est foncièrement distincte de la chimiothérapie standard par voie intraveineuse. De même, la chimiothérapie, et en particulier le traitement de soutien dans la LMA, est plus complexe et dispose à davantage de complications que dans les autres formes de cancers. Celle-ci peut donc être

⁵ Seul le traitement oncologique stationnaire général des cancers hépatiques est rattaché au présent domaine partiel MHS. Les interventions chirurgicales complexes électives dans les cancers du foie, des voies biliaires et du pancréas relèvent en revanche du domaine MHS « Pédiatrie et chirurgie pédiatrique hautement spécialisées ».

considérée comme un domaine de prestations médicales distinct au sein de l'oncologie pédiatrique et constitue un domaine partiel séparé.

La chimiothérapie stationnaire chez l'enfant et l'adolescent cancéreux comprend une procédure thérapeutique extrêmement délicate et nécessite une équipe médicale et paramédicale spécialisée ainsi que d'autres professionnels qualifiés. Les cancers de l'enfant et de l'adolescent étant très rares, les traitements en Suisse sont réalisés sous la forme d'études cliniques. Dans un travail collaboratif entre les divers services hospitaliers participant au traitement, les meilleures découvertes scientifiques sont ainsi développées et appliquées afin de mettre en œuvre la thérapie la plus efficace avec la meilleure qualité de vie possible à court et à long terme [9]. La grande complexité du traitement, la nécessité d'être sûr de disposer des spécialistes nécessaires et de l'infrastructure impliquent que le traitement de tous les enfants et adolescents atteints d'un cancer doit avoir lieu dans un centre d'oncologie pour enfants et adolescents [10-12].

4.2 Traitement des neuroblastomes

Les neuroblastomes sont des tumeurs solides qui se développent à partir de cellules immatures dégénérées du système nerveux sympathique ; ils se manifestent essentiellement dans les glandes surrénales, mais aussi le long du rachis, dans la région de la tête, du cou et de la nuque, ainsi qu'au niveau du thorax, de l'abdomen et du bassin. Un diagnostic spécifique histogénétique, cytogénétique et de génétique moléculaire permet de classer les neuroblastomes en différentes catégories de risque. On distingue ainsi les tumeurs pouvant spontanément régresser par différenciation (généralement chez les très jeunes patients), les tumeurs nécessitant un traitement peu ou modérément agressif pour guérir et les tumeurs agressives à haut risque. Le diagnostic doit donc être promptement posé par des professionnels spécialisés (chirurgie : prélèvement d'un échantillon tissulaire représentatif ; histologie : expertise reconnue pour cette maladie ; génétique moléculaire: laboratoire spécialement équipé pour ces examens). Le traitement des neuroblastomes à haut risque (plus de la moitié des cas de neuroblastome) est extrêmement complexe. Il associe le plus souvent une chimiothérapie et une intervention chirurgicale suivies par une chimiothérapie hautement dosée avec sauvetage par des cellules souches autologues, ainsi que, dans certains cas, une radiothérapie. Il se poursuit éventuellement par une immunothérapie avec un anticorps dirigé contre des cellules du neuroblastome.

La résection chirurgicale des neuroblastomes peut être délicate et complexe, car les tumeurs sont extrêmement invasives et adhèrent aux structures environnantes. Elle est discutée au sein d'une équipe multidisciplinaire, car le moment et la radicalité de l'opération dépendent du stade, de facteurs biologiques et de la réponse du neuroblastome à la chimiothérapie. Cette dernière vise à réduire la tumeur primaire et à la rendre résécable. L'objectif de la chirurgie des neuroblastomes est, lorsque la technique chirurgicale le permet, de parvenir à une excision complète, mais avec une morbidité minimale, de façon à contribuer à un contrôle local de la tumeur sans toutefois entraîner de mutilation. En outre, la stratégie chirurgicale doit être adaptée à la localisation du neuroblastome, qui peut être cervicale, thoracique, abdominale ou aussi combinée, ce qui suppose que le chirurgien soit dûment expérimenté [13, 14].

Ce domaine partiel couvre toutes les interventions chirurgicales pour des neuroblastomes. La chimiothérapie stationnaire pour les neuroblastomes relève en revanche du premier domaine partiel « Traitement stationnaire général des cancers ».

4.3 Traitement des sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses malignes

Les tumeurs osseuses malignes chez l'enfant sont rares (4 % des tumeurs chez l'enfant et l'adolescent). L'ostéosarcome et le sarcome d'Ewing représentent les cancers osseux pédiatriques les plus fréquents ; ils sont d'une grande malignité et métastasent très rapidement (en l'espace de quelques semaines). Ils surviennent le plus souvent au cours de la deuxième décennie de vie, pendant la phase de croissance pubertaire. Les sarcomes d'Ewing peuvent aussi apparaître à un âge encore plus précoce. Le traitement des patients atteints de tumeurs osseuses malignes fait en général appel à une longue chimiothérapie et à une intervention chirurgicale.

Les sarcomes des tissus mous sont des tumeurs malignes qui affectent les muscles, les ligaments, les articulations ou le tissu nerveux. Il s'agit d'une forme relativement rare mais très invasive de cancer, qui représente cependant environ 6 % des cancers de l'enfant et de l'adolescent. Le traitement habituel comprend une chimiothérapie néoadjuvante et, dans la mesure du possible, l'ablation chirurgicale de la tumeur.

Les sarcomes des tissus mous et les tumeurs osseuses malignes sont très invasifs et nécessitent une technique d'abord et une technique chirurgicales spéciales. La résection chirurgicale peut s'avérer extrêmement complexe et requiert une longue expérience aussi bien en chirurgie des sarcomes qu'en orthopédie, en chirurgie viscérale et en chirurgie thoracique. La résection chirurgicale généralement extensive implique de faire appel à des spécialistes de chirurgie reconstructive. Cela implique souvent de lourdes opérations de chirurgie plastique en plusieurs temps visant à préserver la fonction, par exemple des membres touchés. S'il n'est pas possible d'éviter une amputation, la mise en place d'une prothèse ou/et d'autres opérations sont nécessaires par la suite pour optimiser la situation musculo-squelettique statique. Dans ce domaine, les spécialistes en orthopédie, en chirurgie plastique, en chirurgie vasculaire et en chirurgie viscérale ou thoracique (pédiatrique) travaillent donc souvent dans une équipe qui planifie minutieusement les interventions complexes sous l'angle de la multidisciplinarité [15, 16].

Ce domaine partiel MHS comprend les interventions chirurgicales pour les sarcomes des tissus mous et pour les tumeurs osseuses malignes. La chimiothérapie stationnaire pour ces cancers relève en revanche du premier domaine partiel « Traitement stationnaire général des cancers ». Qui plus est, par rapport à la première évaluation de ce domaine partiel MHS en 2013, on n'opère plus de distinction entre le traitement des sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses malignes des membres et du tronc.

4.4 Traitement des tumeurs du système nerveux central

Les tumeurs du système nerveux central (tumeurs du SNC) sont des tumeurs solides qui ont pour origine le cerveau ou la moelle épinière. Avec 21 % des cas de cancers, elles constituent la deuxième cause de cancer la plus fréquente chez l'enfant et l'adolescent (après les leucémies) [3]. 40-50 enfants et adolescents en sont atteints chaque année en Suisse, le plus souvent sous la forme d'une tumeur cérébrale [3, 17]. Le traitement d'une tumeur du SNC passe normalement par la chirurgie, et assez souvent par une combinaison incluant chirurgie, chimiothérapie et /ou radiothérapie [18].

Ce domaine partiel MHS comprend exclusivement les interventions chirurgicales pour des tumeurs du SNC. La chimiothérapie stationnaire pour ces tumeurs relève, le cas échéant, du premier domaine partiel « Traitement stationnaire général des cancers » .

La neurochirurgie pédiatrique impose des exigences particulières aux neurochirurgiens et constitue un domaine spécial de la neurochirurgie. Les problèmes neurochirurgicaux s'y distinguent de ceux de la neurochirurgie adulte. De plus, un matériel et des équipements spécialement fabriqués pour les enfants sont nécessaires. Par ailleurs, la nature des tumeurs cérébrales doit être évaluée autrement que pour les tumeurs périphériques, car la prise en charge et le pronostic ne dépendent pas seulement de l'histologie, mais aussi de la localisation et de la croissance locale et, de plus en plus, des caractéristiques moléculaires, ce qui fait que les tumeurs cérébrales même « bénignes » doivent être traitées dans un service de neurochirurgie spécialisée. Les enfants et adolescents chez qui un processus expansif a été diagnostiqué en imagerie médicale au niveau du cerveau, des méninges ou de la moelle osseuse doivent donc être pris en charge dans un centre possédant un service de neurochirurgie et une expérience en neurochirurgie pédiatrique [19].

4.5 Transplantations de cellules souches hématopoïétiques autologues

La transplantation de cellules souches hématopoïétiques (TCSH) est aujourd'hui un traitement bien établi des pathologies congénitales ou acquises graves du système hématopoïétique, du système immunitaire ou du métabolisme, ainsi que de certains cancers. Les TCSH autologues consistent à prélever les propres cellules de la moelle osseuse du patient et à les lui réinjecter ultérieurement. Celles-ci sont congelées après prélèvement (cryoconservation). Les patients reçoivent ensuite une chimiothérapie intensive (à haute dose), éventuellement combinée à une radiothérapie, après laquelle leur propre moelle osseuse ne récupérerait plus. Une récupération est toutefois possible grâce à la réinjection des cellules souches congelées. Ce traitement est connu sous le nom de chimiothérapie intensive avec sauvetage médullaire par cellules souches autologues, car il ne s'agit pas ici d'une transfusion de cellules souches hématopoïétiques étrangères. Les TCSH autologues sont employées pour diverses tumeurs hématologiques, embryonnaires et solides (la moitié < 6 ans) [20, 21]. Toutes les TCSH autologues relèvent de ce domaine partiel MHS, indépendamment de leur indication.

4.6 Transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques

Dans les TCSH allogéniques, les cellules souches nécessaires au traitement du patient sont prélevées chez une autre personne saine (donneur) et injectées à l'enfant ou l'adolescent malade. La réalisation d'une TCSH allogénique nécessite un bilan pré-greffe, en particulier la recherche d'un donneur approprié. Les transplantations réalisées en l'absence de compatibilité HLA ou avec une compatibilité HLA partielle comportent un risque très élevé de complications. Les cellules souches du donneur sont en général prélevées dans le sang périphérique, beaucoup plus rarement dans la moelle osseuse ou au niveau du cordon ombilical. Pour préparer la transplantation (afin de limiter les risques de rejet), les patients reçoivent en général un traitement appelé conditionnement (chimiothérapie d'intensité variable, éventuellement complétée par une radiothérapie). La transplantation est ensuite effectuée par injection intraveineuse des cellules souches du donneur. Après la greffe, les patients doivent être placés sous traitement immunosuppresseur pour éviter la survenue d'une réaction du greffon contre l'hôte (« graft-versus-host ») ; cependant, contrairement aux transplantations d'organes solides, l'immunosuppression dans les TCSH allogéniques est en général limitée dans le temps.

Les TCSH allogéniques chez les patients pédiatriques sont réalisées pour moitié en raison de diverses maladies génétiques du système immunitaire, de l'hématopoïèse et du métabolisme (la plupart du temps chez le nourrisson et le petit enfant) et, dans l'autre moitié des cas, dans le cadre du traitement des leucémies aiguës (en général chez les enfants d'âge scolaire) [20, 21]⁶. Ce domaine partiel MHS couvre toutes les TCSH allogéniques indiquées pour des raisons hémato-oncologiques – mais pas les TCSH allogéniques effectuées chez les patients atteints de déficits immunitaires primitifs graves. Celles-ci sont rattachées au domaine partiel « traitements spéciaux pour les immunodéficiences (génétiques) » du domaine MHS « Pédiatrie et chirurgie pédiatrique », car leur réalisation impose des exigences particulières additionnelles, spécifiques aux déficits immunitaires, en termes de traitement.

4.7 Traitement des rétinoblastomes

Le rétinoblastome est un cancer rare de l'œil. Il se développe au niveau de la rétine et se rencontre presque exclusivement chez l'enfant. On distingue les formes héréditaires et les formes non héréditaires de la maladie. Le rétinoblastome peut toucher un œil ou les deux yeux. La plupart du temps, seul un œil est affecté (rétinoblastome unilatéral) ; dans un peu plus d'un tiers des enfants, ce sont les deux yeux qui sont touchés (rétinoblastome bilatéral). L'évolution naturelle d'un rétinoblastome est presque toujours fatale, les régressions spontanées étant extrêmement rares (1-2 % des cas). D'un autre côté, le rétinoblastome fait partie des cancers curables. A condition de dépister et de traiter la tumeur à temps, plus de 95 % des enfants peuvent aujourd'hui en être guéris [22, 23]. L'objectif du traitement d'un rétinoblastome est curatif, ce qui signifie que l'on vise la guérison, si possible avec conservation de l'œil, autrement dit en évitant toute chirurgie mutilante (énucléation) ainsi que toute radiothérapie (y compris protonthérapie). Le risque de tumeurs secondaires est en effet significativement accru en cas d'irradiation chez les patients présentant une prédisposition au cancer [24].

Outre les traitements intraoculaires locaux (hyperthermie, cryothérapie, photocoagulation au laser, brachythérapie avec plaque), de nouveaux traitements conservateurs ont été développés ces dernières années afin d'améliorer le traitement tumoral intraoculaire pour éviter entièrement la radiothérapie et conserver si possible l'œil avec une fonction visuelle. Ces traitements comprennent l'administration intra-artérielle (dans l'artère ophtalmique), intra-vitréenne (dans le corps vitré) et intra-camérulaire (dans la chambre antérieure de l'œil) d'une chimiothérapie [25] ; ils requièrent une équipe multidisciplinaire (spécialistes en ophtalmologie, en oncologie, en neuroradiologie interventionnelle et en anesthésie) formée à ce type de traitement afin d'administrer correctement les médicaments ainsi que d'éviter ou de prendre correctement en charge les complications possibles pendant et après le traitement [26]. Ce domaine partiel MHS couvre aussi bien les interventions chirurgicales que les nouveaux traitements conservateurs précités, y compris toutes les chimiothérapies pour les rétinoblastomes.

4.8 Traitement des leucémies myéloïdes aiguës

Les leucémies aiguës chez l'enfant et l'adolescent peuvent être divisées grosso modo en leucémies lymphoblastiques aiguës (les plus fréquentes) (LLA) et en leucémies myéloïdes aiguës (LMA), plus rares. Les

⁶ Voir aussi le rapport sur le rattachement à la MHS des transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques chez l'adulte du 25 août 2016.

LMA représentent environ 15-20 % de l'ensemble des leucémies chez l'enfant et comprennent env. un tiers de l'ensemble des leucémies chez l'adolescent. Le pronostic global des LMA est nettement plus mauvais que celui des LLA dans les mêmes tranches d'âge. Le traitement consiste en des chimiothérapies stationnaires intensives qui entraînent une aplasie profonde de la moelle osseuse pouvant durer plusieurs jours à plusieurs semaines, avec toutes les conséquences habituelles (thrombopénie sévère, neutropénie sévère avec nette augmentation du risque d'infections graves mettant en jeu le pronostic vital). Plusieurs cycles de chimiothérapie intensive en milieu hospitalier sont nécessaires pour parvenir à une rémission persistante de la leucémie.

Le traitement stationnaire des LMA requiert les connaissances spécialisées d'une équipe interdisciplinaire composée de spécialistes en hématologie-oncologie pédiatrique, en infectiologie et en soins spécialisés dans une unité dédiée aux leucémies, et comprend également la prise en charge psycho-oncologique des patients ainsi que des parents. Malgré l'amélioration du pronostic de la LMA chez l'enfant et l'adolescent au cours des dernières décennies, la recherche clinique demeure nécessaire avec pour défi de parvenir, dans un groupe de leucémies de l'enfant déjà rares en soi, à une optimisation différenciée du traitement dans quelques entités moléculaires LMA très rares à l'aide d'études cliniques multicentriques internationales [27, 28].

La leucémie promyélocytaire aiguë (LPA) rend compte d'env. 5-10 % de l'ensemble des cas de LMA pédiatrique et représente donc un cas particulier extrêmement rare. La LPA a été récemment traitée avec succès par des associations de médicaments sans chimiothérapie qui permettent de surmonter le blocage de maturation des blastes dans la LPA. C'est surtout au début du traitement qu'il existe un risque d'hémorragies graves dans la LPA. La réussite du traitement de cette forme de leucémie reste par conséquent délicate, en particulier lors de sa phase d'induction initiale en milieu hospitalier. Il convient également de préciser qu'elle nécessite une équipe interdisciplinaire très expérimentée et comprenant aussi des spécialistes de l'hémostase.

5. Critères de rattachement à la médecine hautement spécialisée

La CIMHS fixe les critères qu'un domaine médical doit remplir pour entrer dans le champ d'application de la CIMHS. Selon l'article 1 de la CIMHS, les domaines médicaux et prestations relevant de la planification intercantonale de la MHS au sens de la CIMHS sont ceux qui se caractérisent par leur rareté, leur potentiel d'innovation prononcé, un investissement humain ou technique élevé ou par des méthodes de traitement complexes. Au moins trois des critères mentionnés doivent être remplis pour le rattachement à la MHS, celui de la rareté de l'intervention devant obligatoirement l'être.

Selon l'article 4, alinéa 4, de la CIMHS, d'autres critères doivent être pris en considération pour l'intégration dans la liste des domaines MHS ; il s'agit notamment de l'efficacité et de l'utilité, de la durée d'application technique et économique, ainsi que des coûts de la prestation médicale concernée. On doit de plus tenir compte de l'importance du lien avec la recherche et l'enseignement ainsi que de la compétitivité internationale de la Suisse. Le rattachement des huit domaines partiels de l'oncologie pédiatrique est évalué ci-après sur la base des critères CIMHS précités.

5.1 Critères CIMHS concernant le domaine de l'oncologie pédiatrique

Rareté

Selon l'art. 1 de la CIMHS, un domaine de prestations médicales doit impérativement satisfaire au critère de rareté pour relever de la CIMHS. La rareté doit toujours être appréciée en tenant compte des autres critères CIMHS mentionnés à l'art. 1 CIMHS que sont le « potentiel d'innovation », un « investissement humain ou technique élevé » et des « méthodes de traitement complexes ». On préfère ainsi ne pas fixer un nombre maximal absolu de cas pour la définition de la rareté.

Les cancers chez l'enfant et l'adolescent sont rares - seul environ 1 % de l'ensemble des tumeurs survient dans l'enfance et l'adolescence. Entre 0 et 14 ans, environ 250 cas par an en moyenne ont été diagnostiqués en Suisse dans la période 2014–2018 [3, 9].⁷ En outre, pendant la même période, environ 75 diagnostics ont été enregistrés dans la tranche d'âge 15-20 ans [9].

⁷ Suisses de sexe féminin et masculin âgés de 0 à 14 ans au moment du diagnostic ; tous les diagnostics (ICCC-3 ou histiocytose langerhansienne)

Potentiel d'innovation

Le potentiel d'innovation d'une prestation médicale peut comprendre aussi bien l'innovation scientifique, qui repose en général sur la recherche clinique multidisciplinaire ou la recherche translationnelle (« bench to bedside »), que l'innovation dans les domaines des techniques chirurgicales, notamment le développement de nouvelles méthodes chirurgicales ou thérapeutiques.

Les innovations diagnostiques et thérapeutiques, les études thérapeutiques prospectives, contrôlées et randomisées, mais aussi l'amélioration des méthodes diagnostiques ont permis ces dernières années de faire grimper les taux de survie des enfants et adolescentes cancéreux à près de 90 % [1]. Les progrès tiennent à l'emploi de cytostatiques connus et nouveaux (combinaison de chimiothérapies, thérapies ciblées par anticorps, immunothérapie, thérapies à haute dose), le développement de nouveaux procédés chirurgicaux et de radiothérapie, ainsi que la mise au point de méthodes diagnostiques à la fois meilleures et plus spécifiques (notamment les analyses cytogénétiques et de génétique moléculaire, ainsi qu'un diagnostic plus complexe par imagerie médicale et des analyses biomédicales en laboratoire). A la base des concepts thérapeutiques couronnés de succès, on trouve la combinaison d'une polychimiothérapie systémique intensive avec un traitement chirurgical local et/ou radiothérapeutique constamment amélioré. Des solutions innovantes continueront aussi d'être nécessaires à l'avenir pour garantir et améliorer la santé et la qualité de vie des survivants. En témoignent les projets de recherche et les études cliniques en cours qui visent à continuer d'améliorer les taux de guérison, à réduire les effets secondaires et les effets tardifs ainsi qu'à identifier et minimiser les facteurs de risque pour la morbidité et la mortalité [29-32].

Investissement humain et/ou technique élevé

L'évaluation de l'investissement humain comprend aussi bien la disponibilité temporelle du personnel médical et du personnel soignant nécessaires au traitement que l'éventail des disciplines impliquées dans le traitement. L'évaluation de l'investissement technique repose sur l'appréciation des infrastructures et des installations techniques nécessaires à la prise en charge et au traitement.

Dans le domaine de l'oncologie pédiatrique, c'est avant tout la disponibilité 24 h/24 de spécialistes hautement qualifiés qui est nécessaire, mais aussi celle d'autres personnels expérimentés [33-36]. Les interventions sélectionnées supposent une équipe interdisciplinaire et hautement spécialisée ainsi qu'une collaboration entre le service d'oncologie pédiatrique, le service de chirurgie concerné et un service de radio-oncologie spécialisée. Cela vaut déjà pour le diagnostic qui, compte tenu de la progression rapide de la maladie, doit être posé sans délai. A cet égard, l'expérience en anatomopathologie et en biologie des tumeurs joue un rôle central en ce qui concerne la détermination du grade de la maladie et le choix du traitement approprié.

La chimiothérapie est un traitement complexe et potentiellement dangereux. La chimiothérapie (néoadjuvante) représente une composante essentielle du traitement. Elle se fait en général au début de tout traitement et vise, dans les tumeurs solides, à détruire à un stade précoce les petites métastases microscopiques, ainsi qu'à tuer le plus grand nombre possible de cellules dans la tumeur et à réduire son volume (afin de pouvoir l'opérer plus facilement et autant que faire se peut sans mutilation). Elle doit être administrée et surveillée par un personnel médical et paramédical expérimenté afin de reconnaître précocement des effets indésirables et de les traiter au mieux. Chez les patients présentant une tumeur localisée, il faut ensuite, à un moment fixé dans le protocole thérapeutique, pratiquer une opération et/ou une radiothérapie. Ces deux méthodes incombent à des médecins s'occupant à plein temps d'enfants et d'adolescents cancéreux. Afin d'adapter au mieux le traitement à chaque individu, chaque cas doit être présenté à un tumor board interdisciplinaire et un accès à des réseaux d'experts internationaux établi. Il convient autant que possible d'éviter les traitements locaux mutilants (par ex. amputations de membres, utilisation de fortes doses de rayonnements ionisants pouvant entraîner un arrêt de la croissance ou des asymétries).

En outre, le diagnostic et le traitement dans le domaine de l'oncologie pédiatrique font appel à des appareils hautement spécialisés (notamment scanner, IRM, éventuellement IRM peropératoire, techniques de médecine nucléaire ou aussi combinaison comme le PET-CT) qui doivent être maniés par un personnel chevronné et spécialement formé à cet effet [33-36]

Méthodes de traitement complexes

L'appréciation de la complexité des procédures de traitement repose sur la complexité et le caractère interdisciplinaire d'un traitement. Dans la plupart des cas, les enfants et adolescents atteints d'un cancer

nécessitent un traitement multimodal, qui demande donc un degré élevé de coordination et de coopération interdisciplinaires. Compte tenu de la rareté des cancers pédiatriques, chaque traitement devrait par ailleurs être conduit dans le cadre de projets clinico-scientifiques multicentriques. Le caractère complexe de l'oncologie pédiatrique tient donc au traitement multimodal, à la nécessité d'une équipe multidisciplinaire, à l'investissement technique et à la rareté des pathologies.

Efficacité et utilité

Dans son article 32, la LAMal mentionne les concepts d'efficacité, d'adéquation et d'économicité des prestations (EAE) comme condition pour la prise en charge des coûts par l'AOS. Ces critères dits EAE sont déterminants pour le choix et le contrôle des prestations de l'assurance-maladie (art. 32 et 33 LAMal). Le contrôle des critères EAE est assuré par le service fédéral compétent (OPAS). Eu égard au domaine de l'oncologie pédiatrique, il s'agit de prestations prises en charge par l'AOS, qui sont par conséquent considérées comme efficaces et appropriées.

La base de la réussite des projets coopératifs de traitement est la qualité du traitement qui dépend aussi bien du nombre de cas et des compétences médicales et paramédicales spéciales, que de la possibilité d'utiliser des méthodes thérapeutiques de soutien modernes. En raison de la rareté des cancers chez l'enfant et l'adolescent et de la complexité de la collaboration thérapeutique interdisciplinaire qui, outre les traitements médicamenteux en oncologie, fait également appel à la chirurgie et à la radiothérapie, le traitement des patients pédiatriques devrait se dérouler uniquement dans un petit nombre de centres spécialisés. Ceux-ci doivent fonctionner en réseau tant entre eux qu'au niveau international, et ce, afin de tirer le meilleur parti de chaque cas en ce qui concerne la recherche et le développement.

Durée d'application technique et économique

L'évolution rapide des méthodes d'examen et de traitement (fondée sur une vaste expérience sans cesse améliorée ainsi que sur des technologies médicales innovantes) est à l'origine de progrès significatifs des résultats thérapeutiques. Les découvertes de la recherche fondamentale débouchent toujours plus rapidement sur des essais cliniques et se répercutent finalement sur la pratique hospitalière et ambulatoire. Les exemples incluent les toutes récentes possibilités de diagnostic et de traitement moléculaires, ainsi que l'établissement de profils génétiques pour déterminer si la formation de métastases est favorisée ou s'il existe un risque de résistance à la chimiothérapie. Des adaptations techniques et médicales constantes sont nécessaires pour pouvoir assurer la meilleure prise en charge possible des patients. Cela est surtout possible dans les centres de compétences hautement spécialisés (idéalement avec leur propre recherche translationnelle), dans la mesure où ils disposent des moyens humains et structurels nécessaires pour ce faire.

Coûts de la prestation

Le diagnostic et le traitement des cancers chez l'enfant sont très complexes, coûteux et exigent le plus souvent la combinaison de plusieurs formes de traitement. Les traitements ne peuvent se faire qu'avec l'infrastructure correspondante et le personnel spécialement formé que cela suppose. L'expérience requise est d'autant plus importante que les cancers chez l'enfant et l'adolescent sont très rares. Les enfants et adolescents concernés devraient en outre être hospitalisés dans un environnement pédiatrique et pas dans un service de médecine pour adultes. Tous ces facteurs contribuent à l'importance des coûts des traitements en oncologie pédiatrique et militent en faveur de la concentration de ces interventions complexes. En Suisse, il n'existe que peu de spécialistes hautement qualifiés dans les domaines techniques, médicaux et infirmiers, et les traitements ne peuvent donc être garantis que dans quelques centres disposant de l'expertise et des compétences requises.

Importance pour la recherche, l'enseignement et la compétitivité internationale

L'évaluation de l'importance pour l'enseignement et la formation postgrade porte sur les activités de formation postgraduée et de formation continue du corps médical et sur celles des soins spécialisés, et en particulier la promotion de la relève. La prise en compte de la compétitivité internationale revêt une grande importance en ce qui concerne l'attractivité du pôle de recherche et le développement économique du site que représente la Suisse. L'évaluation de la recherche se fait en évaluant les priorités de la recherche et les mesures d'encouragement, ainsi qu'en estimant l'importance du domaine MHS pour le développement de la spécialité concernée.

Par-delà la centralisation régionale, une étroite coopération de tous les centres de traitement dans des séries d'études prospectives communes est nécessaire pour obtenir des indications fiables sur les concepts thérapeutiques testés, et permettre une prise en charge optimale de tous les patients pédiatriques grâce à des améliorations constantes. Seule une coopération suprarégionale, étroite et interdisciplinaire de tous les spécialistes impliqués dans ce domaine peut permettre d'aboutir à des progrès significatifs en matière de clinique et de recherche. Plusieurs groupes de recherche suisses participent à des études multicentriques [9, 29]. Un renforcement de la concentration des activités cliniques et des projets de recherche multicentriques devrait accroître les compétences scientifiques, l'attractivité ainsi que la compétitivité internationale des centres pédiatriques et assurer leur mission de formation postgrade pour la relève.

Les connaissances et le savoir-faire des médecins et du personnel soignant doivent en outre s'adapter en permanence à l'évolution et aux exigences de la société en matière de modernité des soins. Dans ces conditions, la formation de la relève scientifique et médicale constitue une tâche importante de la recherche et de l'enseignement, et ce, afin de pouvoir assurer la disponibilité à long terme d'un personnel hautement qualifié en Suisse. Du reste, c'est dans des équipes suffisamment importantes et affichant un nombre de cas élevé que la formation postgrade des médecins et du personnel soignant aux techniques nécessaires peut au mieux être assurée avec la haute qualité visée. Le renforcement de la concentration dans ce domaine favorisera une formation postgrade de haut niveau ainsi que des soins de haute qualité.

Conclusion

Compte tenu du faible nombre de cas et de la nécessité de traitements complexes multidisciplinaires, qui s'accompagnent d'un investissement humain et technique élevé, les exigences requises par les articles 1 et 4 de la CIMHS pour l'intégration de l'oncologie pédiatrique dans la médecine hautement spécialisée sont remplies. La concentration des traitements sur un petit nombre de sites est en outre nécessaire en raison des coûts considérables du traitement, mais aussi afin d'assurer une bonne formation postgrade et continue des spécialistes, de renforcer la recherche et de favoriser l'innovation dans ces domaines.

6. Résultats de la consultation

6.1 Avis

Les acteurs suivants ont été invités à participer à la procédure de consultation : les 26 cantons, 99 hôpitaux, cinq (associations d')assureurs, les décanats des facultés de médecine des cinq universités avec hôpital universitaire, 36 associations professionnelles ainsi que 14 autres institutions et organisations concernées.

Dans le cadre de la consultation, le secrétariat de projet MHS a reçu au total 49 avis. Sur les 26 cantons contactés, 19 ont répondu et sept pas.

Parmi les hôpitaux contactés, 19 ont participé à la consultation. Sur les cinq facultés de médecine, seule celle de Zurich a donné son avis. Du côté des associations professionnelles, six ont communiqué leur avis. De plus, deux assureurs et deux autres institutions et organisations ont formulé un avis.

Ce chapitre ainsi que les sous-chapitres suivants présentent en abrégé les résultats de la consultation pour l'ensemble des domaines partiels confondus et pour chaque domaine partiel. Les avis concernant l'attribution des prestations sont également brièvement abordés. Ils doivent cependant être considérés comme secondaires par rapport au rattachement à la MHS.

6.1.0 Avis concernant l'ensemble les domaines partiels

Définition du domaine MHS

Limite d'âge

Certains participants se prononcent contre la limite d'âge proposée de 18 ans révolus. Selon eux, les adolescents à partir de 16 ans seraient suffisamment mûrs pour être traités dans un centre pour adultes. Certains participants font même état d'un âge limite de 14 ans comme limite d'âge supérieure. Divers participants demandent cependant de fixer la limite d'âge à 20 ans révolus. Selon eux, cela correspondrait non seulement à la biologie des tumeurs chez l'adolescent et aux conditions de vie et besoins encore non-adultes de cette tranche d'âge, mais serait également adapté à la limite d'âge du registre fédéral du cancer de l'enfant (RCdE). En outre, en ce qui concerne la limite d'âge, d'aucuns proposent que la transition de la pédiatrie à la médecine pour adultes puisse se faire sur une base individuelle.

La grande majorité des participants se montrent en revanche en faveur d'un âge limite uniforme à 18 ans révolus pour l'ensemble des domaines partiels de l'oncologie pédiatrique, et plusieurs des participants soutiennent cela explicitement. On signale d'une part que les hôpitaux pédiatriques, contrairement aux services pour adultes, disposent de protocoles thérapeutiques ouverts pour de nombreux cancers, raison pour laquelle le traitement des adolescents jusqu'à l'âge de 18 ans devrait également être inclus dans le présent domaine MHS. D'autre part, diverses études montrent que la qualité des résultats chez les adolescents traités dans des hôpitaux pédiatriques est meilleure que celle observée dans les services pour adultes.

Choix des domaines partiels

Plusieurs participants estiment qu'en ce qui concerne la définition des domaines partiels, on ne comprend pas pourquoi le traitement chirurgical de certains cancers comme les neuroblastomes ou les tumeurs du SNC devrait être rattaché à la MHS comme un domaine partiel distinct, alors que le traitement chirurgical d'autres cancers tels que les néphroblastomes relève du domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers ».

Autres sujets

Certains avis signalent qu'un rattachement à la MHS des immunothérapies comme les thérapies cellulaires par cellules CAR-T devrait être examiné. Deux participants estiment par ailleurs que la classification CIM devrait être conforme à l'ordonnance sur l'enregistrement des maladies oncologiques (OEMO) du 11 avril 2018.

Avis concernant l'attribution des prestations et les chimiothérapies

Certains participants demandent à ce que la collaboration sous forme de réseaux entre centres MHS et centres non-MHS ne soit pas entravée par le rattachement à la MHS. Les chimiothérapies stationnaires non complexes devraient en particulier pouvoir être effectuées aussi dans les hôpitaux ne disposant pas d'un mandat de prestations MHS. Dans ce contexte, certains participants demandent à ce que les mandats de prestations ne soient pas attribués à des hôpitaux, mais à des réseaux régionaux au sein desquels la prise en charge pourrait avoir lieu le plus près possible du lieu de résidence des patients. D'autres avis soulignent de plus que le réseau déjà existant du Groupe suisse d'oncologie pédiatrique (SPOG) devrait être pris en considération eu égard à l'attribution des prestations.

Aussi bien, certains participants réclament que tous les traitements non chirurgicaux soient attribués à plusieurs centres d'oncologie pédiatrique. Un autre avis considère en revanche que toutes les interventions chirurgicales en oncologie tout comme le traitement non chirurgical des cancers hautement complexes devraient être concentrés sur un petit nombre de centres de compétences. De plus, plusieurs avis demandent qu'on tienne compte en priorité, pour l'attribution des prestations, du critère des données scientifiques sur la qualité des résultats des établissements candidats. Enfin, deux participants proposent d'exiger une certification par la Société allemande d'oncologie pour l'attribution des prestations.

6.1.1 Traitement stationnaire général des cancers

Une forte majorité des participants à la consultation accueille favorablement le rattachement à la MHS du domaine partiel du traitement stationnaire général des cancers au sens de la CIMHS, soit entièrement, soit au moins sur le principe (tableau 1), ceux qui approuvent ce rattachement ayant aussi émis certaines réserves sur la définition proposée. Quatre participants se sont prononcés contre le rattachement à la MHS.

Tableau 1 : réponses concernant le rattachement du domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers » à la MHS

	Consultés	Réponse reçues	Pour	Contre	Abstention
Cantons	26	19	15	2	2
Hôpitaux	99	19	15	2	2
Autres	60	11	9	0	2
Total	185	49	39	4	6

Définition du domaine partiel MHS

Extension

Certains avis estiment qu'outre les chimiothérapies et les interventions chirurgicales, ce domaine partiel devrait aussi inclure les radiothérapies, qui sont parfois stationnaires. Par ailleurs, d'autres considèrent que les tumeurs typiques (par ex. les tumeurs des cellules germinales) devraient également être rattachées à la MHS, car elles supposent une grande expérience en chirurgie pédiatrique. De plus, certains avis préconisent de rattacher au présent domaine partiel aussi bien la chimiothérapie que la chirurgie pour les hépatoblastomes. D'autres voix proposent en revanche de ne rattacher que la chimiothérapie pour les hépatoblastomes à la MHS, car la chirurgie est déjà centralisée.

Objections contre le rattachement à la MHS

Selon un avis, la définition du présent domaine partiel est trop étendue. D'un côté, celui-ci comprend des diagnostics comme l'histiocytose langerhansienne qui ne nécessitent que très rarement un traitement systémique. De l'autre, le rattachement large empêche une prise en charge en réseau entre les centres et les établissements proches du lieu de résidence des patients. Le traitement stationnaire général des cancers est déjà réglementé par la SPOG et ne devrait pas être rattaché à la MHS.

Avis concernant l'attribution des prestations

Certains avis se prononcent spécifiquement en ce qui concerne le présent domaine partiel pour une prise en charge sous forme de réseaux entre les centres MHS et les hôpitaux périphériques, en particulier pour les chimiothérapies moins complexes. Le centre MHS devrait se charger de poser le diagnostic et de fixer le schéma thérapeutique, mais pas de réaliser le traitement lui-même.

6.1.2 Traitement des neuroblastomes

Une forte majorité des participants à la consultation accueille favorablement le rattachement à la MHS du domaine partiel du traitement des neuroblastomes au sens de la CIMHS, soit entièrement, soit au moins sur le principe (tableau 2), ceux qui approuvent ce rattachement ayant aussi émis certaines réserves sur la définition proposée. Seul un participant s'est prononcé contre le rattachement à la MHS.

Tableau 2 : réponses concernant le rattachement du domaine partiel « traitement des neuroblastomes » à la MHS

	Consultés	Réponse reçues	Pour	Contre	Abstention
Cantons	26	19	17	0	2
Hôpitaux	99	19	16	1	2
Autres	60	11	8	0	3
Total	185	49	41	1	7

Définition du domaine partiel MHS

Plusieurs avis estiment que le traitement des neuroblastomes devrait être intégré au domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers », car celui-là demande un traitement oncologique interdisciplinaire et combiné avec chirurgie, chimiothérapie et parfois aussi radiothérapie ou immunothérapie. Il n'est donc pas judicieux de rattacher séparément le traitement chirurgical et non-chirurgical.

Objections contre le rattachement à la MHS

Selon certains avis, seul le traitement des neuroblastomes à un stade avancé nécessite une centralisation, qui est déjà mise en œuvre dans la pratique et ne doit donc pas se faire par le biais de la MHS, d'autant plus qu'il est impossible de différencier les stades avec les codes CIM.

6.1.3 Traitement des sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses malignes

Une forte majorité des participants à la consultation accueille favorablement le rattachement à la MHS du domaine partiel du traitement des sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses malignes au sens de la CIMHS, soit entièrement, soit au moins sur le principe (tableau 3), ceux qui approuvent ce rattachement ayant aussi émis certaines réserves sur la définition proposée. Aucun participant ne s'est prononcé contre le rattachement à la MHS.

Tableau 3 : réponses concernant le rattachement du domaine partiel « traitement des sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses malignes » à la MHS

	Consultés	Réponse reçues	Pour	Contre	Abstention
Cantons	26	19	17	0	2
Hôpitaux	99	19	17	0	2
Autres	60	11	8	0	3
Total	185	49	42	0	7

Définition du domaine partiel MHS

Certains avis estiment que seule la chimiothérapie pour les sarcomes des tissus mous et les tumeurs osseuses malignes doivent être intégrées au domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers ». Un autre avis demande au contraire que le présent domaine partiel (traitement chirurgical et non chirurgical) soit intégré intégralement au domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers ». En outre, plusieurs avis considèrent que les sarcomes des tissus mous et les tumeurs osseuses devraient être traités comme deux entités séparées. Contrairement à la chirurgie des sarcomes, la chirurgie osseuse ne peut pas se pratiquer de façon décentralisée et devrait donc être traitée comme un domaine partiel distinct.

6.1.4 Traitement des tumeurs du système nerveux central

Une forte majorité des participants à la consultation accueille favorablement le rattachement à la MHS du domaine partiel du traitement des tumeurs du système nerveux central (SNC) au sens de la CIMHS, soit entièrement, soit au moins sur le principe (tableau 4), ceux qui approuvent ce rattachement ayant aussi émis certaines réserves sur la définition proposée. Aucun participant ne s'est prononcé contre le rattachement à la MHS.

Tableau 4 : réponses concernant le rattachement du domaine partiel « traitement des tumeurs du système nerveux central » à la MHS

	Consultés	Réponse reçues	Pour	Contre	Abstention
Cantons	26	19	17	0	2
Hôpitaux	99	19	17	0	2
Autres	60	11	8	0	3
Total	185	49	42	0	7

Définition du domaine partiel MHS

Certains avis estiment que seule la chimiothérapie pour les tumeurs du système nerveux central doit être intégrée au domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers ». Un autre avis demande au contraire que le présent domaine partiel (traitement chirurgical et non chirurgical) soit intégré intégralement au domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers ».

Avis concernant l'attribution des prestations

Un avis demande de centraliser au maximum le présent domaine partiel. Dans le même ordre d'idées, un autre participant préconise de concentrer la fourniture des prestations sur deux à trois centres spécialisés. Qui plus est, un autre avis souligne que l'effet volume-outcome est prouvé dans le domaine de la neurochirurgie pédiatrique et qu'un nombre minimal de cas correspondant devrait être fixé pour l'attribution des prestations.

6.1.5 Transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques (TCSH)

Une forte majorité des participants à la consultation accueille favorablement le rattachement à la MHS du domaine partiel des transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques (TCSH) au sens de la CIMHS, soit entièrement, soit au moins sur le principe (tableau 5), ceux qui approuvent ce rattachement ayant aussi émis certaines réserves sur la définition proposée. Aucun participant ne s'est prononcé contre le rattachement à la MHS.

Tableau 5 : réponses concernant le rattachement du domaine partiel « transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques (TCSH) » à la MHS

	Consultés	Réponse reçues	Pour	Contre	Abstention
Cantons	26	19	17	0	2
Hôpitaux	99	19	17	0	2
Autres	60	11	8	0	3
Total	185	49	42	0	7

Définition du domaine partiel MHS

Certains avis estiment que l'exclusion de ce domaine partiel des TCSH en cas de déficits immunitaires génétiques graves n'est pas justifiée. Les TCSH allogéniques dans les déficits immunitaires devraient également relever du présent domaine partiel. Un autre avis demande à ce que les thérapies cellulaires allogéniques et autologues dans les pathologies malignes et non malignes ne soient pas considérées séparément, autrement dit qu'elles soient rattachées ensemble à la MHS en tant que domaine (partiel) intitulé « thérapies cellulaires ». D'autres participants estiment en revanche que le rattachement séparé des TCSH dans les déficits immunitaires primitifs graves est concevable. Toutefois, selon un avis, l'« agra-

nulocytose et la neutropénie » ainsi que les « autres maladies précisées avec participation du tissu lymphoréticulaire et du système réticulohistiocytaire », qui relèvent des pathologies des cellules souches et pas des déficits immunitaires, constituent une exception et devraient donc être rattachées au présent domaine partiel.

Avis concernant l'attribution des prestations

Plusieurs participants signalent que la MHS devrait s'appuyer sur l'accréditation JACIE pour l'attribution des prestations. Certains avis soulignent par ailleurs, en s'inspirant des normes JACIE, que les prestations pour les TCSH allogéniques ne devraient être attribuées qu'à des centres qui réalisent également des TCSH autologues.

6.1.6 Transplantations de cellules souches hématopoïétiques autologues (TCSH)

Une forte majorité des participants à la consultation accueille favorablement le rattachement à la MHS du domaine partiel des transplantations de cellules souches hématopoïétiques autologues (TCSH) au sens de la CIMHS, soit entièrement, soit au moins sur le principe (tableau 6), ceux qui approuvent ce rattachement ayant aussi émis certaines réserves sur la définition proposée. Aucun participant ne s'est prononcé contre le rattachement à la MHS.

Tableau 6 : réponses concernant le rattachement du domaine partiel « transplantations de cellules souches hématopoïétiques autologues (TCSH) » à la MHS

	Consultés	Réponse reçues	Pour	Contre	Abstention
Cantons	26	19	17	0	2
Hôpitaux	99	19	16	0	3
Autres	60	11	8	0	3
Total	185	49	41	0	8

Définition du domaine partiel MHS

Certains participants sont d'avis que les TCSH allogéniques et autologues ne devraient pas être rattachées séparément à la MHS, car les ressources nécessaires sont en partie identiques. Un avis propose que le rattachement à la MHS se fasse dans le cadre d'un nouveau domaine des thérapies cellulaires.

Avis concernant l'attribution des prestations

Plusieurs participants signalent que la MHS devrait s'appuyer sur l'accréditation JACIE pour l'attribution des prestations.

6.1.7 Traitement des rétinoblastomes

Une forte majorité des participants à la consultation accueille favorablement le rattachement à la MHS du domaine partiel du traitement des rétinoblastomes au sens de la CIMHS, soit entièrement, soit au moins sur le principe (tableau 7), ceux qui approuvent ce rattachement ayant aussi émis certaines réserves. Aucun participant ne s'est prononcé contre le rattachement à la MHS.

Tableau 7 : réponses concernant le rattachement du domaine partiel « traitement des rétinoblastomes » à la MHS

	Consultés	Réponse reçues	Pour	Contre	Abstention
Cantons	26	19	17	0	2
Hôpitaux	99	19	17	0	2
Autres	60	11	7	0	4
Total	185	49	41	0	8

Définition du domaine partiel MHS

Certains avis estiment que la chimiothérapie pour les rétinoblastomes doit être intégrée au domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers ». La chirurgie oculaire devrait en revanche, comme c'est déjà le cas en pratique, être fortement centralisée. Grâce aux progrès réalisés dans les diverses formes de traitements locaux, les chimiothérapies systémiques sont de plus en plus rares. Si une chimiothérapie systémique s'avère tout de même nécessaire, elle correspond en général aux autres chimiothérapies des blastomes. Un autre avis demande en outre d'intégrer non seulement la chimiothérapie, mais aussi l'intégralité du traitement des rétinoblastomes dans le domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers ».

6.1.8 Traitement des leucémies myéloïdes aiguës

Une forte majorité des participants à la consultation accueille favorablement le rattachement à la MHS du domaine partiel du traitement des leucémies myéloïdes aiguës au sens de la CIMHS, soit entièrement, soit au moins sur le principe (tableau 8), ceux qui approuvent ce rattachement ayant aussi émis certaines réserves sur la définition proposée. Trois participants se sont prononcés contre le rattachement à la MHS.

Tableau 8 : réponses concernant le rattachement du domaine partiel « traitement des leucémies myéloïdes aiguës » à la MHS

	Consultés	Réponse reçues	Pour	Contre	Abstention
Cantons	26	19	17	0	2
Hôpitaux	99	19	14	3	2
Autres	60	11	8	0	3
Total	185	49	39	3	7

Définition du domaine partiel MHS

Certains avis estiment que le traitement des leucémies myéloïdes aiguës (LMA) doit être intégré au domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers ». La raison invoquée par certains participants est que le traitement des LMA ne diffère pas fondamentalement de celui des autres traitements oncologiques stationnaires si les conditions requises en termes de compétences en oncologie et en infectiologie, en soins spécialisés ainsi qu'en soins intensifs complets sont garanties sur place. Les arguments mentionnés dans le rapport sur le rattachement à la MHS pour un domaine partiel LMA distinct sont selon eux également valables pour les autres cancers qui font actuellement partie du « traitement stationnaire général des cancers ». Il convient en outre de tenir compte du fait qu'une partie des patients LMA nécessitent une transplantation de cellules souches hématopoïétiques et relèvent donc d'un autre domaine partiel. D'autres avis estiment en revanche qu'en raison du risque de complications, il est raisonnable de limiter les deux premiers cycles de chimiothérapie dans les LMA à un petit nombre de centres. Lorsque l'évolution est favorable, il devrait cependant être possible d'effectuer les autres cycles dans des centres d'oncologie pédiatrique de taille moyenne.

6.2 Appréciation de l'organe scientifique MHS

6.2.0 Avis concernant l'ensemble des domaines partiels

Définition du domaine MHS

Limite d'âge

Dans le cadre de la définition des domaines partiels de l'oncologie pédiatrique, il est impératif de définir une limite d'âge déterminée. Pour des raisons légales, la proposition de permettre une limite d'âge variable ne peut pas être prise en considération. La limite d'âge à 18 ans révolus correspond aux normes internationales (définition de l'enfance et de l'adolescence selon la convention OMS/ONU) et est également soutenue par les recommandations de l'Association suisse pour la santé des adolescents (ASSA) [4] ainsi que par l'organe scientifique MHS. Dans le domaine de la pédiatrie oncologique spécifiquement, on dispose en outre d'études qui attestent que la qualité des résultats du traitement des adolescents avancés et des adultes jeunes atteints de leucémie avec des protocoles d'études pédiatriques est meilleure dans les centres d'oncologie pédiatrique que dans les services hospitaliers de médecine pour adultes [5-7]. Bien que, sur le plan physique, le développement de certains systèmes (musculo-squelettique notamment) chez les jeunes de 16 à 17 ans puisse être comparable à celui des adultes, il faut toutefois aussi tenir compte, outre le développement physique, des aspects psychologiques et sociaux qui, eux, diffèrent fondamentalement chez les adolescents et les adultes. Dans le souci d'un traitement et d'une prise en charge globale des patients mineurs, il convient qu'un âge limite uniforme de 18 ans révolus s'applique désormais dans tous les domaines pédiatriques de la MHS. Cette limite d'âge uniforme à 18 ans révolus est soutenue par la grande majorité des participants à la consultation.

Choix des domaines partiels

En principe, le domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers » comprend le traitement chirurgical et chimiothérapeutique complexe des cancers chez l'enfant et chez l'adolescent dans le cadre d'une hospitalisation. Bien que les traitements correspondants exigent des compétences en oncologie pédiatrique hautement spécialisée, celles-ci ne doivent pas forcément concerner une *forme spécifique* de cancer. En revanche, les cancers dont le traitement chirurgical (et aussi chimiothérapeutique dans le cas des rétinoblastomes et des LMA) fait l'objet d'un rattachement à la MHS sous la forme d'un domaine partiel distinct constituent les principaux groupes de cancers *particulièrement complexes* dans l'enfance et l'adolescence. Leur traitement chirurgical (et aussi chimiothérapeutique dans le cas des rétinoblastomes et des LMA) exige des compétences spécialisées supplémentaires dans le type de cancer concerné.

Le domaine partiel du traitement stationnaire général des cancers comprend en outre divers types de tumeurs si rares en Suisse que la création de domaines partiels distincts ne serait pas utile du point de vue médical. Afin de garantir un traitement optimal de ces cas isolés, un regroupement des compétences générales en oncologie pédiatrique semble ici plus judicieux qu'une fragmentation étendue de ce domaine de prestations. On peut faire valoir que les domaines partiels deux à huit comprennent en revanche des formes particulièrement complexes de cancers qui, bien qu'elles soient également rares, ont toutefois à l'échelle nationale une incidence suffisante pour pouvoir être définies sur le plan médical comme des domaines de prestations séparés au sein de l'oncologie pédiatrique.

Chimiothérapie

À l'encontre des avis formulés dans le cadre de la consultation réclamant que les chimiothérapies qui ne sont pas hautement complexes puissent aussi être effectuées dans les hôpitaux *sans* mandat de prestations MHS, toute chimiothérapie stationnaire chez l'enfant et l'adolescent doit être rattachée au présent domaine MHS. L'organe scientifique MHS estime que toutes les chimiothérapies stationnaires chez les mineurs représentent des traitements qui doivent être réalisés dans un centre hautement spécialisé possédant le personnel expérimenté ainsi que l'infrastructure spécialisée nécessaires, et ce, afin de garantir une qualité optimale des soins. L'organe scientifique MHS considère que les critères CIMHS sont remplis pour toutes les chimiothérapies stationnaires. Il convient ici de rappeler que les chimiothérapies *ambulatoires* ne sont pas concernées par la planification MHS.

Autres sujets

À côté des TCSH allogéniques et autologues, ce domaine MHS ne doit pas être élargi à d'autres thérapies cellulaires. Selon l'annexe 1 de l'OPAS, la réalisation des thérapies cellulaires par cellules CAR-T est déjà

limitée aux centres disposant d'une accréditation du «Joint Accreditation Committee-ISCT & EBMT (JACIE)» pour les transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques et/ou autologues.

De plus, contrairement à certaines demandes formulées lors de la consultation, les cancers à déclaration obligatoire selon l'ordonnance sur l'enregistrement des maladies oncologiques (OEMO) n'ont pas tous à être rattachés à la MHS. L'OEMO sert à l'assurance qualité dans la mesure où elle prescrit l'enregistrement et la documentation des cancers. La planification MHS vise en revanche à concentrer les traitements particulièrement complexes sur un petit nombre de fournisseurs de prestations. À cet égard, tous les cancers à déclaration obligatoire ne sont pas concernés par le présent domaine MHS, mais seulement ceux dont le traitement remplit les critères CIMHS et demande des compétences en oncologie pédiatrique.

Avis concernant l'attribution des prestations

Comme cela est expliqué au chapitre 3 « Démarche », la planification MHS se déroule selon une procédure en deux temps qui distingue entre rattachement à la MHS (définition du domaine MHS) et attribution des prestations (établissement de la liste des hôpitaux MHS). Ce n'est qu'une fois le rattachement à la MHS achevé que débutera la deuxième étape, à savoir la procédure d'attribution des prestations. L'organe scientifique MHS examinera les propositions formulées lors de la consultation et concernant l'attribution des prestations dans le cadre de cette deuxième étape de la procédure.

Il convient en outre d'indiquer ici que les mandats de prestations MHS ne peuvent être attribués qu'à des hôpitaux et pas à des réseaux d'hôpitaux (art. 35, al. 2 LAMal). Aussi bien, la décision d'attribution des prestations dans le domaine de la MHS incombe à l'organe de décision MHS (art. 3, al. 3 CIMHS). Il est donc impossible de déléguer le traitement des cas MHS à des hôpitaux sans mandat de prestations MHS dans le cadre de réseaux.

6.2.1 Traitement stationnaire général des cancers

Définition du domaine partiel MHS

À l'encontre des demandes formulées lors de la consultation, la **radiothérapie** n'est pas rattachée à la MHS. Elle est en effet réalisée pour l'essentiel en ambulatoire et ne relève donc pas de la MHS. En outre, la radiothérapie en Suisse est déjà concentrée sur un petit nombre de centres de compétences. De même, le **traitement des tumeurs typiques** (par ex. tumeurs des cellules germinales) n'est pas rattaché au domaine MHS de l'oncologie pédiatrique, car – contrairement aux traitements relevant du présent domaine MHS –, ce ne sont pas les compétences *oncologiques* qui importent en premier lieu pour leur prise en charge. Par ailleurs, la chimiothérapie des **cancers hépatiques** demeure rattachée au présent domaine partiel, tandis que la chirurgie des cancers hépatiques est rattachée au domaine partiel « chirurgie complexe élective du foie et des voies biliaires » au sein du domaine MHS « pédiatrie et chirurgie pédiatrique hautement spécialisées ». Ce dernier domaine partiel comprend toutes les interventions complexes de chirurgie hépatique indépendamment du diagnostic, et ce, en vue d'obtenir un regroupement des compétences dans ce domaine de prestations avec des nombres de cas extrêmement faibles.

Objections contre le rattachement à la MHS

Les traitements qui, selon la définition du présent domaine partiel MHS, sont rattachés au traitement stationnaire général des cancers, remplissent tous sans exception les critères CIMHS. Il s'agit à chaque fois de traitements rares et complexes, qui nécessitent impérativement un traitement multidisciplinaire dans un centre possédant l'infrastructure hautement spécialisée requise et disposant d'un personnel spécialisé expérimenté. De même, le potentiel d'innovation pour l'optimisation des traitements actuels ainsi que pour le développement de nouvelles formes de traitement est élevé (cf. chapitre 5.1). Le rattachement du traitement stationnaire général des cancers à la MHS est judicieux en vue d'une prise en charge optimale, car il permet de parvenir à une centralisation juridiquement contraignante.

6.2.2 Traitement des neuroblastomes

Définition du domaine partiel MHS

Comme cela est expliqué au chapitre 4 « Description du domaine MHS », les chimiothérapies relèvent en principe du traitement stationnaire général des cancers. À ce titre, les chimiothérapies dans les neuroblastomes doivent également demeurer rattachées au domaine partiel un. L'organe scientifique MHS estime en revanche qu'il convient de rattacher le traitement chirurgical des neuroblastomes à la MHS de nouveau sous la forme d'un domaine partiel distinct (voir arguments dans le chapitre 6.2.0, paragraphe « Choix des domaines partiels »). Les neuroblastomes constituent des cancers particulièrement complexes, souvent étendus, qui se propagent en partie à travers plusieurs cavités de l'organisme, y compris les vaisseaux sanguins centraux et leurs principales branches, dont la prise en charge chirurgicale nécessite des compétences de l'équipe chirurgicale spécifiques aux neuroblastomes, en faisant appel à toutes les disciplines impliquées dans l'exérèse. L'exérèse des neuroblastomes étendus remplit donc au plus haut point les critères CIMHS.

Objections contre le rattachement à la MHS

Les codes CIM et CHOP ne permettent pas de distinguer les différents stades des neuroblastomes. Le traitement chirurgical complexe des neuroblastomes doit donc être rattaché à la MHS indépendamment du stade du neuroblastome au moment du traitement.

6.2.3 Traitement des sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses

Définition du domaine partiel MHS

Comme nous l'avons déjà été expliqué, les chimiothérapies relèvent en principe du traitement stationnaire général des cancers. À ce titre, les chimiothérapies dans les sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses doivent également continuer à être rattachées au domaine partiel un. L'organe scientifique MHS estime en revanche qu'il convient de rattacher le traitement chirurgical des sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses à la MHS de nouveau sous la forme d'un domaine partiel distinct (voir arguments dans le chapitre 6.2.0, paragraphe « Choix des domaines partiels »). En outre, une séparation des sarcomes des tissus mous et des tumeurs osseuses en deux domaines partiels distincts n'est pas considérée comme judicieuse ; en effet, aussi bien ceux-là que celles-ci représentent des cancers hautement malins dont le traitement chirurgical requiert des compétences comparables et très avancées en matière de technique chirurgicale, et peut être défini comme un domaine médical de prestations commun.

6.2.4 Traitement des tumeurs du système nerveux central

Définition du domaine partiel MHS

Comme nous l'avons déjà expliqué, les chimiothérapies relèvent en principe du traitement stationnaire général des cancers. À ce titre, les chimiothérapies dans les tumeurs du SNC doivent également continuer à être rattachées au domaine partiel un. Le traitement chirurgical des tumeurs du SNC doit en revanche être rattaché de nouveau à la MHS sous la forme d'un domaine partiel distinct (voir arguments dans le chapitre 6.2.0, paragraphe « Choix des domaines partiels »). Les tumeurs du SNC représentent des cancers particulièrement complexes dont le traitement chirurgical requiert un cadre opératoire aussi bien interdisciplinaire qu'interprofessionnel spécifiquement axé sur les tumeurs du SNC, avec les plus hautes compétences en termes de techniques neurochirurgicales.

6.2.5 Transplantations de cellules souches hématopoïétiques allogéniques (TCSH)

Définition du domaine partiel MHS

Selon l'organe scientifique MHS, les TCSH allogéniques pour les déficits immunitaires primitifs (DIP) doivent faire l'objet d'un rattachement séparé, en l'occurrence au domaine MHS « pédiatrie et chirurgie pédiatrique », dans le domaine partiel « traitements spéciaux pour les immunodéficiences primitives (génétiques) ». Les TCSH allogéniques pour des DIP peuvent donner lieu à d'autres formes de complications (par ex. réaction d'hémophagocytose) que celles observées dans les TCSH pour des pathologies hémato-

oncologiques. La réalisation de TCSH allogéniques pour des DIP demande des compétences additionnelles spécifiques aux déficits immunitaires. En outre, le titre du domaine partiel ne se fonde pas sur l'origine causale du trouble, mais sur les conséquences fonctionnelles et les traitements nécessaires. Selon la définition actuelle, et à l'encontre des avis formulés dans le cadre de la consultation, tous les diagnostics regroupés sous « agranulocytose et neutropénie » ou « autres maladies précisées avec participation du tissu lymphoréticulaire et du système réticulohistiocytaire » ne sont pas rattachés au domaine partiel MHS « traitements spéciaux pour les immunodéficiences primitives (génétiques) », mais seulement le traitement complexe de certains diagnostics (par ex. neutropénie congénitale ou cyclique) qui représentent des pathologies graves entraînant fonctionnellement un déficit immunitaire primitif (congénital).

Par ailleurs, le rattachement à la MHS des TCSH allogéniques et autologues sous la forme d'un domaine partiel commun n'est pas judicieux. Bien que les infrastructures nécessaires soient en partie identiques, les TCSH allogéniques diffèrent toutefois foncièrement des TCSH autologues, car ce ne sont pas les propres cellules souches du patient, mais des cellules souches d'un donneur qui sont alors transplantées. Les TCSH allogéniques peuvent par conséquent donner lieu à des complications qui ne surviennent pas avec les TCSH autologues (par ex. réaction du greffon contre l'hôte), ce qui exige des compétences médicales additionnelles. À cet égard, les TCSH allogéniques et autologues peuvent être définies comme deux domaines de prestations distincts.

6.2.6 Transplantations de cellules souches hématopoïétiques autologues (TCSH)

Définition du domaine partiel MHS

Comme cela a déjà été expliqué au chapitre précédent (chap. 6.2.5), on estime qu'il n'est pas judicieux, pour les raisons exposées *supra*, de réunir les domaines partiels des TCSH allogéniques et des TCSH autologues. Ces deux domaines partiels doivent être rattachés séparément à la MHS.

6.2.7 Traitement des rétinoblastomes

Définition du domaine partiel MHS

La chimiothérapie intraveineuse standard dans les rétinoblastomes est en général effectuée en ambulatoire et n'est donc pas du ressort de la MHS. La chimiothérapie intra-artérielle et intra-vitréenne dans les rétinoblastomes est en revanche foncièrement distincte des autres chimiothérapies. Elle exige des compétences additionnelles en ophtalmologie et en neuroradiologie spécifiques au rétinoblastome. Aussi bien le traitement chirurgical que la chimiothérapie spécialisée complexe pour les rétinoblastomes doivent donc continuer à être rattachés à la MHS sous la forme d'un domaine partiel commun.

6.2.8 Traitement des leucémies myéloïdes aiguës

Définition du domaine partiel MHS

L'organe scientifique MHS estime que le traitement des LMA doit être rattaché à la MHS en tant que domaine partiel distinct. En effet, la chimiothérapie dans la LMA est plus toxique et le traitement de soutien en particulier s'avère plus complexe dans la LMA que dans les autres formes de cancers. Le mauvais pronostic de cette affection n'est pas lié uniquement à la biologie. Bien que les récives soient plus fréquentes dans la LMA, les patients sont cependant plus nombreux à mourir de la forte toxicité de la chimiothérapie dans la LMA que dans la LLA. Ce sont surtout les deux premiers cycles de traitement qui sont très complexes et s'accompagnent d'un risque élevé de complications, mais les cycles suivants s'avèrent aussi bien plus toxiques que dans d'autres formes de leucémie. C'est la raison pour laquelle l'intégralité de la chimiothérapie dans la LMA doit se dérouler dans un centre hautement spécialisé. De plus, il n'est pas exact de dire que la majorité des cas de LMA seraient déjà pris en compte dans le domaine partiel TCSH allogéniques. D'une part, le présent domaine partiel régleme la chimiothérapie stationnaire et non pas tous les traitements de la LMA. D'autre part, on réalise aujourd'hui de moins en moins de TCSH dans la LMA.

6.3 Conclusion de la consultation

Une forte majorité des participants à la consultation accueille favorablement aussi bien le rattachement à la MHS des divers domaines partiels de l'oncologie pédiatrique que la définition qui en est proposée. Une grande partie des critiques émises émanent en réalité d'un participant ou d'un petit nombre de participants. Les principales réserves émises dans le cadre de la consultation à propos de la définition du domaine MHS concernent en particulier la limite d'âge, la définition du domaine partiel « traitement stationnaire général des cancers », ainsi que le détachement du traitement des leucémies myéloïdes aiguës du domaine partiel précité.

L'organe scientifique MHS parvient à la conclusion que la limite d'âge pour tous les domaines partiels de la pédiatrie oncologique doit, en s'appuyant sur les définitions internationales, être fixée à 18 ans révolus. Pour le reste, aucune adaptation structurelle ou de fond n'a été apportée à la définition du domaine MHS par rapport à la proposition qui avait été envoyée pour la consultation. Les huit domaines partiels doivent (de nouveau) être rattachés à la MHS.

7. Perspectives

La deuxième phase de la planification – l'**attribution** des prestations (établissement de la liste des hôpitaux MHS) – débutera une fois la première étape – le **rattachement** à la MHS (définition du domaine MHS) – achevée. Une procédure de candidature est organisée préalablement à l'attribution des prestations; elle offre aux fournisseurs de prestations intéressés la possibilité de se porter candidats à un mandat de prestations. Tous les hôpitaux ont en principe la possibilité de se porter candidat à un mandat de prestations. La prolongation d'un mandat de prestations MHS existant ou l'attribution d'un mandat de prestations MHS à un nouveau candidat sont liées au respect des exigences de qualité générales et spécifiques au domaine concerné. Les exigences correspondantes seront définies dans un catalogue des exigences pour la candidature. La procédure de candidature débutera officiellement par une publication dans la *Feuille fédérale*. Les fournisseurs de prestations potentiels seront en outre informés par courrier de l'ouverture de la procédure et des délais impartis.

Annexes

A1 Représentation du domaine MHS de l'oncologie pédiatrique dans la classification suisse des interventions chirurgicales (CHOP version 2021) et la classification internationale des maladies (CIM -10-GM-2021)

Voir fichier Excel séparé ci-joint.

A2 Références

1. Schindler, M., et al., *Childhood cancer survival in Switzerland (1976–2013): Time-trends and predictors*. International Journal of Cancer, 2017. **140**(1): p. 62-74.
2. Office fédéral de la statistique, *La mortalité en Suisse et les principales causes de décès, 2016, 2019*: Neuchâtel.
3. Bundesamt für Statistik, *Schweizerischer Krebsbericht 2015: Stand und Entwicklungen, 2016*: Neuchâtel.
4. Akre, C., et al., *Obere Altersgrenze für Kinderkliniken in der Schweiz*. Paediatrica, 2014. **24**(4): p. 8-9.
5. McNeer, J.L. and A. Bleyer, *Acute lymphoblastic leukemia and lymphoblastic lymphoma in adolescents and young adults*. Pediatric Blood & Cancer, 2018. **65**(6): p. e26989.
6. Hayakawa, F., et al., *Markedly improved outcomes and acceptable toxicity in adolescents and young adults with acute lymphoblastic leukemia following treatment with a pediatric protocol: a phase II study by the Japan Adult Leukemia Study Group*. Blood cancer journal, 2014. **4**(10): p. e252-e252.
7. Stock, W., et al., *A pediatric regimen for older adolescents and young adults with acute lymphoblastic leukemia: results of CALGB 10403*. Blood, 2019. **133**(14): p. 1548-59.
8. Gupta, S., et al., *The effect of adopting pediatric protocols in adolescents and young adults with acute lymphoblastic leukemia in pediatric vs adult centers: An IMPACT Cohort study*. Cancer Medicine, 2019. **8**(5): p. 2095-103.
9. Kinderkrebsregister, *Kinderkrebsregister Jahresbericht 2017/2018, 2019*: Bern.
10. Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften. *Leitlinien zur Versorgung in der pädiatrischen Onkologie und Hämatologie*. 2019 [cited 28.01.2020]; Available from: <https://www.awmf.org/leitlinien/aktuelle-leitlinien/II-liste/gesellschaft-fuer-paediatrische-onkologie-und-haematologie-gpoh.html>.
11. Kowalczyk, J.R., et al., *Towards reducing inequalities: European Standards of Care for Children with Cancer*. European Journal of Cancer, 2014. **50**(3): p. 481-485.
12. American Academy of Pediatrics, *Standards for Pediatric Cancer Centers*. Pediatrics, 2014. **134**(2): p. 410-14.
13. Ryan, A.L., et al., *The Role of Surgery in High-risk Neuroblastoma*. Journal of Pediatric Hematology/Oncology, 2020. **42**(1): p. 1-7.
14. Murphy, J.M. and M.P. La Quaglia, *Advances in the Surgical Treatment of Neuroblastoma: A Review*. Eur J Pediatr Surg, 2014. **24**(06): p. 450-6.
15. Reed, D.R., et al., *Treatment pathway of bone sarcoma in children, adolescents, and young adults*. Cancer, 2017. **123**(12): p. 2206-18.
16. Lautz, T.B. and A. Hayes-Jordan, *Recent progress in pediatric soft tissue sarcoma therapy*. Seminars in Pediatric Surgery, 2019. **28**(6): p. 150862.
17. Kinderkrebsregister. *Schweizerisches Kinderkrebsregister*. 2020 [cited 14.01.2020; Available from: <http://www.kinderkrebsregister.ch>].
18. Scheinmann, K. and E. Bouffet, *Pediatric Neuro-oncology*. 2015, New York: Springer VS.
19. Silva, A.H.D. and K. Aquilina, *Surgical approaches in pediatric neuro-oncology*. Cancer and Metastasis Reviews, 2019. **38**(4): p. 723-47.
20. Passweg, J.R., et al., *Hematopoietic SCT in Europe: data and trends in 2012 with special consideration of pediatric transplantation*. Bone Marrow Transplant, 2014. **49**: p. 744-50.
21. Zeilhofer, U. and T. Gungör, *Transplantation von hämatopoietischen Stammzellen bei Kindern und Jugendlichen*. Paediatrica, 2013. **24**(5): p. 31-40.
22. MacCarthy, A., et al., *Retinoblastoma incidence and survival in European children (1978-1997). Report from the Automated Childhood Cancer Information System project*. European Journal of Cancer, 2006. **42**(13): p. 2092-2102.
23. Gatta, G., et al., *Embryonal cancers in Europe*. European Journal of Cancer, 2012. **48**(10): p. 1425-33.
24. Jiménez, I., et al., *Craniofacial second primary tumors in patients with germline retinoblastoma previously treated with external beam radiotherapy: A retrospective institutional analysis*. Pediatric Blood & Cancer, 2020. **67**(4): p. e28158.
25. Munier, F.L., et al., *Conservative management of retinoblastoma: Challenging orthodoxy without compromising the state of metastatic grace. "Alive, with good vision and no comorbidity"*. Progress in Retinal and Eye Research, 2019. **73**: p. 100764.

26. Munier, F.L., et al., *First-line intra-arterial versus intravenous chemotherapy in unilateral sporadic group D retinoblastoma: evidence of better visual outcomes, ocular survival and shorter time to success with intra-arterial delivery from retrospective review of 20 years of treatment*. British Journal of Ophthalmology, 2017. **101**(8): p. 1086-1093.
27. Rubnitz, J.E., *Current Management of Childhood Acute Myeloid Leukemia*. Pediatric Drugs, 2017. **19**(1): p. 1-10.
28. Zwaan, C.M., et al., *Collaborative Efforts Driving Progress in Pediatric Acute Myeloid Leukemia*. Journal of clinical oncology : official journal of the American Society of Clinical Oncology, 2015. **33**(27): p. 2949-62.
29. Schweizerische Pädiatrische Onkologie Gruppe, *SPOG Jahresbericht 2018*, 2018: Bern.
30. Swerdlow, A.J., et al., *Cancer Risks in Patients Treated With Growth Hormone in Childhood: The SAGhE European Cohort Study*. J Clin Endocrinol Metab, 2017. **102**(5): p. 1661-1672.
31. Kinderkrebsregister. *Swiss Childhood Cancer Survivor Study (SCCSS)*. [cited 14.01.2020; Available from: <http://www.childhoodcancerregistry.ch>].
32. Kinderkrebsregister. *PanCare Childhood and Adolescent Cancer Survivor Care and Follow-up Study (PanCareSurFup)*. [cited 14.01.2020; Available from: <http://www.kinderkrebsregister.ch>].
33. Schweizerische Pädiatrische Onkologie Gruppe, *Anforderungskriterien für die stationäre Versorgung pädiatrisch onkologischer Patienten*. 2014.
34. Schweizerische Pädiatrische Onkologie Gruppe, *Mandat der Spitäler im Rahmen der Hochspezialisierten Medizin bezüglich Anforderungskriterien an SPOG Zentren*. 2014.
35. Schweizerische Pädiatrische Onkologie Gruppe, *Anhang 1: Anforderungskriterien an ein SPOG Zentrum*. 2014.
36. Jacie & Fact, *Fact-Jacie International Standards for Hematopoietic Cellular Therapy Product Collection, Processing and administration (7th edition)*, 2018.

A3 Abréviations

AOS	Assurance obligatoire des soins en cas de maladie
CDS	Conférence des directrices et directeurs cantonaux de la santé
CHOP	Classification suisse des interventions chirurgicales
CIM	Classification statistique internationale des maladies et des problèmes de santé connexes
CIMHS	Convention intercantonale relative à la médecine hautement spécialisée
CT	Computed Tomography (scanographie)
DIP	Déficits immunitaires primitifs
EAE	Efficacité, adéquation et économicité des prestations
HLA	Human Leukocyte Antigen
ICCC	International Classification of Childhood Cancer
IRM	Imagerie par Résonance Magnétique
LAMal	Loi fédérale sur l'assurance-maladie du 18 mars 1994 (RS 832.10)
LLA	Leucémie lymphoblastique aiguë
LMA	Leucémie myéloïde aiguë
LPA	Leucémie promyélocytaire aiguë
MHS	Médecine hautement spécialisée
PET	Positron Emission Tomography (tomographie par émission de positons)
SNC	Système nerveux central
TCSH	Transplantations de cellules souches hématopoïétiques