



Agence nationale de sécurité du médicament
et des produits de santé

Les accès dérogatoires pour les médicaments

Entretiens de Galien

Dr Valérie DENUX
Directrice Europe & Innovation

20/06/23

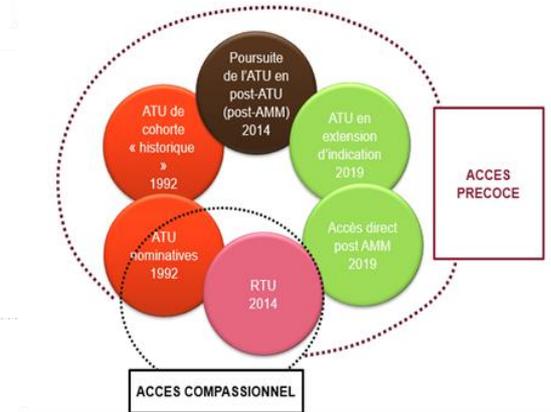
Réforme de l'accès précoce et compassionnel

1^{er} juillet 2021



En quoi consiste la réforme ?

A partir du 1^{er} juillet 2021, 2 régimes d'autorisation viennent remplacer les 6 existants



Quels sont les objectifs de la réforme ?

- ◆ Répondre aux besoins thérapeutiques couverts par les anciens dispositifs (ATU/RTU)
- ◆ Simplifier les procédures de dispositifs devenus complexes
- ◆ Être plus homogène et lisible pour les acteurs
- ◆ Permettre un accès plus rapide aux patients
- ◆ Être attractif pour les entreprises
- ◆ Offrir des garanties de soutenabilité financière pour notre système de santé
- ◆ Approfondir les connaissances scientifiques par le renforcement du recueil des données cliniques et en impliquant les patients

L'accès dérogatoire aux traitements



Autorisation d'accès compassionnel (AAC) – évaluation patient par patient

Critères d'évaluation



Publication sur Référentiel ANSM

- Critères d'octroi
- PUT le cas échéant
- RCP le cas échéant
- CPD
- Conditions d'utilisation
- Précautions d'emploi et des mesures de suivi
- Résumés des rapports périodiques de synthèse

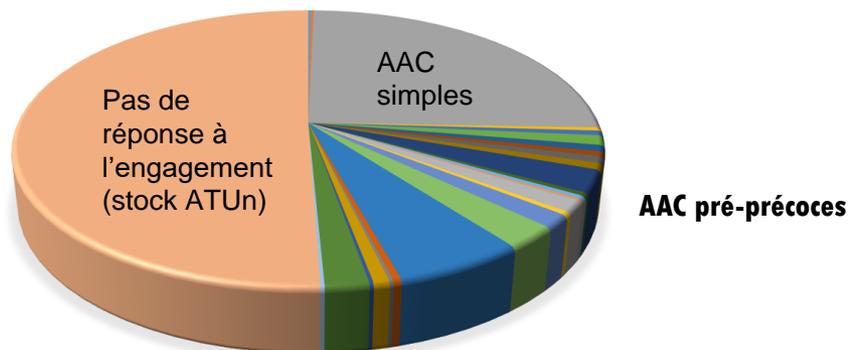
Les prescripteurs hospitaliers sont à l'initiative des demandes.

Les médecins généralistes peuvent orienter les patients vers leurs confrères hospitaliers pour permettre l'accès à ces traitements innovants.

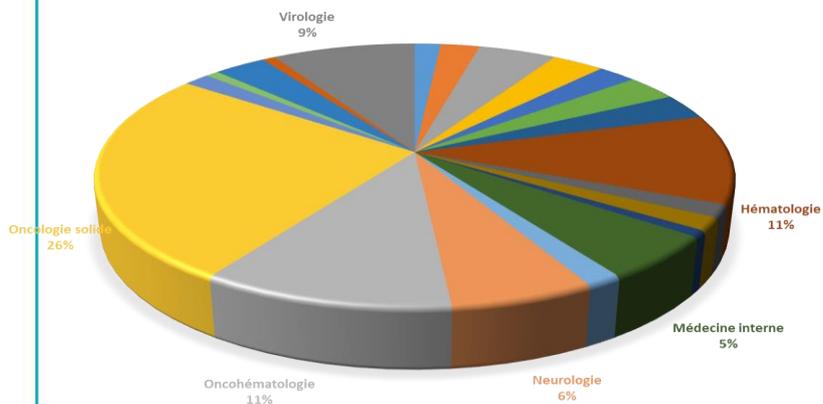
Autorisations d'accès compassionnels (AAC) *(bilan mars 2023)*

- **101 130 AAC concernant 51 387 patients traités depuis le 1^{er} juillet 2021, dont plus de 15 000 traitées manuellement par les équipes de l'ANSM et 35 000 renouvellements:**
 - **84 034 AAC simples (82%)**
 - **17 096 AAC pré-précoces (18%)**
- **60% des AAC délivrées concernent 10 produits (dont mitosol, evusheld et épidyolex)**
- **399 produits disponibles en AAC (dont 109 pré-précoces, 102 nouveaux produits et 129 arrêtées depuis le 1^{er} juillet 2021)**
- **Une dizaine de refus de mise à disposition du produit en AAC**
 - Difficultés à convaincre les laboratoires étrangers pour les produits avec AMM hors EU (compréhension du dispositif)
 - Difficultés car risque de voir apparaître des effets indésirables en AAC en parallèle du développement produit

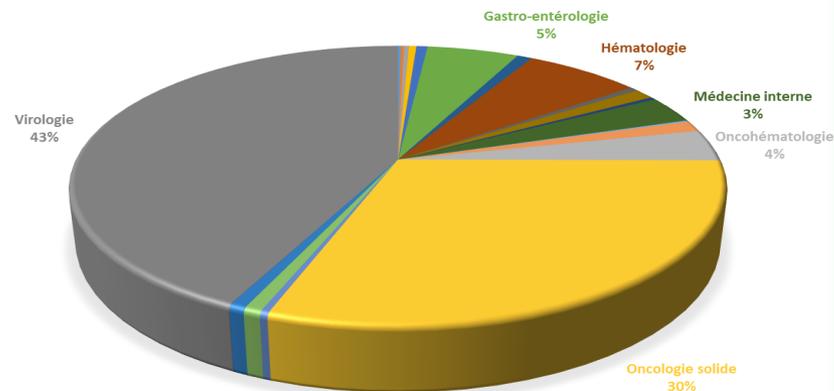
Autorisations d'accès compassionnels (AAC)



Taux de produits en AAC pré-précoces / aires thérapeutiques



Taux d'AAC pré-précoces / aires thérapeutiques



≈ 50% des produits en onco/hémato (en nombre de produits et autorisations délivrées)

Autorisations d'accès compassionnels (AAC)

Evolutions sur E-saturne

The screenshot displays the E-saturne web interface. At the top, there is a search bar and a navigation menu with icons for home, user profile, prescriptions, documents, and messages. A prominent green button labeled "Créer une demande AAC" is visible. Below the navigation, a summary bar shows various statistics: "Demandes en brouillon 0", "Demandes en attente de validation PUI 0", "Je dois donner une réponse 0", "J'attends une réponse de l'ANSM 0", "Demandes en cours de validité 1", "AAC à renouveler 0", "AAC à renouveler (date de fin de validité dépassée) 1", "AAC en cours ANSM 6", and "Toutes mes demandes 7".

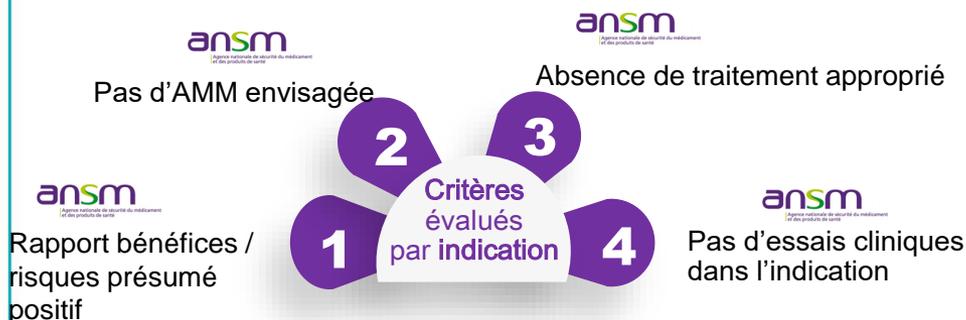
Below the summary bar, there is a section for "Demande AAC" with a folder icon and a sub-section "Etat: Brouillon" with a count of "Total 0".

Informations Générales		Médicament	Suivi	Décision		Patient		Prescripteur			
Numéro de dossier	Etat conversationnel	Type d'AAC	Solution thérapeutique	Date de transmission à l'ANSM	Date de la décision	Date de fin de validité	Nom Patient	Prénom Patient	Date de naissance Patient	Nom Prescripteur	Prénom Prescripteur

- Accès simplifié et élargi grâce à la connexion e-CPS
- Recherche facilitée (nom de marque, la DCI, l'indication, etc.)
- Notifications programmables
- Identification rapide des actions à mener (système de bannettes)
- Facilite le pilotage des dossiers

Cadre de prescription compassionnelle – utilisation hors AMM

Critères d'évaluation



Publication sur Référentiel ANSM

- **Décision CPC** : Valable pour 1 ou plusieurs spécialités, princeps et génériques/biosimilaires
- **PUT** comportant
 - > conditions d'utilisation
 - > CPD
 - > précautions d'emploi et des mesures de suivi
- Collecte de données non systématique

Les prescripteurs hospitaliers et les médecins généralistes peuvent prescrire ces traitements éligibles aux CPC (hors AMM), à condition de remplir les conditions décrites dans les PUT-RD.

Cadre de prescription compassionnelle (CPC)

BILAN depuis le 1^{er} juillet 2021

- 4 CPC établis
- 6 CPC renouvelés
- 2 CPC modifiés

>> 28 CPC en cours dont la moitié pour traiter des maladies rares

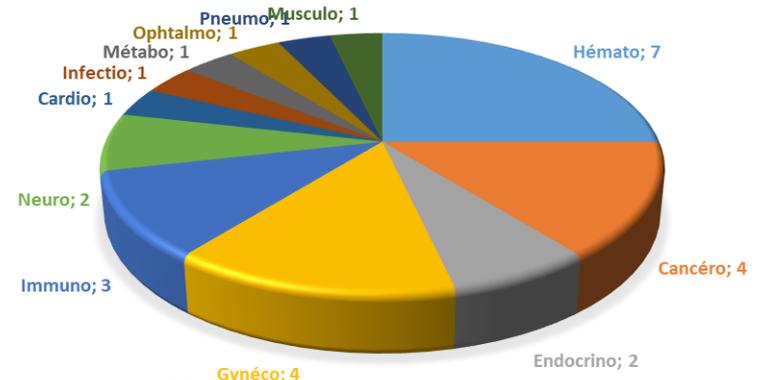
Objectif PNMR3 :

Mieux encadrer les pratiques de prescriptions hors AMM :

Objectif : garantir que le nouveau dispositif d'encadrement et de sécurisation des pratiques hors AMM par l'ANSM introduit par la LFSS pour 2021 bénéficie aux traitements des maladies rares.

La réussite du nouveau dispositif reposera notamment sur la forte mobilisation des observatoires des traitements et de l'établissement de liens étroits entre ces derniers et l'ANSM afin que les prérequis et les exigences de l'Agence et les moyens d'y répondre en matière d'accès compassionnel soient bien partagés.

Travaux en cours actuellement avec les filières maladies rares concernant les critères pour les CPC.



Autorisation d'accès précoce – évaluation cohorte de patients

HAS

Mise en œuvre du traitement
ne peut pas être différée

HAS

Maladie grave, rare
ou invalidante

HAS

Absence de traitement
approprié

ansm
Agence nationale de sécurité du médicament
et des produits de santé

Efficacité et sécurité fortement
Présumées au vu des résultats
d'essais cliniques.



HAS

Présumé innovant, notamment
au regard d'un éventuel
comparateur cliniquement
pertinent

Les prescripteurs hospitaliers et les médecins généralistes (notamment dans certaines situations sanitaires – COVID) peuvent intégrer leurs patients dans ces cohortes, à condition de remplir les conditions décrites dans les PUT-RD.

Accès précoces *(bilan à mars 2023)*

Depuis le 01/07/2021, sur les 156 accès précoces (*couple spécialité/indication AAP et Post-ATUc*) :

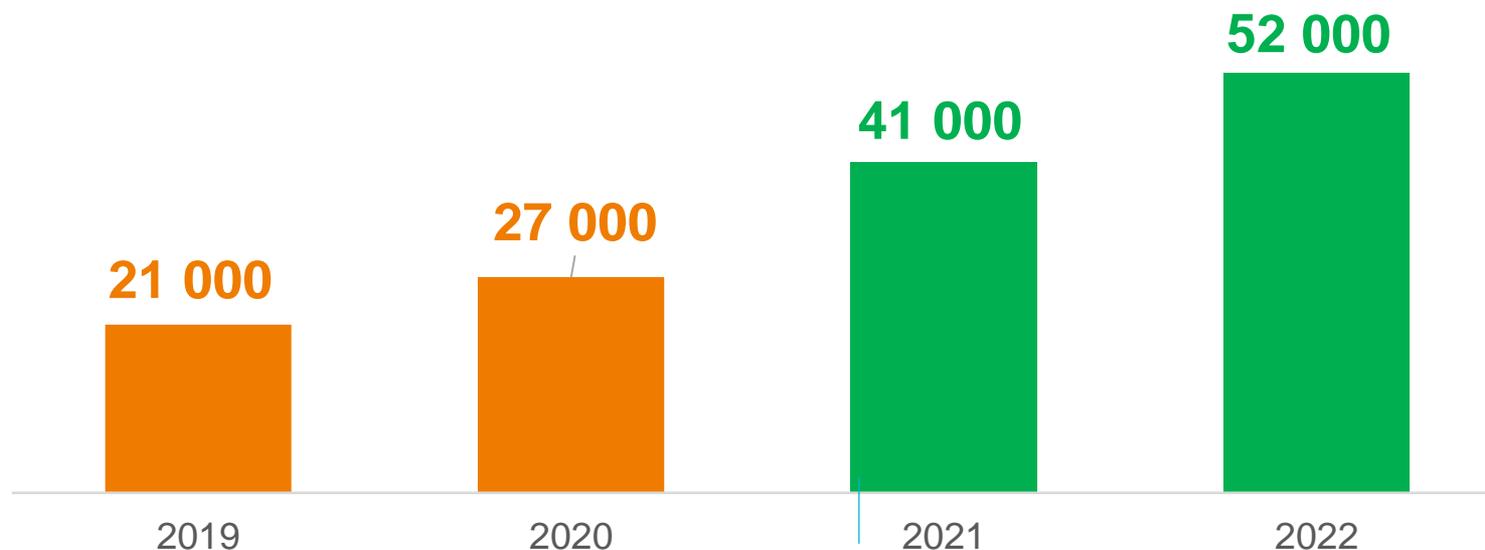
57 AP se sont terminés :

- **49 AP** ont déjà **basculés dans le droit commun (86%)**
- **4 AP** ont eu un **refus d'inscription au remboursement** tous pour SMR insuffisant)
- **3 AP** ont eu un **retrait de demande d'inscription au remboursement**
- **1 AP non renouvelé**

Données au 20/03/2023

La réforme AP/AC au bénéfice des patients

Nombre de patients ayant bénéficié d'une prise en charge dérogatoire *

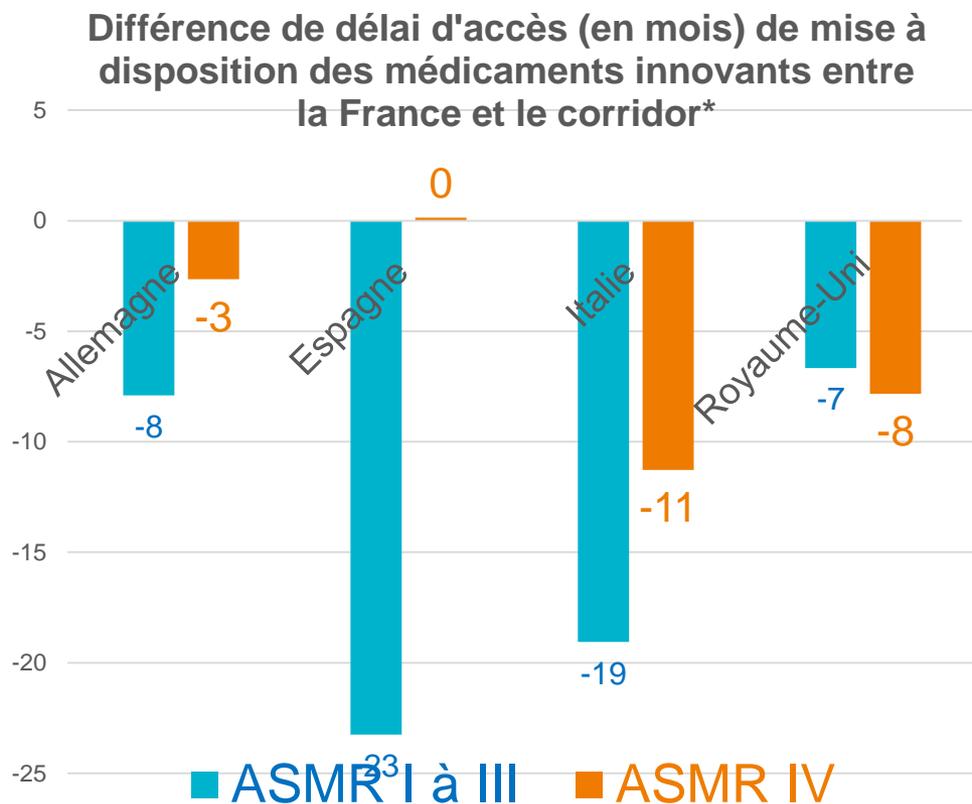


En 2022, ce sont **plus de 50 000 patients** qui ont pu bénéficier d'une prise en charge par l'assurance maladie pour un médicament en AP ou AC lors d'une prise en charge hospitalière, en amont du droit commun

**périmètre liste en sus, AP et AC (hors rétrocession)*

Un accès au plus tôt aux innovations en France

Des délais d'accès aux patients parmi les plus rapides du continent grâce, essentiellement, à notre système d'ATU/AP



- Avis de la HAS publié entre le 01/01/2019 et le 31/12/2022
- ASMR obtenue : I à IV
- Date de publication des prix retenue pour les pays du corridor*

*Avec en moyenne : -17 mois pour les ASMR II ; -12 mois pour les ASMR III et -5 mois pour les ASMR IV

Le délai d'accès des patients aux médicaments avec apport clinique est en moyenne de 11 mois avant la date de publication d'un prix dans l'un des pays du corridor.

* Une analyse similaire a été réalisée par la CNAM sur une sélection de 12 médicaments dits innovants. Des résultats similaires, avec des délais d'accès plus courts pour la France sont retrouvés par rapport au corridor, pour les médicaments ayant bénéficié d'un accès précoce.



L'enjeu des données dans le cadre des accès dérogatoires (PUT-SP & PUT-RD)

Les données sont donc un enjeu majeur pour l'ANSM

Pour explorer ces signalements et repositionnements, il nous faut:

- Présence de données (PNDS, Publications, Guidelines, essais cliniques).
- Consensus fort
- Nombre de personnes traitées
- Durée de la pratique
- Etc

Par ailleurs pour le suivi des accès dérogatoires, le recueil de données est indispensable:

- Les PUT nécessitent le recueil de données par les professionnels de santé : éviter la redondance et utiliser le socle du recueil des observatoires.

Les études de pharmacoépidémiologie d'Epiphare peuvent bénéficier de ces données aussi.

Les enjeux des accès dérogatoires

- Trouver des solutions à des impasses thérapeutiques
- Favoriser l'accès le plus tôt possible à des médicaments en développement avec des garanties de sécurité aux traitements
- Favoriser le cadrage des pratiques hors AMM et encourager au repositionnement de molécules
- Recueillir de la donnée afin de compléter les évaluations pour de petites cohortes notamment avec le développement de la médecine de précision