



Réforme de l'accès dérogatoire aux médicaments : renforcer l'accès aux traitements innovants pour les patients en impasse thérapeutique

VIE DE L'AGENCE - PUBLICATIONS INSTITUTIONNELLES



Olivier Véran, ministre des solidarités et de la santé, se félicite que la réforme des procédures permettant aux patients atteints d'une maladie grave ou rare de disposer de médicaments qui ne sont pas encore commercialisés entre en vigueur aujourd'hui. L'objectif principal : permettre un accès encore plus rapide à ces médicaments pour des patients en impasse thérapeutique, qui ne peuvent pas attendre la mise sur le marché de ces médicaments ou être inclus dans un essai clinique. L'ANSM et la HAS articulent leurs compétences au profit d'un nouveau système plus simple, plus rapide et plus sécurisé.

Apparus il y a plus de 25 ans, les processus d'accès dérogatoire aux médicaments se sont enrichis pour tenir compte du profil des nouveaux médicaments. L'apport de ces dispositifs est unanimement reconnu par les patients, professionnels de santé et par les industriels et participe à l'attractivité de la France pour les entreprises. Cependant, en 2020, 6 mécanismes différents coexistaient, avec chacun ses critères d'accès, de sortie et de prise en charge rendant le système complexe.

À travers la réforme de l'accès précoce et de l'accès compassionnel prévue par la loi de financement de la Sécurité sociale pour 2021, l'objectif est de permettre aux patients d'avoir le plus rapidement possible accès aux médicaments présumés innovants et aux thérapeutiques qui leur sont indispensables, dans des conditions claires. Il s'agit de **simplifier et d'unifier le dispositif** et de lui **redonner pleinement son sens** : permettre aux patients qui en ont besoin de bénéficier sans attendre de médicaments innovants. Pour cela, **les délais pour obtenir l'accès précoce d'un médicament sont raccourcis**, la visibilité sur les critères d'éligibilité est améliorée et **les connaissances sur le médicament utilisé et son intérêt pour les malades sont renforcées**. Grâce à l'articulation entre l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) et la Haute Autorité de santé (HAS), chargées d'examiner les demandes déposées par les industriels du médicament, ce nouveau dispositif garantit une fluidité du circuit global du médicament pour une meilleure continuité de l'accès aux soins pour les patients.

Les nouveautés de l'accès précoce :

- 1. Des délais courts pour chacune des étapes.**
- 2.** Dans un délai de trois mois à compter de la recevabilité du dossier, le laboratoire saura si son produit obtient une autorisation d'accès précoce. Il devra alors le mettre à disposition des patients dans les deux mois.
- 3. Un recueil obligatoire de données observationnelles pour renforcer les connaissances sur le médicament utilisé et s'assurer de son intérêt pour les malades.** Ces données de vie réelle permettront d'analyser la qualité de vie et/ou d'évaluer toute autre mesure pertinente pour les patients.
- 4. Des critères d'éligibilité clairs pour plus de prévisibilité des décisions.**

Un guichet unique, via le portail SESAME, gage d'un enchaînement plus fluide entre les étapes et les dispositifs, pour

une meilleure continuité de l'accès aux soins pour les patients

"Grâce à cette réforme, les patients français en impasse thérapeutique seront parmi les premiers au monde à accéder à des médicaments innovants dans un cadre sécurisé et pris en charge par l'assurance maladie. Je compte sur l'engagement des industriels" a déclaré le ministre de la santé et des solidarités.

L'accès dérogatoire, c'est quoi ?

ansm **HAS**
HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

RÉFORME DE L'ACCÈS DÉROGATOIRE AUX MÉDICAMENTS

Juillet 2021

L'accès dérogatoire, c'est quoi ?

En France, depuis plus de 20 ans, un patient en situation d'impasse thérapeutique peut bénéficier d'un médicament non autorisé dans l'indication concernée.

Plusieurs conditions doivent être réunies

- Maladie grave, rare ou invalidante.
- Absence de traitement approprié.
- Traitement ne pouvant être différé.
- Efficacité et sécurité du médicament fortement présumées.

Pourquoi une réforme ?

- Pour **simplifier** les procédures.
- Pour **accélérer** les délais d'accès au traitement pour les patients.
- Pour **approfondir** les connaissances scientifiques par le renforcement du recueil des données cliniques et en impliquant les patients.

En quoi consiste la réforme ?

ansm **HAS**
HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

En quoi consiste la réforme ?

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

ACCÈS COMPASSIONNEL

Remplace les ATU^{*} et RTU^{*}

- Pour les médicaments non destinés à être commercialisés dans l'indication concernée.
- Absence de développement en cours/prévu.
- Pas de démarche en vue d'une AMM.

Sur initiative de l'ansm, à la demande de professionnels de santé, des ministres ou sur signalements

Évaluation et décision de l'ansm

• CADRE DE PRESCRIPTION COMPASSIONNELLE (si renouvelable)

• AUTORISATION ACCÈS COMPASSIONNEL (si renouvelable)

ACCÈS PRÉCOCE

Remplace les ATUL, ATUL, post-ATUL, PECT^{**}

- Pour les médicaments destinés à être commercialisés dans l'indication concernée.
- Médicaments présumés innovants.
- Données cliniques disponibles ou en cours de recueil.

Sur demande du laboratoire

Avant demande d'AMM / Après obtention d'une AMM

Sur avis conforme de l'ANSM après évaluation / Évaluation et décision de la HAS (2 mois à partir de la demande complète, hors suspension et prorogation)

• AUTORISATION ACCÈS PRÉCOCE (si renouvelable)

• ACCÈS NON DÉROGATOIRE, ENDOCRÈME/ÉPREUVE (si renouvelable)

Arrêt possible en fonction des nouvelles données disponibles

* Autorisation temporaire d'utilisation nominative (ATU) devient autorisation d'accès compassionnel. La réglementation temporaire d'utilisation (RTU) devient cadre de prescription compassionnelle et répond à d'autres conditions que celles de RTU et SP. ** Autorisation temporaire d'utilisation de cohorte. Autorisation temporaire d'utilisation d'extension d'indication. Post-Autorisation temporaire d'utilisation. Prior en charge temporaire.

Télécharger l'infographie



Actualisation du 21/10/2021 :

- Consultez notre [Questions-Réponses sur la réforme](#)

Contacts presse :

- MSS : sec.presse.solidarites-sante@sante.gouv.fr
- ANSM : presse@ansm.sante.fr
- HAS : contact.presse@has-sante.fr