

PUBLIÉ LE 20/05/2022 - MIS À JOUR LE 27/09/2022

Autorisation d’accès précoce aux médicaments : un premier bilan positif et des principes d’évaluation affinés

INNOVATION - ACCÈS DÉROGATOIRE

Depuis le 1er juillet 2021, l'accès précoce aux médicaments innovants est accordé par la HAS après avis de l’Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) sur leur présomption d’efficacité et de sécurité. Dix mois après l’entrée en vigueur de cette réforme prévue par la loi de financement de la sécurité sociale pour 2021, la HAS et l’ANSM dressent un premier bilan positif de ce dispositif qui permet d’accélérer et faciliter l’accès des patients aux médicaments innovants : près de 100 demandes déposées, des évaluations et des décisions rendues dans des délais courts (60 jours en moyenne, 35 pour les traitements de la Covid-19) et 40 médicaments rendus accessibles. Fort de ces constats, et dans un souci d’affiner encore le dispositif, la HAS, après échange avec l’ANSM, fait évoluer certains principes d’évaluation décrits dans sa doctrine.

La HAS et l’ANSM publient aujourd’hui un premier bilan du dispositif d’autorisation d’accès précoce (AAP) aux médicaments, mis en place le 1er juillet 2021. En 10 mois, **une centaine de demandes** d’autorisation d’accès précoce (pré-AMM et post-AMM) ont été déposées par les laboratoires pharmaceutiques auprès de la HAS. Au 30 avril, **50 décisions** avaient déjà été rendues, aboutissant dans 80% des cas à un octroi d’AAP. Ces autorisations concernent des médicaments innovants qui répondent à des besoins non couverts et pour des maladies graves, rares ou invalidantes. Elles profitent donc directement aux patients en leur permettant un accès rapide à un médicament pour lequel il n’y a pas d’alternative.

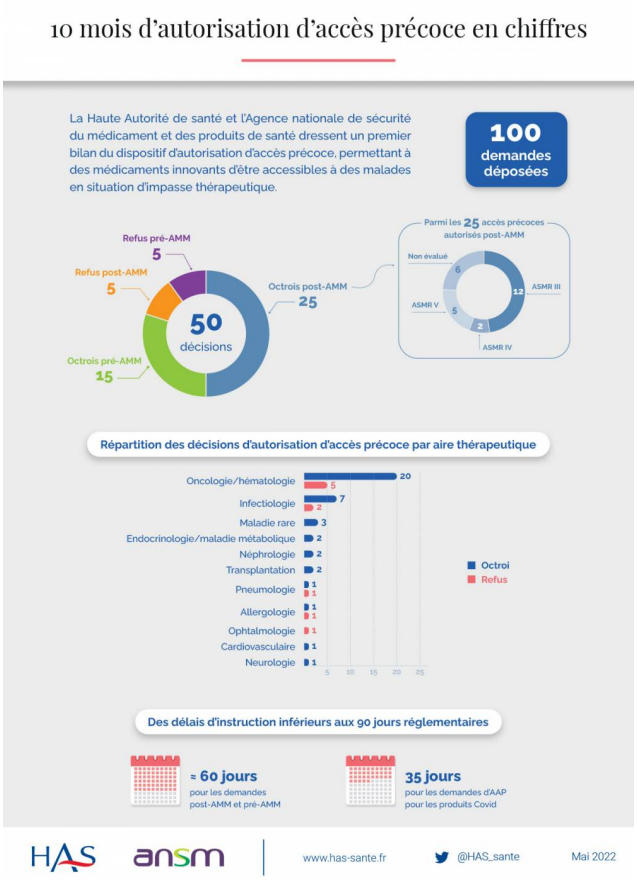
Un bilan positif 10 mois après l’entrée en vigueur de la réforme

Dès l’été et la création de ce nouveau dispositif, la HAS et l’ANSM ont ainsi autorisé des médicaments porteurs d’espoir pour des patients en impasse thérapeutique. La HAS a accordé par exemple, après analyse de l’ANSM, des autorisations d’accès précoce à Trodelvy et à Keytruda (voir le communiqué de presse), médicaments bénéficiant potentiellement aux milliers de femmes atteintes chaque année d’un cancer du sein métastatique triple négatif ; au Ronapreve (voir le communiqué de presse), traitement efficace sur le variant Delta de la Covid-19 et dont l’accès précoce, accordé très rapidement, a permis de rendre accessible ce traitement en pleine vague de ce même variant, évitant à certains patients de contracter des formes graves de la maladie ; ou encore l’association Kaftrio/Kalydeco (voir le communiqué de presse) qui représente un réel espoir dans le traitement de la mucoviscidose de certains patients de plus de 6 ans.

Autre point de satisfaction : le délai d’instruction des dossiers est court, permettant un accès rapide aux traitements innovants. Alors que le délai d’instruction réglementaire est fixé à 90 jours, les deux agences affichent ensemble **des délais moyens constatés de l’ordre de 60 jours**. Concernant les produits visant à traiter ou à prévenir les formes sévères de la Covid-19, pour satisfaire à la nécessité de répondre au plus vite à ce besoin médical, **le délai moyen a même été réduit à 35 jours**.

A noter également que, sur les 50 décisions rendues, 23 ont été alimentées par la contribution écrite d’une association de patients et 11 associations ont été auditionnées par la commission de la transparence.

10 mois d'autorisation d'accès précoce en chiffres



Télécharger l'infographie

Une nouvelle version de la doctrine pour affiner le dispositif

Au vu de ce premier bilan, mais également des retours issus du dialogue constant avec l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) d'une part, avec les industriels d'autre part, ou encore avec les représentants des associations de patients, la HAS fait évoluer ses principes d'évaluation.

Ainsi, dans sa nouvelle version, la doctrine de la HAS en matière d'accès précoce présente des critères et sous-critères affinés pour juger de la présence ou de l'absence d'un traitement approprié, notamment, au regard de l'expérience acquise sur les premiers dossiers. Aussi, de façon exceptionnelle, notamment lorsqu'un traitement est susceptible de répondre à une urgence sanitaire, les options thérapeutiques cliniquement pertinentes peuvent ne pas être considérées comme des traitements appropriés.

L'autre modification majeure apportée à la doctrine porte sur la présomption d'innovation. La doctrine précise désormais qu'un médicament susceptible d'être innovant dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce doit remplir les trois conditions suivantes complétées des ajouts indiqués en caractères gras :

- Constituer une nouvelle modalité de prise en charge susceptible d'apporter un changement substantiel aux patients ;
- Disposer d'un plan de développement adapté et présenter des résultats cliniques étayant la présomption d'un bénéfice pour le patient **dans le contexte de la stratégie thérapeutique existante ;**
- **Combler un besoin médical non ou insuffisamment couvert**.

Au regard de la diversité des situations cliniques rencontrées au cours des 10 premiers mois d'exercice, la HAS confirme qu'une définition unique de présomption d'innovation n'est pas possible. Dans ce contexte, la HAS apprécie différentes composantes en tenant compte notamment des spécificités de certains domaines thérapeutiques pour lesquels le besoin médical est majeur au regard de la mortalité et de la morbidité de la pathologie.

Deux possibilités pour les demandes d’autorisation d’accès précoce

L’autorisation d’accès précoce (AAP) est un dispositif dérogatoire exceptionnel qui permet la mise à disposition et la prise en charge financière d’un médicament (dans une ou plusieurs indications) avant son remboursement par l’Assurance maladie dans le cadre du droit commun. L’objectif est d’accélérer l’accès à ce médicament pour les patients. Une autorisation d’accès précoce peut être accordée sur demande du laboratoire pour un traitement qui remplit chacune des conditions suivantes (précisées à l’article L.5121-12 du Code de la santé publique) :

- lorsqu’il ne bénéficie pas encore d’une autorisation de mise sur le marché, l’efficacité et la sécurité de ce médicament sont fortement présumées au vu des résultats d’essais thérapeutiques ;
- il est indiqué dans une maladie grave, rare et invalidante ;
- il n’existe pas de traitement approprié ;
- la mise en œuvre du traitement ne peut être différée ;
- ce médicament est présumé innovant, notamment au regard d’un éventuel comparateur cliniquement pertinent.

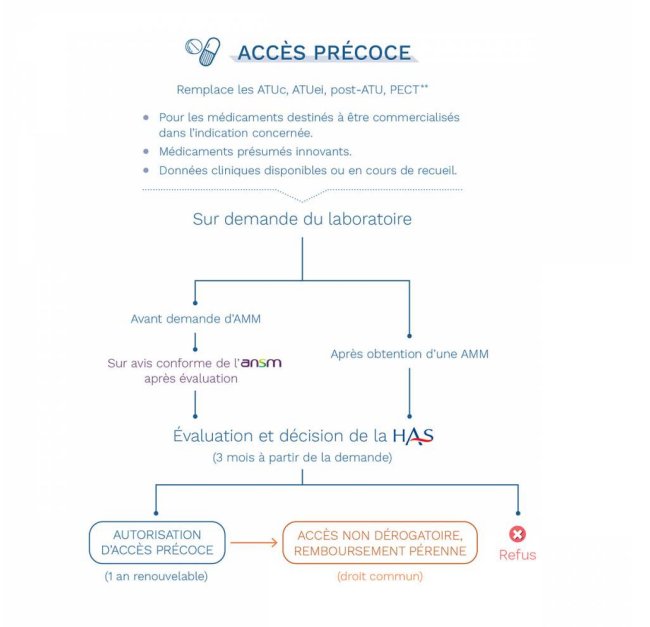
Le premier critère est évalué par l’ANSM, les quatre autres par la HAS.

Deux cas de figures sont possibles :

- **La demande d’accès précoce intervient avant une autorisation de mise sur le marché (pré-AMM) :**
  L’ANSM évalue dans un premier temps le rapport bénéfice/risque du médicament. Si elle émet un avis favorable, la HAS l’évalue au regard des critères cités dans le paragraphe précédent. La décision de la HAS doit être rendu dans les 90 jours à compter de la recevabilité administrative de la demande. En cas d’autorisation, le laboratoire s’engage à déposer une demande d’AMM dans un délai maximum de 2 ans.
- **La demande intervient après une autorisation de mise sur le marché (post-AMM) :**
  Une fois une autorisation de mise sur le marché accordée à un médicament, son prix est fixé par le Comité économique des produits de santé, en général par négociation avec l’entreprise exploitant le médicament. Cette phase pouvant durer plusieurs mois, le laboratoire peut demander une autorisation d’accès précoce post-AMM pour tout ou partie de l’indication de l’autorisation de mise sur le marché obtenue.
  Dans ce cas, l’instruction de la demande relève uniquement de la HAS selon les mêmes critères (hors évaluation de l’efficacité et de la sécurité, déjà évaluée lors de l’octroi de l’AMM) et dans les mêmes délais que les demandes pré-AMM.

Dans tous les cas, le laboratoire pharmaceutique qui fait une demande d’accès précoce s’engage à mettre le médicament à disposition des patients dans les 2 mois suivant l’octroi de l’accès précoce et à déposer une demande d’inscription au remboursement dans le mois suivant l’obtention de l’AMM.

Réforme de l'accès précoce



Nous contacter

Service de presse HAS

- Florence Gaudin – Cheffe de service
- Mohamed Bouhadda – Attaché de presse – 01 55 93 73 18
- Stéphanie Lecomte – Attachée de presse – 01 55 93 73 17
- Marina Malikité – Attachée de presse – 01 55 93 73 52
- Quentin Nogues – Attaché de presse – 01 55 93 38 03
- contact.presse@has-sante.fr

Service de presse ANSM

- Aude Rodriguez – 01 55 87 30 22
- Alessandro Evola – 01 55 87 30 66
- presse@ansm.sante.fr

En lien avec cette information



PUBLIÉ LE 01/07/2021 - MIS À JOUR LE 21/10/2021

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