

PUBLIÉ LE 23/10/2023

Autorisation d’accès précoce aux médicaments : un bilan à deux ans positif

INNOVATION - ACCÈS DÉROGATOIRE

Mise en place le 1er juillet 2021, l’autorisation d’accès précoce permet aux patients un accès rapide remboursé à des médicaments qui ne sont pas encore autorisés ou pris en charge dans le droit commun. Ces autorisations d’accès précoce sont accordées par la Haute Autorité de santé (HAS), à la suite d’un avis de l’Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) relatif à la présomption d’efficacité et de sécurité des produits ou d’une autorisation de mise sur le marché. Elles concernent des médicaments présumés innovants qui répondent à des besoins thérapeutiques non couverts, destinés à des patients atteints de maladies graves, rares ou invalidantes, dont le traitement ne peut être différé. Deux ans après la mise en place de ce dispositif qui a déjà bénéficié à plus de 100 000 patients en impasse thérapeutique, la HAS et l’ANSM publient un bilan positif et présentent certaines pistes d’amélioration (Les données présentées dans ce bilan couvrent la période du 1er juillet 2021 au 30 juin 2023. L’extraction a été réalisée le 17 juillet 2023).

Un dispositif de plus en plus sollicité

Le dispositif d’autorisation d’accès précoce, qui a déjà bénéficié à plus de 100 000 patients, est de plus en plus sollicité par les industriels : plus de 250 demandes ont été déposées en 2 ans, avec un nombre de dossiers qui augmente chaque trimestre. Près d’une centaine de rendez-vous d’accompagnement pré-dépôt, conduits en commun par la HAS et l’ANSM, ont été sollicités, donnant lieu à 90 dépôts de dossiers.

Même si les dossiers affluent, le délai d’évaluation par la HAS seule ou conjoint avec l’ANSM (78 jours) est très satisfaisant et inférieur au délai réglementaire fixé à 90 jours, permettant un accès rapide à ces traitements présumés innovants pour les patients et démontrant la bonne coordination des 2 institutions. Sur les 125 décisions rendues au 1er juillet 2023 par la HAS, 78% étaient positives.

Il a aussi été constaté que l’autorisation d’accès précoce permet de bénéficier d’une prise en charge du traitement en moyenne 9 mois avant son inscription sur les listes de remboursement. Enfin, Les produits évalués dans le cadre du droit commun au 1er semestre 2023 et apportant un progrès thérapeutique conséquent (ASMR I (majeure) à III (modérée)) étaient, pour 80% d’entre eux, déjà disponibles en accès précoce.

Quelques pistes d’amélioration possibles

Le bilan offre également l’occasion de proposer quelques pistes d’amélioration.

Le bilan de l’expérience américaine sur les procédures d’autorisation accélérée permet de conforter l’importance de minimiser la prise de risque pour les patients. En effet, au stade de l’accès précoce, l’innovation et l’apport clinique pour le patient sont présumés et non avérés. Si les résultats disponibles sont encourageants, ils n’en demeurent pas moins préliminaires. Au regard de cette incertitude, la HAS rappelle l’importance du plan de développement clinique disponible au moment de l’accord temporaire donné dans le cadre des procédures d’accès précoce. Celui-ci doit prévoir la mise à disposition de données solides permettant en particulier d'établir à terme, lors de la procédure de droit commun, la place dans la stratégie thérapeutique du produit concerné.

Enfin, la HAS réalise en continu un travail d'optimisation de la collecte des données associées aux accès précoces par les établissements de santé, notamment avec la simplification du nouveau modèle de Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD) publié en mai 2023, mais aussi par la promotion de l'utilisation des sources de données existantes mobilisables pour ces collectes (registres). Un tableau reprenant l'ensemble des PUT-RD validés ainsi que les liens vers les plateformes électroniques de collecte de données est disponible sur le site de la HAS.

En 2022, afin de faciliter l'information des prescripteurs et de simplifier les démarches, l'ANSM a élaboré un référentiel unique des spécialités en accès dérogatoire qui regroupe tous les renseignements utiles sur les médicaments disponibles dans ce cadre. Ce référentiel répond à l'objectif qui présidait à la réforme des accès dérogatoires : fluidifier l'accès à l'innovation thérapeutique.

Maladies rares : bientôt des collectes de données adossées à BaMaRa pour les accès précoces

En juillet dernier, la HAS a publié un nouveau modèle de PUT-RD adapté au recueil de données via BaMaRa, l'application web de la Banque nationale de données maladies rares (BNDMR déployée dans tous les centres de références ou de compétences). Le recueil de données spécifique aux médicaments au sein de BaMaRa, via un set de données minimum pour les traitements (SDM-T) unique pour toutes les maladies rares, est le fruit d'une concertation nationale incluant la HAS, l'ANSM, la DGOS, les Filières de santé maladies rares (FSMR) ainsi que les industriels du médicament et leurs partenaires. L'objectif ? Faciliter le suivi et l'évaluation d'un médicament aussi bien dans le cadre des accès précoces ou compassionnels que pour des études « en vie réelle ».

Les premiers PUT-RD adossés à BaMaRa pour des accès précoces devraient voir le jour prochainement. **Le retour d'expérience pourra permettre de l'étendre plus tard aux PUT-SP des accès compassionnels**.

Un nouveau tableau de bord pour suivre tous les mois l'activité et l'évolution des délais d'évaluation des médicaments

Par souci de transparence, la HAS met en ligne sur son site internet un nouveau tableau de bord dynamique qui retrace l'activité et les délais d'évaluation des médicaments, en droit commun d'une part et dans le cadre de l'accès précoce d'autre part.

Ce tableau de bord est mis à jour tous les mois. Il permet en un coup d'œil d'identifier par exemple le nombre de dossiers en cours d'examen, le nombre de demandes traitées en cumul depuis le début de l'année ou les années précédentes, le délai médian d'évaluation, les avis ou décisions rendus à l'issue de l'évaluation et les aires thérapeutiques concernées.

Ce tableau de bord sera décliné dans un second temps pour suivre l'activité et les délais d'évaluation des dispositifs médicaux.

Contacts Presse :

- contact.presse@has-sante.fr
- presse@ansm.sante.fr