Encadrer l'accès précoce ou dérogatoire aux produits de santé

Read the english version

Plusieurs types de procédures encadrent et accompagnent la mise à disposition précoce ou dérogatoire de certains produits de santé. Elles permettent notamment d'offrir aux patients un accès rapide et en toute sécurité à des produits de santé qui représentent une avancée thérapeutique majeure ou qui répondent à un besoin médical non couvert.

En complément, le guichet innovation et orientation (GIO) est un service d'accompagnement au développement de produits de santé innovants.

Les autorisations d'accès compassionnel et d'accès précoce

Lorsqu'un médicament ne dispose pas ou pas encore d'autorisation de mise sur le marché (AMM) en France, son utilisation peut être autorisée exceptionnellement si le bénéfice présumé est supérieur au risque et uniquement en l'absence d'alternative thérapeutique appropriée.

Les autorisations peuvent être données pour un **accès compassionnel (AAC) ou un accès précoce (AAP)**.

Les AAC sont délivrées par l'ANSM, sur demande d'un médecin ou d'un établissement sanitaire pour un patient nommément désigné. Elles concernent des médicaments principalement non destinés à être commercialisés pour l'indication concernée, ne faisant l'objet ni de développement en cours ni d'une demande d'AMM. Elles sont d'une durée d'1 an renouvelable. Pour les médicaments faisant l'objet d'un développement à visée commerciale, la mise à disposition en AAC est associée à un engagement des laboratoires à demander une autorisation d'accès précoce.

Les AAP sont délivrées par la haute autorité de santé (HAS), sur demande d'un laboratoire. Dans ce cas, le médicament concerné est prescrit à un groupe de patients traités et surveillés suivant des critères définis dans un protocole d'utilisation thérapeutique (PUT) et de recueil des données (RD).

- Si la demande d'AAP intervient **avant l'obtention de l'AMM**, elle ne peut être délivrée qu'après évaluation et avis conforme de l'ANSM.
- Si la demande d'AAP intervient a**près l'obtention de l'AMM**, la HAS procède seule à l'évaluation et à la prise de décision.

Le cadre de prescription compassionnelle

Lorsqu'un médicament dispose déjà d'une AMM pour une ou plusieurs indications données, mais qu'il est utilisé en pratique pour d'autres situations, l'ANSM peut établir **un cadre de prescription compassionnelle (CPC)**, pour une durée de 3 ans renouvelables, afin de sécuriser la prescription.

Un CPC ne peut être délivré qu'à condition que le besoin thérapeutique ne soit pas déjà couvert par un autre traitement et que les données scientifiques permettent de présumer d'une balance bénéfice/risque favorable pour les patients concernés.

Dérogation pour les dispositifs médicaux

Un système de dérogation existe pour les dispositifs médicaux. Il permet un usage exceptionnel de ces dispositifs, en l'absence de marquage CE, dans certaines situations très particulières et toujours dans l'intérêt des patients.

Faciliter l'effort de recherche et l'innovation thérapeutique en France, au bénéfice des patients

Le guichet innovation et orientation (GIO) est un service de l'ANSM d'accompagnement au développement de produits de santé innovants. Il facilite les échanges entre les directions de l'ANSM et les acteurs de l'innovation (universitaires, start-ups, industriels) menant un projet de développement d'un produit de santé.

Il s'agit d'une plateforme d'échange dématérialisé grâce à laquelle les porteurs de projets formulent des demandes d'avis ou de rendez-vous sur des questions scientifiques, techniques ou réglementaires, le tout dans un cadre harmonisé et le respect de la déontologie.

Ce service permet ainsi de sensibiliser et d'accompagner les porteurs de projets dès les premiers stades de développement, avant même le dépôt des dossiers ou des demandes auprès de l'Agence. Les avis proposés s'appuient sur les spécificités du produit en développement ou de la recherche en cours ainsi que sur les connaissances les plus récentes en termes de maladies, de populations cibles et de traitements existants.

En apportant un éclairage sur les données requises, les procédures à suivre et les attentes réglementaires, ce service permet accélérer la mise à disposition de produits de santé innovants dans le cadre de la recherche clinique, en particulier pour les besoins médicaux non couverts, les maladies rares ou les projets en pédiatrie.

Accéder au guichet innovation

Par ailleurs, dans le cadre de sa participation au**groupe de travail consultatif sur les avis scientifiques (SAWP)** de l'Agence européenne des médicaments (EMA), l'ANSM est chargée de fournir des avis scientifiques sur des développements de médicaments ou sur des techniques d'investigation utiles à ces développements. Ces avis sont rendus au comité des médicaments à usage humain (CHMP) ou au comité des médicaments orphelins (COMP).