

Faciliter l'accès des patients aux traitements innovants

Afin d'offrir aux patients un accès le plus rapide possible aux innovations représentant une avancée thérapeutique majeure ou répondant à un besoin médical non couvert, différentes procédures nous permettent d'encadrer et d'accompagner la mise à disposition de produits innovants de façon précoce, sûre et équitable.

Regards sur ... la stratégie européenne de l'ANSM

L'ANSM continue d'accentuer son rôle au sein des instances européennes pour tout ce qui concerne les produits de santé : médicaments, dispositifs médicaux et dispositifs de diagnostic *in vitro*. Grâce à un travail en collégialité avec les 27 États membres, l'Agence poursuit son engagement en partageant son expertise avec ses voisins européens.

Vincent Gazin, directeur adjoint de la direction Europe et innovation et Thierry Sirdey, directeur des dispositifs médicaux et dispositifs de diagnostic *in vitro* nous expliquent la stratégie européenne de l'ANSM.



Vincent Gazin

Directeur adjoint

de la direction Europe et innovation



Thierry Sirdey

Directeur des dispositifs médicaux
et dispositifs de diagnostic *in vitro*

Quelles sont les instances européennes qui s'occupent des médicaments et des produits de santé et quelle place l'ANSM occupe-t-elle en leur sein ?

Vincent Gazin : Côté médicaments, l'Agence européenne du médicament (EMA) est l'équivalent, au niveau de l'Europe, des agences nationales de régulation dans le sens où ses missions sont décrites dans les textes législatifs et que les décisions générées s'appliquent à l'ensemble du territoire. Une différence majeure néanmoins se situe au niveau du travail d'expertise : pour cette activité, l'EMA collabore avec les agences de régulation des médicaments des 27 États membres de l'Union européenne, ainsi que celles de l'Espace économique européen (EEE), qui comprend

également l'Islande, le Liechtenstein et la Norvège. En lien étroit avec ce réseau d'agences, l'EMA évalue et assure la sécurité des médicaments éligibles aux procédures centralisées. Par ailleurs, le réseau informel des *Heads of Medicines Agencies* (HMA) regroupe les chefs des agences nationales de régulation du médicament. Ce réseau coordonne les activités réglementaires et stratégiques entre les agences nationales et collabore étroitement avec l'EMA pour harmoniser les processus et assurer la cohérence des règles à travers l'Europe. Il s'agit d'un réseau décentralisé et certaines procédures dépendent du HMA, via le comité CMDh. L'EMA et le HMA sont complémentaires et forment le réseau européen des agences de régulation du médicament *European Medicines Regulatory Network* (EMRN). L'ANSM est un membre actif des deux réseaux avec la participation de sa direction aux comités de gouvernance et la présence de nombreux agents dans les groupes et comités, ce qui permet à l'Agence de peser dans les décisions et les votes collégiaux.

Thierry Sirdey : Du côté des dispositifs médicaux (DM) et des dispositifs de diagnostic in vitro (DIV), leur régulation passe par d'autres structures de collégialité en Europe : le *Medical Device Coordination Group* (MDCG) et le *Competent Authorities for Medical Devices* (CAMD). Le MDCG est un comité présidé par la Commission européenne, prévu par la réglementation. Il joue un rôle central dans la recherche d'un consensus entre les 27 États membres autour de la mise en œuvre des règlements liés aux DM/DIV. 13 groupes de travail technique lui sont rattachés. Le réseau CAMD quant à lui, est un réseau informel et volontaire, composé d'autorités nationales compétentes de l'UE. Il vise à renforcer la coopération entre les agences pour améliorer la surveillance et la sécurité des dispositifs médicaux. A travers le partage d'informations et de bonnes pratiques, le CAMD contribue à améliorer l'harmonisation et la coordination entre les États membres. Une bonne collaboration avec la Commission européenne et le MDCG permet de coordonner les travaux et d'aider aux discussions et aux décisions. En 2023, l'ANSM s'est particulièrement impliquée dans les travaux de gouvernance du CAMD.

C'est sans doute un effort en matière d'énergie et de ressources, pourquoi est-ce important pour l'ANSM de s'impliquer au sein des instances européennes ? +

T.S : Pour les DM/DIV, la réglementation qui permet la mise sur le marché des dispositifs est différente de celle qui concerne le médicament. C'est une réglementation européenne, reposant sur les règlements 2017/745 et 746, qui s'applique de façon identique et obligatoire dans les 27 États membres pour l'ensemble des DM et DIV. L'ANSM est particulièrement impliquée dans le MDCG, organe de gouvernance, et ses groupes techniques. Ce réseau permet à l'Agence de peser sur les décisions qui sont prises à l'échelon européen, toujours dans l'intérêt des patients et des professionnels de santé. Le MDCG permet de garder une cohérence entre les actions menées autour des DM et DMDIV au niveau européen. L'ANSM est restée à l'initiative du travail de révisions des textes réglementaires, entamé en 2010, relatifs à l'évaluation clinique et les conditions de mises sur le marché des DM/DIV. Le résultat de ces consultations et évaluations a conduit à la proposition de deux nouveaux règlements en 2012, qui ont été adoptés en 2017. Depuis leur publication, la France a conservé un rôle moteur dans l'évolution et le renforcement de cette réglementation commune, garante de la sécurité et de l'efficacité des dispositifs autorisés.

V.G : Depuis 30 ans, la régulation des médicaments est de plus en plus portée au niveau européen. C'est en effet à ce niveau supranational que la mise sur le marché de médicaments innovants est autorisée ou refusée. Les décisions européennes sont le fruit de consensus réalisés au sein des comités, qui sont des instances collégiales, ce qui assure une certaine robustesse des décisions. Comme pour les DM/DIV, travailler avec les autres pays européens permet d'optimiser et d'harmoniser les pratiques. Le niveau européen permet de déployer le principe de partage du travail (*worksharing*) qui organise la mutualisation des ressources d'expertise entre agences.

Quelles sont les ambitions/stratégies de l'ANSM à l'échelle européenne ? +

V.G : La stratégie européenne est la prolongation de nos plans ministériels français à l'échelle européenne et le reflet des compétences médicales et pharmaceutiques nationales. Un objectif est de nourrir les décisions réglementaires de haut niveau par les expériences locales. Cela implique d'être à l'écoute des professionnels de santé, des patients et d'accompagner les projets jusqu'à l'Europe. La valorisation de l'expertise à travers l'accompagnement des porteurs de projet, comme avec les avis scientifiques, renforce la crédibilité et la robustesse de l'ANSM dans les prises de décisions européennes, tant au niveau des médicaments qu'au niveau des DM/DIV, favorisant ainsi un déroulé vertueux depuis l'expérience de terrain vers les décisions.

L'ANSM se distingue-t-elle des autres agences nationales sur certains aspects ? +

V.G : L'ANSM dispose de longue date d'un réseau solide de pharmacovigilance, avec ses 30 centres régionaux dont nous faisons bénéficier nos voisins européens. En ce qui concerne l'accès précoce aux traitements innovants, la réglementation française autorise des accès dérogatoires et participe ainsi à la structuration du suivi. Cela génère des données en vie réelle utiles pour de nouvelles indications et permet ainsi aux patients d'accéder à des traitements. La collaboration européenne se renforce encore, notamment sur les essais cliniques avec le nouveau règlement européen et sur les avis scientifiques avec les avis scientifique simultanés (*simultaneous national scientific advice* ou SNSA), où l'ANSM joue toujours un rôle majeur dans le partage de son expertise.

TS : L'ANSM adopte à la fois une position stratégique dans le groupe de coordination MDCG, mais aussi au sein de ses 13 groupes de travail qui concernent les nouvelles technologies, le software, les investigations cliniques, etc. Par exemple, l'Agence travaille avec ses homologues à une meilleure évaluation clinique des DM en incitant les fabricants à fournir des dossiers de meilleure qualité. Nous essayons également de prendre le lead dans des réseaux comme le CAMD, pour offrir des espaces d'échanges entre les pays afin que les décisions prises dans la gestion des DM/DIV soient harmonisées. Enfin, toujours au sein de ces groupes de coordination, l'ANSM joue également un rôle important dans les ruptures de stock de DM/DIV. En effet, l'Agence est l'un des pays en 2023 qui a développé le système de gestion des ruptures et de suivi des ruptures de DM le plus évolué parmi les différents États membres. Dans ce cadre, nous avons réussi à faire passer une disposition dans une proposition de règlement, qui est en cours de vote au Parlement européen et qui oblige les fabricants à communiquer à leur autorité compétente dès qu'ils ont connaissance que l'un de leurs DM/DIV est en rupture d'approvisionnement et que cela peut avoir des conséquences pour les patients.

Chiffres clés

- **377** accompagnements scientifiques ou réglementaires via le Guichet innovation et orientation pris en charge
- **85** avis scientifiques européens attribués à la France
- **57 176** AAC octroyées et **24 346** patients traités
- **25** avis favorables d'AAP rendus
- **3 027** patients inclus dans l'expérimentation du cannabis médical depuis le début de l'expérimentation
- **687** essais cliniques autorisés pour les médicaments
- **54** autorisations d'investigations cliniques de DM délivrées
- **496** AMM et enregistrements délivrés par l'ANSM (procédure nationale et procédures européennes décentralisées et de reconnaissance mutuelle)
- **15** dossiers d'AMM en procédure centralisée attribués à la France
- France rapporteur ou co-rapporteur pour **99** plans d'investigations pédiatriques (PIPs)
- La France est le **1^{er}** État membre libérateur de lots de vaccins sur le marché européen

Découvrez ci-dessous l'intégralité de la partie "Faciliter l'accès des patients aux traitements innovants"

En téléchargeant les sous-parties de votre choix :

- **L'accès précoce aux produits de santé**
- **Les essais cliniques**
- **La mise sur le marché des médicaments**
- **La libération des lots de vaccins et de médicaments dérivés du sang**
- **L'autorisation des produits sanguins et des autres produits biologiques**