

Faciliter l'accès à l'innovation thérapeutique

L'ANSM intervient selon différentes modalités pour accompagner l'innovation et encadrer et faciliter sa mise à disposition de façon précoce, sûre et équitable. Parmi les temps forts de l'année 2020 : la constitution du Guichet innovation et orientation, créé pour répondre à cet objectif.

Regards sur... le Guichet innovation et orientation

Interview d'Elodie Chapel, directrice Europe et innovation et de Gwennaëlle Even, directrice adjointe de la direction médicale « Dispositifs médicaux, des cosmétiques et des dispositifs de diagnostic in vitro »



Qu'est-ce que le Guichet innovation orientation ?



Elodie Chapel : Le guichet innovation orientation est un service d'accompagnement au développement de produits de santé innovants. Il répond à deux enjeux principaux, en termes de transparence et d'accès à l'innovation pour les patients.

Afin de faciliter l'accompagnement à l'innovation pour les porteurs de projet industriels et académiques, nous nous devons de répondre à nos missions et à notre rôle en tant que service public, expliquer nos différents processus et présenter nos principaux interlocuteurs comme la Haute Autorité de Santé. Garantir l'égalité d'accès à l'Agence est crucial, en particulier pour les porteurs de projet moins initiés aux questions réglementaires comme les académiques ou les start-up. Nous les aidons à mieux cerner le rôle des institutions impliquées dans la régulation de la santé, à les guider dans ce paysage qui peut s'avérer complexe pour certains porteurs de projet, en particulier ceux non issus de la santé.

Par ailleurs, le Guichet innovation renforce la transparence de nos activités à la fois en interne et en externe. Les porteurs de projet doivent désormais passer par un portail d'entrée unique et sont soumis à des critères d'entrée définis et affichés, s'appliquant à l'ensemble de nos publics. Le formulaire que nous leur proposons les guide et leur donne accès à une personne qui va se désigner comme référente sur leur dossier selon le type de demande. En interne, le guichet innovation nous permet d'assurer la traçabilité des contacts et d'harmoniser les pratiques entre toutes les directions, y compris médicaments et DM, par des pratiques communes et une traçabilité spécifique.

Quels sont les avantages du Guichet innovation orientation ? En quoi favorise-t-il l'innovation ?



Gwennaëlle Even : Le guichet offre un atout majeur car il nous permet d'avoir une demande standardisée, ce qui constitue une évolution par rapport à nos pratiques précédentes où les porteurs de projet passaient par différentes adresses emails de l'ANSM. Grâce à cela, nous pouvons bénéficier d'informations et de questions précises, ce qui facilite l'orientation des porteurs de projet vers les bons interlocuteurs. En interne, avec cette saisie unique, nous avons gagné en efficacité dans le traitement des dossiers car cela permet aux porteurs de projet de structurer leurs

démarches auprès de l'Agence. Aujourd'hui, les porteurs de projet dans le domaine du DM/DMDIV sont soumis à de nouvelles réglementations et à des obligations supplémentaires. Ces derniers concernent près de 54% des dossiers déposés au guichet, où nous devons par exemple évaluer la qualification et la classification de leur produit ou leur proposer un accompagnement réglementaire et scientifique.

EC : L'avantage de venir nous voir en amont est qu'ils soient certains de partir sur un projet solide, viable et réglementairement possible. Certaines fois, les projets initiaux qui nous sont soumis n'ont aucune chance d'être autorisés.

GE : L'intérêt de cet accompagnement est de pouvoir échanger avec les porteurs de projets pour nous assurer qu'ils partent dans la bonne direction. Nous leur expliquons ce qui est faisable et ce qui ne l'est pas dans le cadre des nouveaux règlements, afin que les patients aient accès à l'innovation de manière sécurisée. Dans le domaine du dispositif médical, en dehors du règlement, il y a beaucoup de normes à respecter dont certains ignorent l'existence et auxquelles ils doivent se conformer car c'est le socle de départ pour le développement de leur produit.

En quoi le guichet innovation orientation s'intègre-t-il dans notre stratégie d'ouverture ?



GE : Grâce au formulaire qui communique ce qui relève ou non du périmètre d'action de l'ANSM, le guichet donne une meilleure visibilité pour l'ensemble des acteurs, ce qui favorise la transparence et ainsi cela s'intègre dans notre politique d'ouverture.

EC : Au début, nous avons essentiellement développé l'axe « accélérer l'accès à l'innovation » de notre Contrat d'Objectif et de Performance au travers de l'accélération de nos processus d'autorisation et particulièrement les essais cliniques. Ensuite, nous avons travaillé sur l'amont de l'autorisation à proprement parler, nous nous sommes renseignés sur les méthodes utilisées à l'étranger d'accompagnement à l'innovation, les meilleures pratiques. Il existe un vrai besoin d'accompagnement réglementaire et scientifique venant des porteurs de projet en santé.

GE : Aujourd'hui, nous sommes en contact avec d'autres guichets, avec qui nous partageons des ressources pédagogiques : c'est une preuve d'ouverture à nos interlocuteurs institutionnels.

Temps forts

Création du Guichet Innovation et orientation



Créé en 2020, le Guichet innovation et orientation permet de faciliter les échanges avec les acteurs de l'innovation (industriels, académiques, start-up) menant un projet de développement d'un produit de santé. Il s'agit d'une plateforme d'échange dématérialisée qui permet aux utilisateurs d'exprimer des demandes d'avis ou de rencontres sur des questions scientifiques, techniques ou réglementaires dans un cadre harmonisé respectant les obligations déontologiques.

Cannabis médical : appel à candidatures des fournisseurs



Interview de Nathalie Richard, directrice du projet cannabis à usage médical

Pouvez-vous nous rappeler les grandes étapes de l'expérimentation du cannabis à usage médical ?

Nathalie Richard : A partir de 2018, à la demande des patients, des professionnels de santé et des autorités, l'ANSM a engagé une réflexion afin d'évaluer la pertinence et la faisabilité de l'utilisation médicale du cannabis en France avec la mise en place d'un Comité scientifique pluridisciplinaire. Ainsi en décembre 2018, l'Agence a accepté ce principe et a souhaité que soit mise en place une expérimentation pour une cohorte de 3 000 patients dans des situations cliniques définies pour évaluer cet usage en conditions réelles ainsi que pour rassembler des premières données scientifiques françaises. Les indications thérapeutiques ont été définies grâce aux données de la littérature scientifique et sur l'expérience des autres pays qui utilisent déjà le cannabis médical, dont certains depuis 20 ans.

Ce projet se concrétise aujourd'hui avec la parution du décret en Conseil d'Etat qui permet de lancer la mise en place de l'expérimentation en mars 2021 pour une durée de 2 ans.

Au cours de cette année, ont été définies les modalités de mise en œuvre opérationnelle de l'expérimentation. Nous pouvons souligner que ce travail est le fruit d'une large concertation avec nos parties prenantes, c'est-à-dire à la fois les patients et les professionnels de santé impliqués mais aussi les réseaux de vigilance (CRPV et CEIP). Nos interactions sont très importantes avec les professionnels de santé et en particulier les médecins des centres de référence volontaires pour l'expérimentation, les médecins généralistes et les pharmaciens hospitaliers et d'officine. Ces interactions ont permis notamment d'élaborer le registre de suivi et la formation obligatoire pour les professionnels de santé. Elles mettent en lumière la volonté d'ouverture et de transparence de l'Agence auprès de ses publics. En interne, pratiquement toutes les directions de l'Agence sont concernées et ont été impliquées de près ou de loin dans le projet et nous avons travaillé avec un grand nombre d'entre elles pour préparer l'expérimentation et garantir sa sécurisation. Un rapport d'évaluation devra être rendu au gouvernement 6 mois après de l'expérimentation.

Pouvez-vous nous dire comment le registre ReCann et la formation obligatoire des professionnels de santé ont été élaborés afin de garantir la sécurité des patients inclus dans l'expérimentation ?

N.R. : L'ANSM favorise l'accès à des produits de santé efficaces et innovants tout en assurant la sécurité des patients.

Le registre ReCann, rempli par les professionnels de santé inclus dans l'expérimentation et autorisé par la CNIL, permet à la fois de suivre la totalité des patients inclus dans l'expérimentation et de sécuriser le circuit de prescription et de délivrance. Par le biais de ce registre, nous pourrions évaluer la faisabilité du circuit et recueillir des données sur les effets indésirables survenus et les bénéfiques du traitement.

Les médecins et les pharmaciens, qui prescriront et dispenseront le cannabis médical, devront par ailleurs avoir suivi une formation préalable obligatoire, conçue avec des enseignants, des cliniciens français et étrangers et des patients. Cette formation conçue par l'ANSM avec la participation de nos parties prenantes permet de garantir l'indépendance des professionnels de santé vis-à-vis des laboratoires et d'avoir une formation de qualité, identique pour tous.

Afin de sécuriser la prescription, nous avons défini, grâce aux sociétés savantes qui les ont présélectionnées, les structures de référence volontaires qui seules peuvent inclure les patients dans l'expérimentation. Le relais pourra être pris par des médecins libéraux volontaires, si les patients le souhaitent. De même, pour la dispensation des médicaments, seuls des PUI et des pharmacies d'officines volontaires dont les pharmaciens ont également reçu la formation obligatoire, pourront délivrer le cannabis médical. Le cannabis étant un stupéfiant, il doit également suivre la réglementation française et doit être prescrit en toutes lettres sur une ordonnance sécurisée.

Comment les fournisseurs et distributeurs de médicaments à base de cannabis ont-ils été sélectionnés ?

N.R. : Dans le sillage des travaux que nous avons menés avec la Direction générale de la santé et de la publication du décret paru en Conseil d'Etat, nous avons lancé en octobre un appel à candidatures pour sélectionner les fournisseurs de cannabis médical pour l'expérimentation. La production, la vente et la consommation de cannabis médical étant interdites en France, nous avons dû faire appel à des fournisseurs étrangers. Par ailleurs, il nous a paru essentiel que soient associés aux fournisseurs de cannabis médical des laboratoires pharmaceutiques français pour le distribuer. Le but est de garantir la sécurité des patients en sélectionnant des produits sûrs et parfaitement contrôlés. Pour respecter cet engagement, nous avons élaboré, en concertation avec les experts du Comité scientifique de l'ANSM, un cahier des charges, qui a été publié par arrêté au Journal officiel (JO du 16 octobre 2020). Il définit les exigences auxquelles doivent répondre et se conformer les fournisseurs pour garantir la qualité des médicaments de l'expérimentation. La sélection passe également par le contrôle dans nos laboratoires de la conformité et de la qualité des échantillons de cannabis thérapeutique envoyés par les candidats fournisseurs. Bien entendu, nous veillerons au

bon respect de la qualité des médicaments fournis tout au long de l'expérimentation.

- **Pour en savoir plus sur l'expérimentation du cannabis à usage médical, [consultez notre dossier](#)**

Chiffres clés

- **809** essais cliniques autorisés pour les médicaments et **98** pour les DM et DMDIV
- **37** nouvelles ATU de cohorte octroyées et **7 300** patients nouvellement inclus dans le dispositif
- **40 437** ATU nominatives octroyées
- **973** AMM et enregistrements délivrés par l'ANSM (procédure nationale et procédures européennes décentralisées et de reconnaissance mutuelle)
- **19** dossiers d'AMM en procédure centralisée attribués à la France, soit le **3^{eme}** Etat Membre après les Pays Bas (29) et l'Allemagne (25)
- France rapporteur ou co-rapporteur pour **87** PIPs
- **79** accompagnements scientifiques ou réglementaires via le Guichet innovation et orientation pris en charge
- La France est le **1^{er}** État membre libérateur de lots de vaccins sur les marchés français et européen

Découvrez ci-dessous l'intégralité de la partie "Faciliter l'accès à l'innovation thérapeutique"

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](#)