

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.. Nouveau règlement européen sur les essais cliniques : un an après, un premier bilan positif

En 2022, les équipes de l'ANSM ont accompagné la mise en œuvre opérationnelle du nouveau règlement européen sur les essais cliniques, entré en vigueur le 31 janvier. Leur mobilisation a permis de relever le challenge et place aujourd'hui la France au premier rang des pays européens en nombre de dossiers soumis.

Ce nouveau règlement facilite l'accès des patients européens et français comme en témoignent Sophie Accadebled, chargée de mission essais cliniques et Corinne Kiger, référente essais cliniques, au sein de la direction des autorisations.

Quels sont les objectifs pour l'Europe et la France de ce nouveau règlement ?



Corinne Kiger : Coordination, harmonisation et transparence sont les trois axes du nouveau règlement. Désormais, les États membres se coordonnent pour évaluer les demandes d'autorisation des essais cliniques. Leurs décisions, avis et commentaires sont harmonisés à l'échelle de 27 pays et la recherche clinique gagnera ainsi en transparence et en visibilité. L'enjeu est de nous unir pour renforcer notre place dans la recherche mondiale et notre réputation d'expertise, tant sur le nombre d'essais réalisés que sur la qualité des données générées et la sécurité des patients qui y participent. Nous serons ainsi visibles et attractifs pour la réalisation d'essais cliniques face à d'autres régions du monde, historiquement majeures ou émergentes. Dans ce contexte, l'ambition française est de faire de notre pays le leader de la recherche santé en Europe, notamment via l'autorisation de nombreux essais cliniques.

Quel est le bénéfice attendu de ce nouveau règlement pour les patients ?



Sophie Accadebled : un accès facilité pour les patients. Avant le règlement, les promoteurs d'essais cliniques devaient soumettre des demandes d'essais cliniques séparément aux autorités nationales compétentes et aux comités d'éthique de chaque pays pour obtenir l'autorisation réglementaire de mener un essai clinique. Le règlement permet aux promoteurs de soumettre une seule demande en ligne, via un portail appelé CTIS (*Clinical Trial Information System*), pour obtenir l'autorisation de mener un essai clinique dans plusieurs pays européens, ce qui rend plus efficace la réalisation de ces essais multinationaux. L'objectif est d'encourager l'innovation et la recherche dans l'UE, en facilitant la conduite d'essais cliniques de grande envergure dans plusieurs États membres de l'UE/de l'EEE.

C. K. : Permettre à des patients de participer à des essais cliniques, c'est leur donner l'opportunité d'accéder plus rapidement à de nouvelles options de traitement. C'est essentiel pour faciliter et accélérer l'innovation, en leur garantissant la sécurité - notre priorité - et en respectant toutes les règles éthiques.

En quoi consiste le changement que manifeste la création du portail CTIS ?



S. A. : Les demandes d'autorisation sont désormais déposées par les promoteurs, académiques ou industriels, sur ce portail unique et non plus dans chacun des pays. Chaque dossier est co-instruit à l'échelle européenne par un État rapporteur. Celui-ci évalue le dossier de manière coordonnée avec les autres États Membres concernés par l'essai.

C. K. : Pour respecter les délais, une nouvelle coordination a également été mise en œuvre afin que les évaluations scientifiques et éthiques soient menées en parallèle.

Comment l'ANSM s'est-elle adaptée ?



C. K. : Nous avons tout d'abord anticipé le « jour J ». Pour disposer des ressources nécessaires, nous avons créé notamment un poste dédié, occupé par Sophie, et mobilisé de nombreuses équipes internes selon les priorités et les dossiers. Nous avons également réactivé et étoffé un groupe de travail intégrant toutes les parties prenantes concernées afin de définir notre accompagnement et tous les outils nécessaires. Ensemble, nous avons œuvré auprès de tout l'écosystème de la recherche clinique, pour expliquer les objectifs du nouveau règlement, accompagner les promoteurs pour qu'ils maîtrisent les nouvelles modalités de demande d'autorisations via le portail CTIS et pour répondre à toutes les questions.

S. A. : Nos actions de communication ont complété ou décliné celles de l'EMA. Nous avons notamment organisé et diffusé sur notre chaîne YouTube deux webinaires à destination des promoteurs et réalisé une foire aux questions, qui a été publiée sur le site de l'ANSM. Nous avons également été très présents dans de nombreuses journées ou congrès dédiés aux essais cliniques.

C. K. : Cet accompagnement, salué par tous, se poursuit en 2023. Pour augmenter la transparence autour de ces essais, nous travaillons actuellement avec l'EMA et nos homologues européens pour définir les données issues des résultats de ces essais qui seront progressivement rendues publiques.

Peut-on déjà tirer un premier bilan, un an après le lancement de CTIS ?



S. A. : Jusqu'au 31 janvier 2023, les promoteurs pouvaient, soit déposer de manière volontaire leur demande sur le portail européen CTIS, soit continuer à déposer leurs dossiers au niveau national. Ils ont choisi de basculer graduellement sur CTIS. D'où, une montée en puissance progressive du nombre de dossiers déposés : de trois le premier mois à une trentaine par mois fin 2022. En 2022, sur 681 dépôts dans CTIS, la France est concernée par 255 CTA : 215 AEC et 27 MSA. Nous sommes aujourd'hui le pays européen qui reçoit le plus de dossiers sous CTIS.

C. K. : Nous avons accepté 100 % des dossiers pour lesquels le promoteur nous a proposés. Grâce à la forte implication de toutes nos équipes, nous avons relevé le challenge et nous sommes fiers de ces premiers résultats. Nous sommes définitivement engagés dans une démarche volontariste pour que la France soit motrice au sein de l'Europe en termes de recherche.

Quelles sont les prochaines étapes ?



C. K. : Nous continuons d'accompagner la montée en charge des demandes d'autorisation faites sur le portail CTIS, devenues obligatoire depuis le 1er février 2023, et d'instruire chaque dossier. Parallèlement, nous anticipons la mise en conformité au nouveau règlement des essais cliniques approuvés au titre de la précédente directive, puisque ces essais peuvent s'échelonner sur 7 ans. L'ensemble des résultats nourrira progressivement la base de données dédiée accessible à tous (*Clinical Trials in the European Union - EMA euclinicaltrials.eu*). La transparence sur les essais cliniques, qui a toujours été un objectif majeur de la recherche clinique, sera ainsi améliorée. Mais si l'accès à ces données sera facilité, elles n'en resteront pas moins difficiles à analyser pour des non-experts. Nous aiderons donc, conformément à notre mission, le grand public à comprendre ces informations et à mesurer les bénéfices de ces innovations pour la santé des patients.

Temps fort

L'ANSM accompagne la mise en application des nouveaux règlements européens



Le règlement européen pour l'autorisation et le suivi des essais cliniques **portant sur les médicaments** est entré en vigueur le 31 janvier 2022.

L'évaluation de ces essais cliniques est désormais conduite dans un cadre commun permettant aux États membres de se concerter pour avoir une approche harmonisée pour l'autorisation et la vigilance des essais cliniques. Il s'agit d'une opportunité inédite pour favoriser la recherche clinique en Europe en permettant aux patients d'accéder aux essais cliniques dans des conditions de sécurité optimales, partagées entre les autorités des États membres concernés, tout en offrant aux promoteurs un cadre réglementaire unique avec les mêmes délais d'évaluation.

Pendant l'année 2022, l'ANSM a conduit plusieurs actions pour accompagner cette transition des procédures nationales vers l'évaluation coordonnée européenne :

- L'organisation d'un webinaire, dédié aux promoteurs, pour présenter les dispositions du Règlement, ses impacts et un premier retour d'expérience, en présence également de la DGS et des CPP ;
- Le pilotage d'un groupe de travail « Essais Cliniques », conduit avec les représentants des promoteurs dont le Leem, afin d'échanger sur la mise en œuvre du Règlement ;
- La mise à jour des avis aux promoteurs pour faciliter la mise en place des requis du Règlement et fournir des informations pratiques en termes de procédure, format, contenu et modalités de soumission des dossiers ;
- La promotion des événements et des actions menées par l'EMA et la publication d'une foire aux questions sur le site de l'ANSM ;
- Un accompagnement des promoteurs par le guichet usager, avec une équipe dédiée, spécialement formée à la prise en charge de leurs demandes.

Concernant les dispositifs médicaux (DM), l'Agence a également accompagné l'entrée en application le 26 mai 2022 du nouveau règlement européen 2017/746 relatif aux études des performances (EP) des dispositifs de diagnostic in vitro (DMDIV), un an après le nouveau règlement européen 2017/745 relatif aux investigations cliniques (IC) des dispositifs médicaux. En 2022, l'ANSM a poursuivi la mise en place du nouveau processus de gestion de ces IC et EP initié en 2021.

De plus, dans le cadre de ces trois nouveaux règlements (médicaments, DM et DMDIV), des essais dits « mixtes », faisant intervenir un médicament et un DM ou DMDIV, sont réalisés. Une phase pilote a été mise en place, en collaboration avec la DGS, pour définir un nouveau processus de gestion.

Chiffres clés

- **337** accompagnements scientifiques ou réglementaires via le Guichet innovation et orientation pris en charge
- **101** avis scientifiques européens attribués à la France
- **63 340** AAC octroyées et **27 427** patients traités
- **30** avis favorables d'AAP rendus
- **2 296** patients inclus dans l'expérimentation du cannabis médical depuis le début de l'expérimentation
- **738** essais cliniques autorisés pour les médicaments
- **69** autorisations d'investigations cliniques de DM délivrées
- **588** 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
- France rapporteur ou co-rapporteur pour **107** plans d'investigations pédiatriques (PIPs)
- La France est le **2^e** 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