

1 L'accès précoce aux produits de santé

Le Guichet innovation et orientation

Créé en 2020^[61], 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.

En effet, l'ANSM accompagne le développement de nouveaux produits de santé (médicaments ou dispositifs médicaux) à travers la production d'avis scientifiques (nationaux et européens) ou d'accompagnements réglementaires. Ces avis s'appuient sur les spécificités du produit en cours de développement ainsi que sur les connaissances les plus récentes en termes de maladies, de populations cibles et de traitements existants.

En apportant un éclairage sur la stratégie générale de développement d'un produit, notamment sur les types d'essais cliniques à mener, ces avis permettent d'accompagner les innovations en conformité avec le cadre réglementaire. Ils ont vocation à faciliter un accès rapide du patient à des produits innovants, représentant une avancée thérapeutique majeure ou répondant à un besoin médical non couvert, particulièrement dans le cadre de maladies rares ou de développements pédiatriques.

[61] Lire aussi "Regards sur... Le Guichet innovation et orientation", page 122.

[62] Nombre différent du nombre d'avis scientifiques européens rendus du fait du retrait ou du décalage sur 2021 de certains avis attribués en 2020.

Renforcer le positionnement européen de l'ANSM pour faciliter l'accès précoce des patients aux produits de santé innovants

Indicateur n°13



67 avis scientifiques européens attribués à la France^[62]
[socle 60 - cible 80]

Contribuer à assurer un accompagnement précoce actif des promoteurs dans le champ de l'innovation en santé

Indicateur n°16



100% du plan d'action de 2019 décalé à 2020. Mise en place du Guichet innovation.
[cible : ouverture du guichet à d'autres institutions]

.....
Pour en savoir plus
.....



Données 2020

124 demandes d'avis scientifiques ou réglementaires ont été reçues via le Guichet innovation et orientation, de septembre à décembre 2020.

38% des sollicitations correspondent à des demandes d'avis scientifiques et **62%** à des besoins d'accompagnement réglementaire.

60% des sollicitations correspondent à des avis scientifiques et des accompagnements réglementaires ont été réalisés pour des start-up et des TPE.

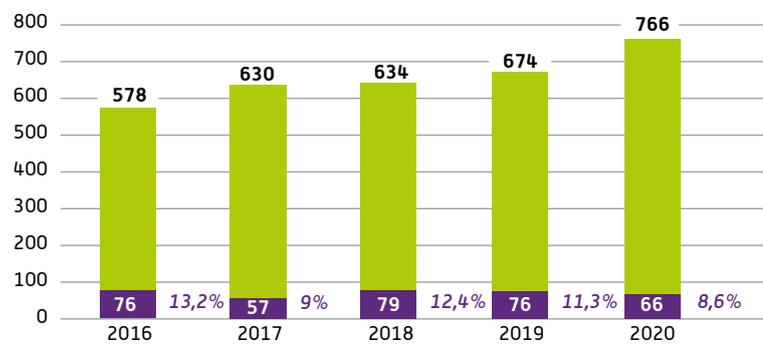
55% des demandes portent sur des dispositifs médicaux, principalement des demandes de classification/ qualification des DM mais également des demandes d'accompagnement réglementaire. Des demandes d'avis scientifiques ont également été sollicitées pour les DM mais dans une moindre mesure par rapport aux médicaments.

45% des demandes concernent les médicaments, principalement des demandes d'avis scientifiques (dont 10 concernaient des médicaments de thérapie innovante).

AVIS SCIENTIFIQUES EUROPÉENS RENDUS POUR DES MÉDICAMENTS



Avis européens rendus par l'EMA
Dont avis coordonnés par l'ANSM



DEMANDES CONCERNANT LES DISPOSITIFS MÉDICAUX



49% Classification / Qualification
35% Accompagnement réglementaire
16% Avis scientifiques

DEMANDES CONCERNANT LES MÉDICAMENTS



64% Avis scientifiques
25% Accompagnement réglementaire
10% Autres

Les autorisations temporaires d'utilisation

L'autorisation temporaire d'utilisation (ATU) est une procédure exceptionnelle, dérogatoire, qui permet l'accès pour de nombreux patients à des médicaments dans des indications non autorisées en France et pour lesquels aucune alternative thérapeutique n'est disponible.

Les ATU sont délivrées par l'ANSM dans les conditions suivantes :

- ◆ les spécialités sont destinées à traiter, prévenir ou diagnostiquer des maladies graves ou rares,
- ◆ il n'existe pas de traitement approprié disponible sur le marché,
- ◆ leur efficacité et leur sécurité d'emploi sont présumées en l'état des connaissances scientifiques et la mise en œuvre du traitement ne peut pas être différée.

Les ATU peuvent être nominatives (ATUn), c'est-à-dire qu'elles sont délivrées par l'ANSM, sur demande d'un médecin pour un patient nommément désigné, ou "de cohorte" (ATUc). Dans ce dernier cas, le médicament peut être prescrit à un groupe de patients traités et surveillés suivant des critères définis dans un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations. L'ATU de cohorte ne peut être délivrée qu'après demande du laboratoire et autorisation des conditions d'accès par l'ANSM.

Pour en savoir plus



Renforcer les dispositifs d'accès précoce à l'innovation (ATU)

Indicateur n°15



37 % des demandes d'ATU de cohorte constitutives d'une extension d'indications
[socle 40 % - cible 80 %]

Données 2020

BILAN DES ATU NOMINATIVES

	2016	2017	2018	2019	2020
Octrois d'ATU nominative	27 095	22 295	21 633	26 528	40 437
Médicaments (ou substances actives) mis à disposition par an	205	253	217	227	266
Patients inclus	19 625 <i>dont 14 029 en initiation de traitement</i>	16 621 <i>dont 11 390 en initiation de traitement</i>	15 987 <i>dont 11 342 en initiation de traitement</i>	NA ⁽⁶³⁾	23 347

Le nombre de patients traités en ATUn a augmenté significativement (+ 50%). Cela est dû notamment à une augmentation du nombre de médicaments en ATUn ainsi qu'à la rupture de stock de mitomycine pour laquelle a été mis à

disposition le Mitosol (solution ophtalmique de mitomycine destinée à la chirurgie du glaucome) (+ de 6 000 patients traités).

BILAN DES ATU DE COHORTE

	2016	2017	2018	2019	2020
Nouvelles ATU de cohorte	10	11	20	20	37
Médicaments sous ATU de cohorte ayant obtenu l'AMM	9	8	16	14	20
Patients nouvellement inclus	11 909	8 250	5 642	3 766	7 300

Du fait de l'élargissement du périmètre des ATUc aux extensions d'indication en 2019, le nombre d'ATUc a fortement augmenté (+ 85 %) : **37 ATU de cohorte** ont ainsi été octroyées en 2020⁽⁶⁴⁾ (34 substances actives différentes), en grande majorité dans les domaines de l'hématologie et de la cancérologie.

.....
Pour consulter la liste des ATU de cohorte en cours



[63] Année de création de la cellule ATUn, données non disponibles.

[64] Voir la liste complète en annexe 7, page 220.

Les recommandations temporaires d'utilisation

Lorsqu'un médicament dispose déjà d'une autorisation de mise sur le marché (pour une ou plusieurs indications données) mais qu'il est utilisé en pratique pour d'autres indications, l'ANSM peut établir une recommandation temporaire d'utilisation (RTU).

Une RTU ne peut être délivrée qu'à condition que le besoin thérapeutique ne soit pas déjà couvert par un autre traitement et que les données scientifiques permettent de considérer la balance bénéfice-risque favorable pour les patients concernés.

Elle est élaborée pour une durée de 3 ans, renouvelable, et s'accompagne d'un suivi des patients mis en place par le laboratoire.

5 RTU ont été élaborées par l'ANSM en 2020.

.....
Pour consulter
la liste des RTU
en cours
.....



Expérimentation de l'usage médical du cannabis

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 ?

À 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'État 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 le début 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 ?

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 elles 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 ?

Dans le sillage des travaux que nous avons menés avec la DGS et de la publication du décret paru en Conseil d'État, 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.

L'expérimentation du cannabis à usage médical

Pendant 24 mois, 3 000 patients bénéficieront du cannabis médical en complément ou en remplacement de leur traitement, s'ils présentent une des 5 indications ou situations cliniques retenues :

- ◆ douleurs réfractaires aux thérapies (médicamenteuses ou non) accessibles,
- ◆ certaines formes d'épilepsie sévères et pharmaco-résistantes,
- ◆ dans le cadre des soins de support en oncologie,
- ◆ situations palliatives,
- ◆ spasticité douloureuse de la sclérose en plaques et des autres pathologies du système nerveux central.

.....
Pour en savoir plus
.....

