

Délégation Scientifique

SEANCE DU CONSEIL SCIENTIFIQUE DU 10 OCTOBRE 2024

Retour d'information

Le Pr. *Joël Ankri*, Président du Conseil Scientifique (CS), a ouvert la séance en accueillant les participants et en saluant la présence de *Valérie Delahaye-Guillocheau*, présidente du Conseil d'administration, et de Pierre Quignon-Fleuret, nouveau contrôleur budgétaire de l'ANSM. Mme *Delahaye-Guillocheau* a rappelé l'importance des travaux du CS dans le renforcement de la crédibilité et de la sécurité des orientations stratégiques de l'ANSM.

Alexandre de la Volpilière, Directeur général par intérim, a ensuite présenté le Contrat d'Objectifs et de Performance (COP 2024-2028), qui fixe les grandes orientations de l'agence pour les cinq prochaines années, articulées autour de quatre axes : garantir la sécurité des patients, soutenir l'innovation, améliorer le service aux citoyens et renforcer la performance interne de l'ANSM.

Les **ruptures dans la disponibilité des médicaments**, une préoccupation majeure de politique de santé publique (PSP) de l'ANSM, ont été au cœur des discussions. *Guillaume Renaud*, Directeur de la Direction de l'Inspection, a présenté la [feuille de route ministérielle 2024-2027](#), visant à anticiper, détecter et gérer ces ruptures. Elle s'articule autour de quatre axes : anticipation et détection des signaux, actions de santé publique (publication d'une liste de MITM et de leurs alternatives), renforcement de l'autonomie de production française et amélioration de la transparence de la chaîne d'approvisionnement.

Le CS a reconnu la pertinence de la feuille de route ministérielle pour la gestion des ruptures de médicaments, mais a également identifié des défis importants à relever pour sa mise en œuvre, notamment en matière d'harmonisation européenne et de transparence à l'échelle nationale et internationale.

Les conseillers et les travaux du collège :

Pascale Daynès et *Christophe Decoene* conseillers auprès de l'ANSM, ont présenté le [Collège des conseillers ANSM](#), mis en place en 2020. Composé de plusieurs conseillers, ce collège joue un [rôle](#) essentiel dans l'accompagnement des missions transversales de l'ANSM, notamment sur des priorités les PSP (telles que [mésusage](#), [rupture dans la disponibilité des médicaments](#)).

Les conseillers interviennent notamment lorsque l'analyse nécessite une expertise au-delà des aspects scientifiques ou réglementaires. Ils peuvent aider à prendre en compte certains aspects du soin et les difficultés de terrain. Les conseillers participent à la lisibilité et à l'adéquation entre l'expertise réglementaire et/ou scientifique et le vécu des utilisateurs.

Le CS encourage l'ANSM à renforcer ce type de dispositif, soulignant un intérêt reconnu de tels profils à temps partagé en interne et en externe dans une organisation, pour des décisions plus efficaces en matière de santé publique.

Laetitia Belgodère, cheffe de projet scientifique à la délégation scientifique, a présenté les résultats préliminaires des travaux du collège sur le risque d'exposition aux médicaments concernés par des déclarations de rupture dans leur disponibilité selon les populations. Ces déclarations ont augmenté au cours des dix dernières années, touchant particulièrement les médicaments des systèmes cardiovasculaire et nerveux, ainsi que les anti-infectieux. La consommation de médicaments varie selon les populations, mettant en évidence des spécificités liées aux variables démographiques que sont le sexe et l'âge du patient. Les premiers résultats suggèrent que le risque de consommer un

Délégation Scientifique

médicament dont la classe thérapeutique a fait l'objet d'une déclaration de rupture dans l'année diffère selon les tranches d'âge.

Le CS salue l'importance de s'intéresser aux conséquences des pénuries sur les différentes populations. Les limites de l'analyse ont été évoquées, en particulier l'absence de données relatives à la consommation de médicaments en milieu hospitalier et le fait qu'elle repose sur des déclarations de risque de rupture de médicament d'intérêt thérapeutique majeur. L'étude ne permet pas d'évaluer les conséquences cliniques potentielles, mais mérite de poser la question de l'impact qui est un sujet sensible pour les patients et les professionnels.

Le CS recommande de poursuivre cette approche pour adapter les stratégies de gestion des pénuries aux besoins des différentes populations. Il invite notamment à poursuivre la réflexion de l'approche populationnelle sur les autres priorités de santé publique de l'Agence, dont l'accès à l'innovation.

Stéphane Vignot, conseiller médical ANSM, a ensuite abordé les enjeux spécifiques de cette approche dans le domaine de l'oncologie pour les patients âgés, souvent exclus des essais cliniques en raison de critères stricts d'éligibilité. Plusieurs solutions ont été proposées, comme des analyses de sous-groupes, des essais cliniques dédiés, et la création de cohortes prospectives, tout en soulignant les défis logistiques pour adapter ces essais à cette population.

Les débats ont mis en évidence plusieurs points essentiels : la limitation des critères d'éligibilité basés sur les comorbidités a été critiquée, et le critère de fragilité a été recommandé pour évaluer plus justement la participation des personnes âgées. La décentralisation des essais a été suggérée pour améliorer l'accès en zones rurales, et l'importance de promouvoir une culture gériatrique et de coordonner les pratiques au niveau européen a été soulignée.

Le CS soutient une approche populationnelle pouvant aider à inclure davantage les personnes âgées dans les essais cliniques, combler les lacunes en données et adapter les essais à leurs besoins

Enfin, *Trystan Bacon*, conseiller médical ANSM a présenté le parallèle possible entre les principes de la décision clinique selon l'*Evidence-Based Medicine* (EBM) et ceux de l'ANSM concernant les décisions réglementaires. L'EBM repose sur trois piliers essentiels : les meilleures preuves scientifiques, l'expérience clinique et les valeurs des patients. La décision réglementaire sur les produits de santé repose aussi sur 3 niveaux en intégrant les connaissances scientifiques, le fruit du dialogue avec les parties prenantes et le cadre réglementaire national et européen. Les débats ont souligné les limites de l'EBM lorsqu'elle est limitée aux données scientifiques, certains participants rappelant que les décisions de santé publique ne peuvent se baser uniquement sur les preuves scientifiques, souvent insuffisantes pour saisir le contexte complet. La notion d'*Evidence-Based Regulation* a ainsi été discutée, avec des inquiétudes sur le risque d'écarter des aspects économiques et la nécessité de prendre en compte les besoins concrets des patients et professionnels. L'importance des données en vie réelle et de la prise en compte des incertitudes dans l'évaluation des produits de santé a également été mise en avant. Le CS a encouragé une approche équilibrée, entre les données scientifique, le contexte et les parties concernées, pour des décisions mieux adaptées aux besoins du terrain.