

4. Des initiatives pour un accès plus précoce des patients aux innovations thérapeutiques

En 2025, l'ANSM a renforcé son engagement pour permettre aux patients un accès plus précoce aux innovations thérapeutiques. En matière d'accélération de la recherche clinique, elle a annoncé le lancement d'une initiative nationale et a pris part à la mise en place d'initiatives européennes, en collaboration avec le réseau des chefs d'agence du médicament (HMA), afin de réduire les délais d'autorisation de certains essais cliniques en France. Elle est également très investie dans la révision des règlements européens *via* le Biotech Act pour améliorer l'attractivité et la compétitivité de la France et de l'Europe. En matière d'accès précoce aux traitements innovants, elle a développé, en lien avec l'Institut Gustave-Roussy, un protocole permettant le recours à un médicament contre des cancers ultra-rares, qui n'est aujourd'hui pas disponible en Europe.

Parallèlement, l'Agence a accompagné, *via* son guichet innovation et orientation (GIO), des porteurs de projets innovants encore en phase très précoce afin d'accélérer l'accès à l'innovation tout en garantissant la sécurité et la conformité des produits de santé.

Un dispositif « fast-track » pour accélérer les autorisations d'essais cliniques en France

En novembre 2025, l'ANSM, la Commission nationale des recherches impliquant la personne humaine (CNRI PH) et la Conférence nationale des comités de protection des personnes (CNCP), en lien avec la Direction générale de l'offre de soins (DGOS) et l'Agence de l'innovation en santé (AIS), ont annoncé un nouveau dispositif accéléré d'autorisation (fast-track) pour certains essais cliniques conduits uniquement sur le territoire national.

Ce nouveau processus concerne des essais français en phase précoce pour

des médicaments innovants, pour traiter des maladies graves encore sans solution thérapeutique, ou qui prévoient d'inclure des adolescents dans des essais d'adultes.

L'ANSM vérifie l'éligibilité de l'essai au dispositif accéléré en amont de la soumission de la demande d'autorisation *via* le portail européen CTIS (Clinical Trial Information System). Elle procède ensuite à une évaluation dans un délai considérablement réduit : le délai d'autorisation en fast-track peut ainsi être de 14 jours si le dossier du promoteur ne soulève pas de question.

Ce mode opératoire sera expérimenté dans un premier temps lors d'une phase pilote qui débutera début 2026.



Une procédure accélérée pour les essais cliniques multinationaux dans l'Union européenne et l'Espace économique européen

Appelée FAST-EU (« Faciliter et accélérer les essais stratégiques »), cette procédure, annoncée en novembre 2025, vise à réduire les délais d'autorisation des essais cliniques à 70 jours calendaires après la date de soumission. 25 États membres y participent, dont la France, représentée par l'ANSM, en étroite collaboration avec les comités d'éthique.

Son objectif est de donner aux promoteurs d'essais une meilleure prévisibilité des délais d'évaluation et d'autorisation,

de renforcer leur confiance dans le système réglementaire européen et d'attirer plus d'essais sur le territoire européen, sans réduire les exigences scientifiques, éthiques et en matière de sécurité.

FAST-EU vise ainsi à démontrer la capacité de l'UE à coordonner et à réagir rapidement. FAST-EU, lancée fin janvier 2026, sera d'abord expérimentée au cours d'une phase pilote qui permettra à tous les acteurs de se coordonner et de tester la faisabilité de l'évaluation accélérée portée par le Biotech Act. Selon les résultats, la question d'un élargissement du dispositif pourra être posée pour une mise à l'échelle.

« Les essais cliniques sont au cœur de l'innovation thérapeutique. La France figure parmi les leaders européens en matière de recherche clinique, un domaine qui constitue une priorité pour l'ANSM. Notre mission concilie à la fois un rôle de régulateur, garant de la rigueur et de la sécurité, et un rôle de facilitateur, pour accélérer l'accès aux patients aux innovations. Une équation complexe, toujours guidée par une priorité : la sécurité des patients. »

GAËLLE GUYADER
Directrice des autorisations

Une expérimentation européenne pour simplifier les procédures d'autorisation des essais cliniques combinés

Lancé en 2023 par la Commission européenne et les autorités nationales compétentes pour les médicaments et les dispositifs médicaux, le programme COMBINE a pour objectif d'analyser et de trouver des solutions aux difficultés rencontrées par les promoteurs dans la réalisation des essais cliniques combinés (ou mixtes), c'est-à-dire des essais dans lesquels un médicament et un dispositif médical (DM) ou un dispositif médical de diagnostic *in vitro* (DIV) sont évalués simultanément, avant leur mise sur le marché. Ces essais combinés, qui représentent la quasi-totalité des études des performances DIV autorisées en France en 2025, se heurtent à des réglementations différentes selon chaque type de produit de santé, entraînant des demandes d'autorisation de l'essai qui se font en même temps mais par deux circuits différents, et avec des modalités de dépôt différentes.

La France fait partie du comité de pilotage du programme COMBINE. En décembre 2024, les États membres ont validé une stratégie en sept projets, dont cinq ont déjà commencé en 2025. L'ANSM est très active dans la majorité de ces initiatives structurantes.

Le premier projet, « all in one », teste une procédure européenne d'évaluation coordonnée globale pour rationaliser le processus d'autorisation, réduire la charge administrative pour les promoteurs et, *in fine*, accélérer l'accès des patients à des traitements innovants. En juin 2025, huit promoteurs ont répondu à un appel à intérêt pour une phase pilote, prévoyant un dépôt unique *via* la plateforme médicaments CTIS. Deux dossiers ont été déposés en 2025, et les autres sont attendus début 2026. L'ANSM contribuera à leur évaluation.



« Accélérer l'innovation et renforcer l'attractivité de la France dans le domaine de la santé repose sur une mobilisation collective des acteurs publics, des industriels, des chercheurs et des patients. Cette dynamique, portée par une coordination renforcée entre l'ANSM, le ministère, l'Agence de l'innovation en santé (AIS) et l'Institut national du cancer (INCa) notamment, vise à favoriser l'innovation thérapeutique, tout en garantissant un accès rapide et sécurisé aux patients. »

PIERRE-OLIVIER FARENQ
Directeur Europe et innovation

Zoom

ACT EU : améliorer l'environnement de la recherche clinique en Europe

Des initiatives majeures contribuent à renforcer l'attractivité et la compétitivité de l'Europe, en priorité ACT EU (Accelerating Clinical Trials in EU), initiée en 2022 et pilotée par la Commission européenne. Cette initiative a pour ambition d'améliorer l'environnement de la recherche clinique en Europe par l'optimisation de son efficacité et le renforcement de son intégration dans le système de santé européen. Ainsi, à l'horizon 2030, il s'agit d'autoriser 500 essais multinationaux supplémentaires et d'initier

le recrutement de 66 % des essais dans un délai de 200 jours maximum post demande d'autorisation.



Chiffres clés

Position de la France en nombre de dépôts de nouvelles demandes d'essais cliniques médicaments du 31 janvier 2022 (entrée en vigueur du règlement européen 536/2014) au 31 décembre 2025

1^{re} position

pour les essais mononationaux (740 essais déposés) devant l'Espagne (585 essais déposés) et les Pays-Bas (538 essais déposés)

2^e position

toutes procédures confondues (essais mononationaux et multinationaux) (2 574) derrière l'Espagne (2 882)

3^e position

pour les essais multinationaux : sur 1834 dossiers multinationaux déposés, la France a été choisie 259 fois par les promoteurs pour être État membre de référence (RMS), soit 14% des dossiers multinationaux, derrière l'Allemagne (664) et l'Espagne (628)



Retrouvez toutes les données chiffrées en annexes 3, 4 et 5

Zoom

IncreaseNET à mi-parcours

La joint action IncreaseNET a atteint sa mi-parcours en 2025. Ce projet vise à renforcer la collaboration entre les agences de santé européennes et à améliorer les capacités d'évaluation au sein du réseau. Dans ce cadre, des modules de formation ont été développés par l'agence irlandaise HPRA et mis à disposition sur la plateforme EU NTC¹. Ils couvrent notamment les compétences générales d'évaluation réglementaire ainsi que les fondamentaux en biostatistiques.

L'ANSM coordonne le groupe de travail « soutien à l'innovation », qui a permis le développement d'une boîte à outils pour faciliter les interactions entre régulateurs et acteurs académiques, ainsi que celui d'une grille de critères pour évaluer l'impact des technologies innovantes sur les activités réglementaires. Une réflexion a également été engagée sur la mise en place d'avis scientifiques en amont de l'octroi de financements.

Enfin, deux conférences ont été organisées en Croatie et à Malte afin de partager les avancées du projet avec les membres du consortium.

La participation à IncreaseNET permet de renforcer les compétences des évaluateurs français grâce aux formations, aux échanges d'expertise et aux collaborations avec les autres autorités compétentes européennes. Elle contribue également à valoriser le savoir-faire français et à renforcer le positionnement de l'ANSM au sein du réseau réglementaire européen. Enfin, les travaux menés dans le cadre du projet participent à l'amélioration des dispositifs de soutien à l'innovation (type guichet orientation et innovation), au bénéfice des acteurs de la recherche et du développement, notamment les équipes académiques, les start-ups et les PME.



Le guichet innovation et orientation (GIO) : un accompagnement renforcé pour l'innovation en santé

En 2025, le GIO de l'ANSM a poursuivi l'accompagnement des porteurs de projets, en particulier sur les aspects réglementaires et scientifiques lors des phases les plus précoces de développement des produits innovants. Avec 336 demandes reçues, le GIO confirme son rôle central dans le soutien à l'innovation et aux efforts de recherche menés en France.

Domaines émergents : maladies infectieuses et pédiatrie

Le GIO a observé une forte croissance des demandes liées aux maladies infectieuses et émergentes, avec une hausse de 65 % entre 2023 et 2025. L'ANSM soutient et accompagne cette dynamique qui vise à faciliter l'identification de nouvelles solutions thérapeutiques et lutter contre l'antibiorésistance.

Par ailleurs, le GIO poursuit son accompagnement sur la pédiatrie, où les données cliniques sont souvent parcellaires. Il a ainsi accompagné plusieurs projets visant à :

- Adapter les formes galéniques aux besoins spécifiques des enfants (médicaments à dosage précis, formulations adaptées) ;
- Développer des médicaments imprimés en 3D, soutenant les approches de personnalisation des traitements ;
- Soutenir les essais cliniques en oncologie pédiatrique, notamment pour les recherches de dose et les stratégies de désescalade, afin d'optimiser la sécurité et l'efficacité des traitements.



Zoom

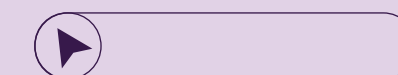
Un protocole d'accès précoce à un nouveau traitement contre les carcinomes NUT

Les carcinomes NUT, tumeurs agressives liées à des anomalies du gène NUTM1, touchent une dizaine de jeunes adultes par an en France. En l'absence de traitement et d'essai clinique disponibles en Europe, l'ANSM et l'Institut Gustave-Roussy ont mis en place, depuis le 24 novembre 2025, un protocole d'utilisation temporaire (PUT) qui sécurise l'accès à titre exceptionnel au birabresib, un traitement innovant contre les carcinomes NUT.

Ce protocole garantit :

- Un accès sécurisé et équitable, réservé aux patients prétraités et en rechute, après validation en réunion pluridisciplinaire nationale (RCP moléculaire) ;
- Un encadrement strict (suivi de la qualité, de la sécurité et de la tolérance du traitement) ;
- Une collecte de données pour affiner les connaissances sur ces cancers et optimiser l'usage du traitement.

C'est la deuxième fois que l'Institut Gustave-Roussy et l'ANSM collaborent pour mettre en place un tel protocole. Depuis 2021, un accès similaire a permis à plus de 250 patients en situation de rechute de recevoir le traitement ONC201.



1. European Union Network Training Center (Centre de formation du réseau de l'Union européenne)