

Que sont les accès dérogatoires ?

- Une réponse à un besoin thérapeutique non couvert
- Un rapport bénéfice/risque présumé favorable

Trois dispositifs	Autorisation d'accès compassionnel AAC	Autorisation d'accès précoce AAP	Cadre de prescription compassionnelle CPC
 Objectif principal	Permettre l'accès à des médicaments sans AMM en France pour des patients atteints de pathologies rares, graves ou invalidantes	Permettre l'accès à un médicament innovant avant ou juste après l'obtention de son autorisation de mise sur le marché (AMM)	Encadrer et sécuriser la prescription hors AMM
 Initiateur(s) de la demande ou du signalement	Prescripteurs et pharmacies à usage intérieur (PUI)	Laboratoires	• Institut national du cancer • Centres de référence et centres de compétence des maladies rares • Conseils nationaux professionnels compétents mentionnés à l'article L. 4021-3 du code de santé publique • Associations de patients agréées • Ministère de la santé • ANSM
 Spécialités concernées	Médicaments en cours de développement* ou spécialités autorisées à l'étranger <i>* sous condition d'engagement à déposer une demande d'accès précoce</i>	Médicaments en cours de développement ou autorisé	Médicaments avec AMM commercialisés en France (incluant princeps, génériques, biosimilaires) <i>Pas d'essai clinique à des fins commerciales en cours</i>
 Perspective d'AMM	Spécialités non destinées à obtenir une AMM en France	Engagement du laboratoire à déposer une AMM ou AMM déjà effective	Spécialités utilisées en hors AMM dans l'indication visée par le CPC
 Suivi des patients concernés	Protocole d'utilisation thérapeutique de suivi de patient (PUT-SP) avec ou sans recueil de données	Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD)	Protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi de des patients (PUT-SP) avec ou sans recueil de données
 Validité de la décision	Autorisation pour un patient nommément désigné 1 an maximum renouvelable	Autorisation pour une population définie (cohorte) 1 an maximum renouvelable	Décision pour une population définie (cohorte) 3 ans renouvelable