

## Aspects réglementaires

Rencontres scientifiques : réflexions et échanges sur les anti-angiogéniques dans les maladies vasculaires rares

8 mars 2024

**Laura Tourvieille**

Pharmacienne en charge de l'observatoire des traitements

Filières FAVA-Multi et MHEMO

[laura.tourvieille@chu-lyon.fr](mailto:laura.tourvieille@chu-lyon.fr)

# Qu'est-ce qui a changé avec la réforme de juillet 2021 ?

## Accès précoce (AP)

ATU cohorte

Post ATU

accès  
post-AMM

ATUc  
extension

HAS

HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

ansm

Agence nationale de sécurité du médicament  
et des produits de santé

Indication **développée à des fins commerciales**

A la demande du **laboratoire**

**Recueil de données** protocolisé

Engagement à déposer une **demande d'AMM** dans les 2 ans

## Accès compassionnel (AC)

ATU nominative

RTU

ansm

Agence nationale de sécurité du médicament  
et des produits de santé

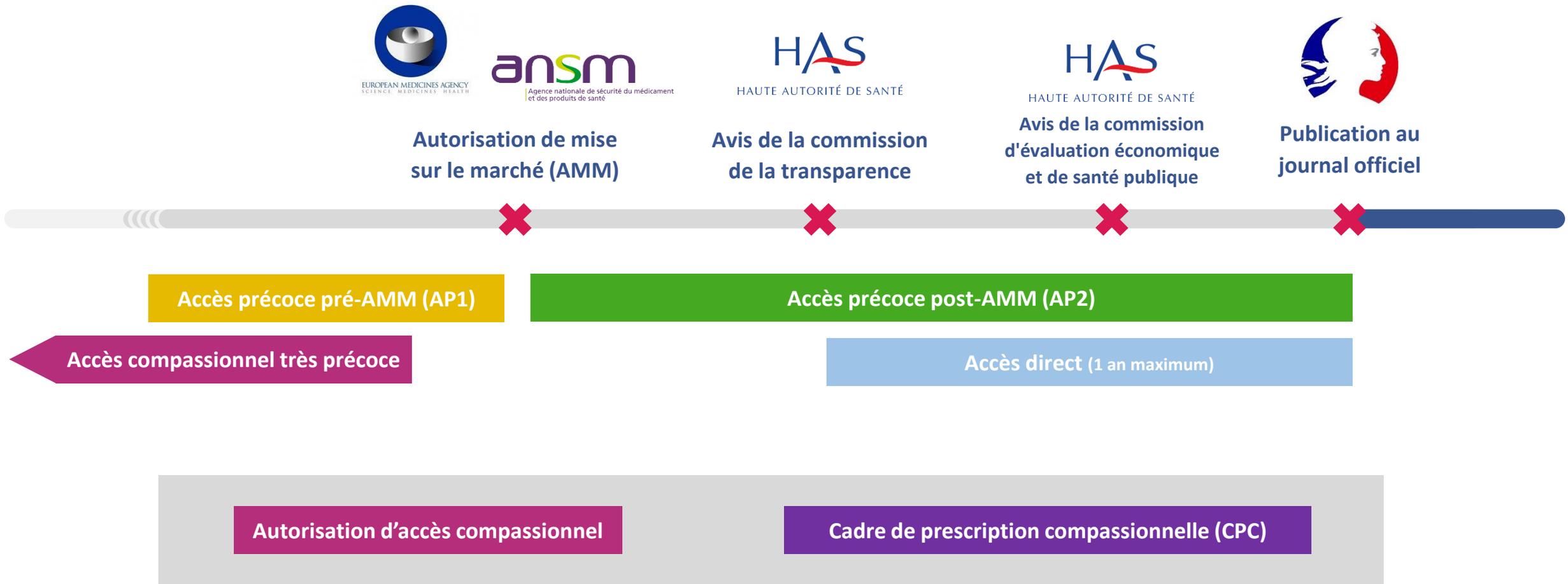
Indication **pas développée à des fins commerciales\***

A la demande d'un **prescripteur / autorités**

**Recueil de données +/- protocolisé**

*\* Excepté pour les **accès compassionnels très précoces** (engagement à déposer une demande d'AP dans les 12 ou 18 mois)*

# Les étapes de la vie d'un médicament



# Les accès précoces et compassionnels

Le traitement fait-il l'objet d'une **recherche impliquant la personne humaine à des fins commerciales** dans l'indication ?

Oui

Non

## Accès précoce

Indication développée à des fins commerciales

- **Efficacité et sécurité du traitement sont fortement présumées (AP pré-AMM)**
- **Maladie rare, grave ou invalidante**
- **Absence de traitement approprié**
- Mise en œuvre du traitement **ne peut être différée**
- Traitement **présupposé innovant**, au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent

A la demande du laboratoire

ACCES PRECOCE  
pré-AMM

**ansm**  
Agence nationale de sécurité du médicament  
et des produits de santé

**HAS**  
HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

ACCES PRECOCE  
post-AMM

**HAS**  
HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

Respect d'un **PUT-RD** défini par la **HAS (+/-ANSM)**

## Accès compassionnel

Indication non développée à des fins commerciales\*

AMM: Autorisation de Mise sur le Marché

PUT-RD: Protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données

\* Excepté pour les **accès compassionnels très précoces**

# Les accès précoces et compassionnels

Le traitement fait-il l'objet d'une **recherche impliquant la personne humaine à des fins commerciales** dans l'indication ?

Oui

Non

## Accès précoce

Indication développée à des fins commerciales

A la demande du laboratoire

## Accès compassionnel

Indication non développée à des fins commerciales\*

A la demande d'un prescripteur / CRMR-FSMR / autorités

- Pas d'AMM en France, quelle que soit l'indication thérapeutique (AAC), ou l'AMM initiale ne porte pas sur l'indication thérapeutique sollicitée (CPC)
- Maladie grave, rare ou invalidante
- Absence de traitement approprié
- Efficacité et sécurité du médicament présumées au regard des données cliniques disponibles
- Pas de recherche impliquant la personne humaine (RIPH) à des fins commerciales ou RIPH à des fins commerciales **MAIS** le patient ne peut participer à cette recherche, la mise en œuvre du traitement ne peut pas être différée, et le laboratoire s'est engagé à déposer une demande d'accès précoce,

AAC

ACCES COMPASSIONNEL  
« SIMPLE »

ACCES COMPASSIONNEL  
« TRES PRECOCE »

ansm  
Agence nationale de sécurité du médicament  
et des produits de santé

CPC

CADRE DE PRESCRIPTION  
COMPASSIONNELLE

PUT-SP : protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients

\* Excepté pour les accès compassionnels très précoces

# Les accès compassionnels

Le traitement fait-il l'objet d'une **recherche impliquant la personne humaine à des fins commerciales** dans l'indication ?

Non



**Accès compassionnel**  
Indication non développée à des fins commerciales\*

**ACCES COMPASSIONNEL**  
« SIMPLE »

Médicament n'ayant pas vocation à être commercialisé par le laboratoire  
Initiative PRESCRIPTEUR  
Pour un patient donné

**ACCES COMPASSIONNEL**  
« TRES PRECOCE »

Produit en phase de développement très précoce  
Engagement du laboratoire à déposer un AP  
Initiative PRESCRIPTEUR  
Pour un patient donné

**CADRE DE PRESCRIPTION**  
**COMPASSIONNELLE (CPC)**

Sécurisation d'une pratique de prescription non conforme à l'AMM d'une spécialité  
Médicament n'ayant pas vocation à être commercialisé par les laboratoires dans l'indication  
Signalement déposé par un CRMR-FSMR à l'ANSM ou initiative ANSM ou ministères



Respect d'une fiche référentiel (AC simple) / PUT-SP (AC très précoce) / PUT+/-SP (CPC)  
définis par l'ANSM

\* Excepté pour les **accès compassionnels très précoces**

# Et en l'absence de tout accès dérogatoire ?



CRMR Anomalies vasculaires superficielles

