

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

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

Accès précoce (AP)

ATU cohorte

Post ATU

accès
post-AMM

ATUc
extension

Accès compassionnel (AC)

ATU nominative

RTU



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

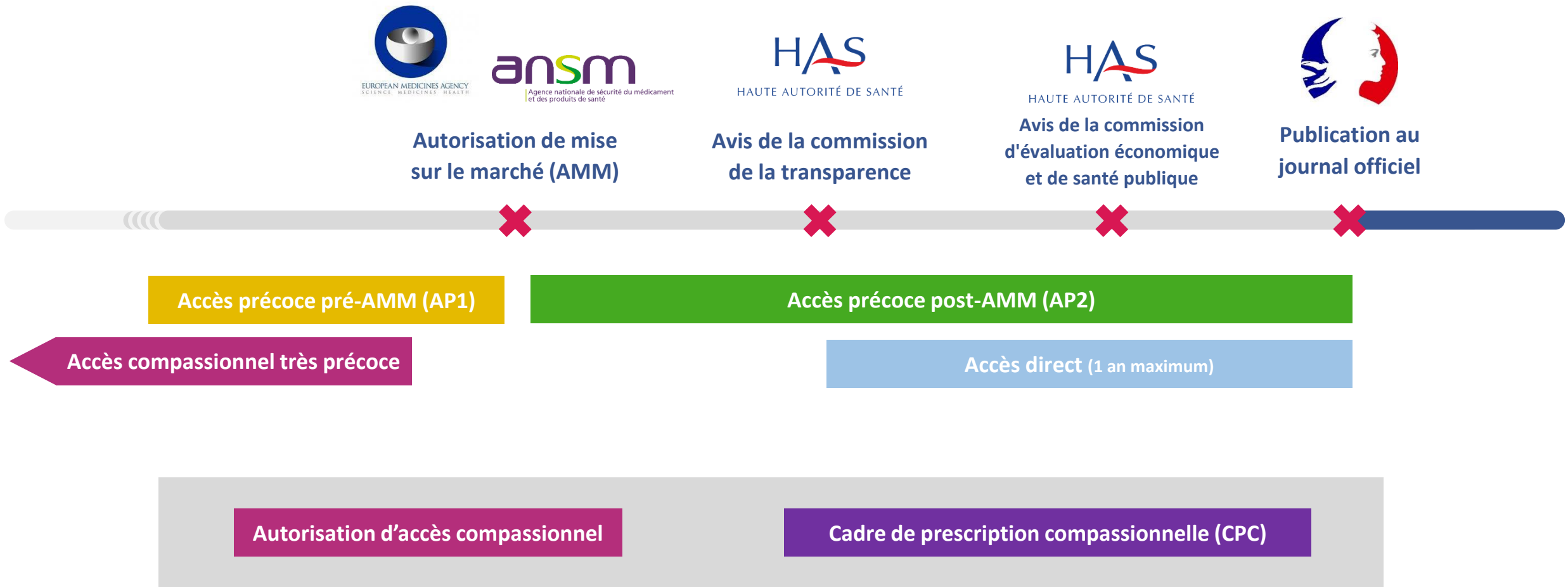
Indication **pas développée à des fins commerciales***

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

