



Bilan à deux ans de l'accès précoce

Dr Sophie Kelley, Chef du service d'Evaluation des médicaments



27/09/2023



1

Rappels

Dispositifs dérogatoires en France

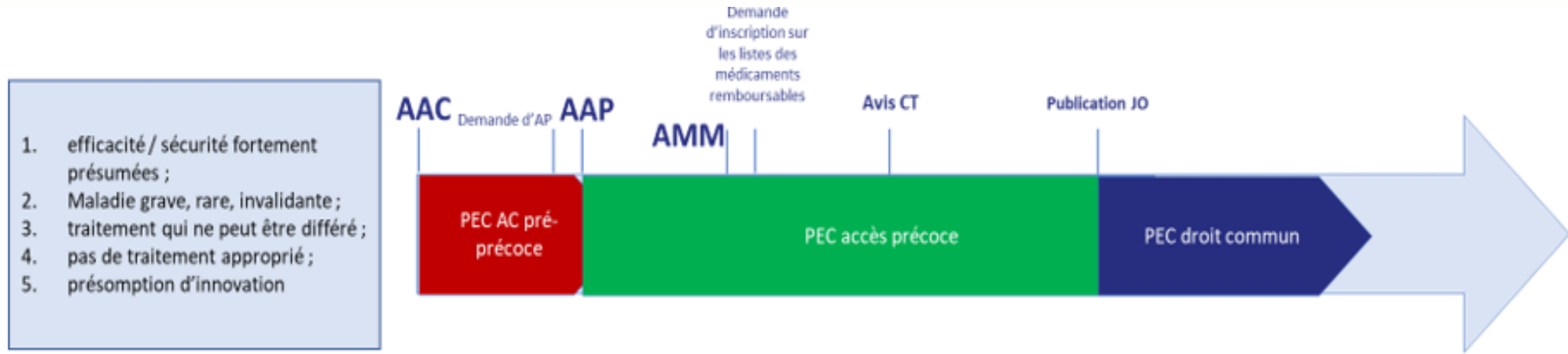


Figure 1. Dispositifs de prise en charge dérogatoires, vers le droit commun [PEC : prise en charge ; AC : accès compassionnel ; CT : commission de la transparence ; JO : journal officiel]

Rappels sur la réforme de 2021*

Conserver les forces du système en travaillant les points faibles

Les patients



- ✓ Accès en amont du droit commun
- ✓ Pas de reste à charge



- Délais parfois longs
- Gestion de l'information notamment quand le produit ne « remplit par le pari »

Les industries pharmaceutiques



- ✓ Financement en amont du droit commun
- ✓ Prix libre majoritaire

- Complexité des dispositifs
- Délais parfois longs
- Problème de trésorerie au débouclage

Les établissements de santé



- ✓ Financement à l'€ / l'€
- ✓ Recueil de données en amont du droit commun

- Financement du recueil
- Complexité des commandes

Les administrations



- ✓ Accès aux produits présumés innovants répondant à un besoin thérapeutique
- Gestion administrative multiple (ATUc, ATUn, Post-AMM, RTU...)
- Soutenabilité du système (entre 800 M€ et 1 Md€ par an)
- Alignement objectifs des dispositifs / panier

Rappels sur la réforme de 2021*

Conserver les forces du système en travaillant les points faibles

Les patients

Les industries

Les établissements de

Les administrations

Présomption (pari sur le médicament)
insuffisamment confirmée (2013-2017)

- 10 % de SMRi
- 28 % de SMRi / faible / modéré
- 35 % sans ASMR

→ DÉBOUCLAGE COMPLEXE

- Délais parfois longs
- Complexité des dispositifs
- Délais parfois longs
- Problème de trésorerie au débouclage

- ✓ Accès aux produits présumés innovants répondant à un besoin thérapeutique
- Gestion administrative multiple (ATUc, ATUn, Post-AMM, RTU...)
- Soutenabilité du système (entre 800 M€ et 1 Md€ par an)
- Alignement objectifs des dispositifs / panier





2

Bilan des 2 ans

Bilan à deux ans

25 auditions

78 jours
médian
d'évaluation

Majoritairement en
oncologie

> 250 demandes
(>65% premières
demandes) et de
plus en plus de
sollicitations

79 contributions
écrites
d'associations
de
patients/parties
prenantes

180
instructions

Un progrès
confirmé dans au
moins 80% des cas

Pari encore en cours pour 14%
des autorisations d'AAP
évaluées par la CT dans le droit
commun

→ réévaluations à venir dès les
résultats des essais cliniques
comparatifs disponibles

Un outil pour accélérer l'accès des médicaments innovants aux patients

- Délai d'accès : médicaments disponibles en moyenne **9 mois** avant d'être inscrits sur les listes de remboursement à compter de leur obtention d'autorisation d'accès précoce
- Les produits évalués dans le cadre du droit commun et apportant un progrès thérapeutique conséquent (ASMR I (majeure) à III (modérée)) étaient, pour **80%** d'entre eux, **déjà disponible en accès précoce**
- Mise à disposition rapide des médicaments pour des **dizaines de milliers de patients** en situation d'impasse thérapeutique

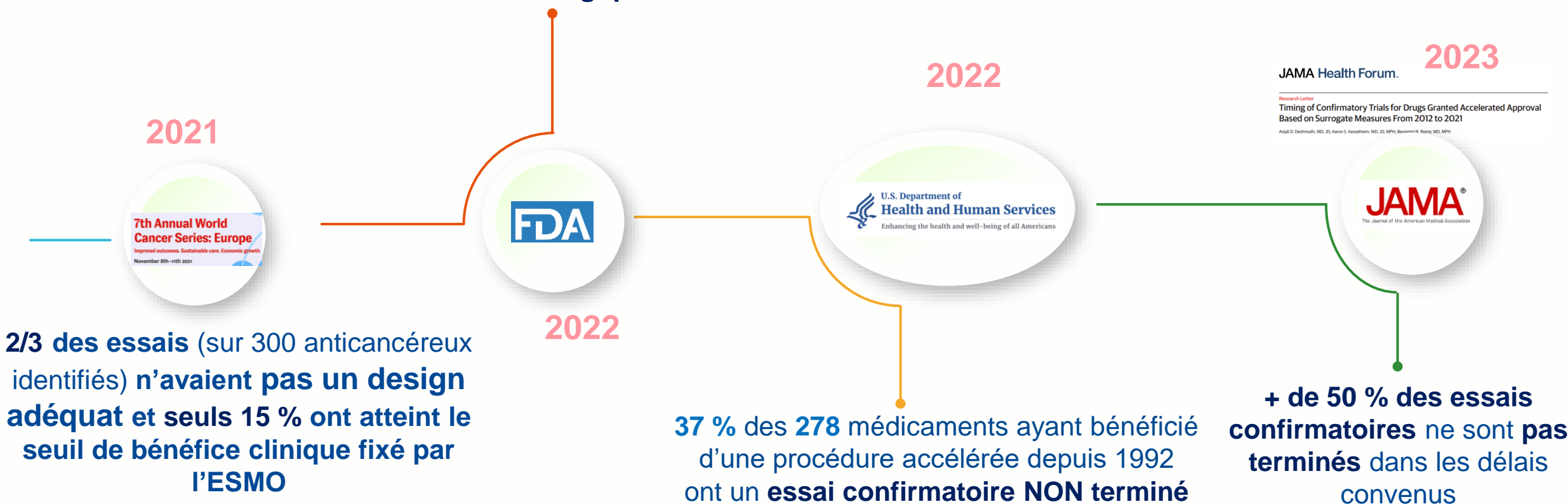


3

Perspectives

Réflexions sur les conditions du “pari” de l'accès précoce (expérience américaine)

Le Directeur de la FDA demande aux industriels de produire « **des données cliniques robustes et de bonne qualité méthodologique** »



Autres Perspectives

Maintien de l'accès des patients aux médicaments présumés innovants avec incertitude

Optimisation des procédures pour le rendu des décisions et le recueil des données

- Lancement en 2022 d'un appel à recensement des sources de données existantes pour limiter les doublons de saisie des données par les prescripteurs,
- Collaboration avec la Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR) autour d'un set de données minimum pour les traitements indiqués dans les maladies rares, décliné en juillet 2023 sous la forme d'un [PUT-RD adapté au recueil de données via BaMaRa](#)
- Un [nouveau modèle de PUT-RD](#) a également été publié en avril 2023 avec des simplifications à la clé, issues de l'expérience acquise de la validation des PUT-RD depuis le début de la réforme