

Médicaments en autorisation d'accès précoce, autorisation d'accès compassionnel et cadre de prescription compassionnelle

Journées des métiers FHP MCO – CLUB PHARMACIE le 22 Juin 2022

Pascale Cuny – Pharmacien, Direction Pharmacie – Ramsay Santé

ramsaysante.com



Ramsay
Santé

1. Présentation des dispositifs d'accès dérogatoire
2. Application en pratique pour les professionnels de santé
3. Bilan à 10 mois de la réforme de 2021

POURQUOI UNE REFORME DE L'ACCES DEROGATOIRE AUX MEDICAMENTS ?



- Gestion des dispositifs d'Autorisation Temporaire d'Utilisation devenue trop complexe
- Six dispositifs d'accès dérogatoire ayant chacun des critères d'accès et de prise en charge spécifiques en 2020
- Périmètre du dispositif actuel des RTU se recoupait avec ceux des ATU avec une procédure longue et dépendante des laboratoires

Refonte totale de l'actuel système dérogatoire d'accès et de prise en charge des médicaments faisant l'objet d'ATU et de RTU tout en garantissant la pérennisation des accès pour les patients ➡ **article 78 LFSS 2021**

ACCES COMPASSIONNEL

L'accès compassionnel cible des besoins médicaux auxquels peuvent répondre des médicaments pour lesquels le laboratoire n'a pas de stratégie commerciale.

- *Autorisation d'accès compassionnel nominative*
- *Cadre de prescription compassionnelle*

Les autorisations relatives à l'accès compassionnel sont données par l'ANSM.

- **Autorisation d'accès compassionnel nominative (AAC) :**

Autorisation définie dans l'article L.5121-12-1 du code de la santé publique

Les ATU nominatives deviennent des AAC

Toutes les demandes d'AAC doivent être transmises via e-Saturne.

Demandé pour un médicament non autorisé et non disponible en France par un prescripteur hospitalier pour un patient nommément désigné sous réserve que l'ANSM soit en capacité de présumer d'un rapport bénéfice/risque favorable pour une maladie grave, rare ou invalidante

RIMSO (diméthylsulfoxyde) : cystite interstitielle
POZIOTINIB : tumeur maligne des bronches et du poumon

ACCES COMPASSIONNEL

L'accès compassionnel cible des besoins médicaux auxquels peuvent répondre des médicaments pour lesquels le laboratoire n'a pas de stratégie commerciale.

- *Autorisation d'accès compassionnel nominative*
- *Cadre de prescription compassionnelle*

Les autorisations relatives à l'accès compassionnel sont données par l'ANSM.

- **Cadre de prescription compassionnelle (CPC) :**

Cadre de prescription défini au III de l'article L.5121-12-1 du code de la santé publique

Les RTU deviennent des CPC

Encadrement d'une pratique, à l'initiative de l'ANSM en vue de sécuriser une pratique de prescription hors-AMM d'un médicament disponible en France, disposant d'une AMM dans d'autres indications, lorsqu'il fait l'objet d'une prescription hors AMM bien établie sur le territoire français

METHOTREXATE : GEU
XALKORI (Crizotinib) : CBNPC localement avancé ou métastatique
RITUXIMAB : PTI

ACCES COMPASSIONNEL

« Pré-Précoce » ou « très précoce »

Autorisation d'accès compassionnel définie au deuxième alinéa du II de l'article L. 5121-12-1 du code de la santé publique

Il est prévu que l'ANSM puisse octroyer une autorisation d'accès compassionnel, sur demande d'un médecin prescripteur, pour des médicaments qui font l'objet de recherche clinique dans une indication considérée à un stade très précoce.

Décision immédiate pour un patient donné, dans une impasse thérapeutique et ne pouvant attendre la mise en place d'un accès précoce alors que le produit y serait potentiellement éligible (essais en cours)

Conditions d'éligibilité :

- la mise en œuvre du traitement ne doit pas pouvoir être différée (impasse thérapeutique)
- le patient ne peut pas participer à cette recherche ;
- l'entreprise qui assure l'exploitation du médicament doit s'engager à déposer une demande d'accès précoce dans un délai déterminé suivant la première autorisation « compassionnelle pré-précoce ».

RIPRETINIB : TSGI avancée qui ont été précédemment traités avec au moins trois inhibiteurs de kinase, dont imatinib.

ACCES PRECOCE

Autorisation définie à l'article L. 5121-12 du Code de la santé

L'accès précoce vise les médicaments répondant à un besoin thérapeutique non couvert, susceptibles d'être innovants :

- l'efficacité et la sécurité du médicament sont fortement présumées dans une indication thérapeutique précise visant une maladie grave, rare ou invalidante, sans traitement approprié
- le laboratoire s'engage à déposer une demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) dans un délai déterminé de deux ans

L'accès précoce cible des besoins médicaux auxquels peuvent répondre des médicaments pour lesquels le laboratoire a des visées commerciales.

L'accès précoce aux médicaments innovants est accordé par la HAS, après avis de l'ANSM sur leur présomption d'efficacité et de sécurité.

Les ATU c deviennent des accès précoce pré-AMM et les prises en charge temporaire au titre du post-ATU deviennent des accès précoce post-AMM

ENHERTU (Trastuzumab deruxtécan) : Cancer du sein HER2+ métastatique ou non résecable

PAXLOVID (PF-07321332/ritonavir) : COVID 19

1. Présentation des dispositifs d'accès dérogatoire
- 2. Application en pratique pour les professionnels de santé**
3. Bilan à 10 mois de la réforme de 2021

EN PRATIQUE POUR LES PROFESSIONNELS DE SANTE

ACCES COMPASSIONNEL :

L'ANSM délivre des autorisations pour 20 à 25 000 patients chaque année

- ✓ Modalités de prescription et de délivrance non modifiées
- ✓ Utilisation du téléservice e-Saturne
- ✓ Pris en charge automatiquement à 100% par l'Assurance maladie dès l'octroi de l'autorisation.
- ✓ Transmission de l'indication thérapeutique (RSF-H) des médicaments via son code indication. (obligatoire au 1er juillet 2022, plus aucun code « NXXXX00 » ne sera valorisé)

Note d'information interministérielle N° DGOS/PF2/DSS/1C/2022/30 du 7 février 2022

Tableau référentiel disponible sur le site du Ministère comprenant la liste des indications, codes indication et codes UCD (unités communes de dispensation) des spécialités

https://solidarites-sante.gouv.fr/IMG/xlsx/referentiel_aac_cpc.xlsx

EN PRATIQUE POUR LES PROFESSIONNELS DE SANTE

ACCES PRECOCE :

Délais pour obtenir l'accès précoce d'un médicament raccourcis (3 mois après recevabilité du dossier),

Critères d'éligibilité clairs pour plus de prévisibilité des décisions

- ✓ Les prescripteurs informent leurs patients sur la prescription effectuée et son caractère précoce et dérogatoire.
- ✓ Pris en charge automatiquement à 100% par l'Assurance maladie dès l'octroi de l'autorisation.
- ✓ Transmission de l'indication thérapeutique (RSF-H) des médicaments via son code indication.

Tableau référentiel disponible sur le site du Ministère comprenant la liste des indications, codes indication et codes UCD (unités communes de dispensation) des spécialités

https://solidarites-sante.gouv.fr/IMG/xlsx/tableau_codage_par_indication_post-atu.xlsx



EN PRATIQUE POUR LES PROFESSIONNELS DE SANTE

ACCES PRECOCE, ACCES COMPASSIONNEL TRES PRECOCE OU DANS LE CADRE DE PRESCRIPTION COMPASSIONNELLE

Collecte des données « en vie réelle » auprès de leurs patients afin d'obtenir des données d'efficacité, d'intérêt dans l'arsenal thérapeutique et de sécurité qui renforceront l'évaluation régulière du médicament.

Une convention entre l'Entreprise et l'Etablissement prévoit les modalités de dédommagement

Type de forfait	Montant (€ HT)
Forfait annuel par patient – Suivi modéré (≤ 2 visites de suivi / an)	200
Forfait annuel par patient – Suivi soutenu (≥ 3 visites de suivi / an)	500

La facturation sera effectuée sur une base H.T. sur laquelle s'ajoutera la T.V.A.

Barème de modulation du dédommagement en fonction de l'exhaustivité des données saisies

Taux de données manquantes	Taux du dédommagement versé
< 5 %	125%
5 -10 %	100%
11 - 20%	90%
21 - 30%	80%
31 - 50%	60%
51% et plus	40%

Conformément au décret n° 2022-164 du 11 février 2022, les conventions signées avant la publication au Journal Officiel du modèle doivent être mises en conformité avec celui-ci soit lors de leur reconduction, soit au plus tard le 31 décembre 2022.

1. Présentation des dispositifs d'accès dérogatoire
2. Application en pratique pour les professionnels de santé
- 3. Bilan à 10 mois de la réforme de 2021**

BILAN DE LA REFORME DE L'AP

Un bilan positif 10 mois après l'entrée en vigueur de la réforme sur l'accès précoce, publié par la HAS et l'ANSM (<https://ansm.sante.fr/actualites/autorisation-dacces-precoce-aux-medicaments-un-premier-bilan-positif-et-des-principes-devaluation-affines>)

- 100 demandes déposées par les laboratoires pharmaceutiques auprès de la HAS, 50 décisions rendues



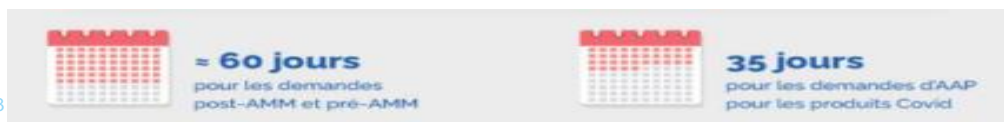
- Exemples de médicaments autorisés pour les patients en impasse thérapeutique ;

TRODELVY (sacituzumab govitecan) : Traitement en monothérapie des patients adultes, ayant un cancer du sein triple négatif non résecable ou métastatique, ayant reçu préalablement 2 lignes de traitement systémiques ou plus, dont au moins l'une d'entre elles au stade avancé

KEYTRUDA (pembrolizumab) : en association à une chimiothérapie comme traitement néoadjuvant, puis poursuivi après la chirurgie en monothérapie comme traitement adjuvant, dans le traitement des patients adultes atteints d'un cancer du sein triple négatif localement avancé, inflammatoire ou de stade précoce à haut risque de récurrence.

RONAPREVE (casirivimab et imdevimab) : en prophylaxie pré-exposition ou post-exposition au SARS-CoV-2, chez des patients immunodéprimés qui ne sont pas protégés malgré une vaccination complète.

- Délais d'instruction des dossiers courts (fixés réglementairement à 90 jours)



REGLEMENTATION ET LIENS UTILES

Site DGOS : <https://solidarites-sante.gouv.fr/soins-et-maladies/medicaments/professionnels-de-sante/autorisation-de-mise-sur-le-marche/article/autorisations-temporaires-d-utilisation-atu>

Site ANSM : <https://ansm.sante.fr/vos-demarches/professionnel-de-sante/demande-dautorisation-dacces-compassionnel>

Site HAS : https://www.has-sante.fr/jcms/r_1500918/fr/acces-precoce-a-un-medicament

Réglementation relative à l'accès compassionnel

- Article [L.5121-12-1 \(II\) : autorisation d'accès compassionnel \(AAC\)](#)
- Articles [R.5121-74 à R.5121-74-10 : Demande, Instruction, autorisation, refus, publicité et suivi des AAC](#)
- Article [R. 5121-145 : Etiquetage](#)
- Article [L.5121-12-1 \(III\) : cadre de prescription compassionnelle \(CPC\)](#)

Réglementation relative aux autorisations d'accès précoce

- Article [L.5121-12](#)
- Article [R.5121-68 à R.5121-73 : Demandes, Instruction, Autorisation, Refus, Publicité et Suivi des AAP](#)
- Article [R. 5121-144 : Etiquetage](#)

Les tableaux référentiels :

https://solidarites-sante.gouv.fr/IMG/xlsx/tableau_codage_par_indication_post-atu.xlsx

<https://solidarites-sante.gouv.fr/soins-et-maladies/medicaments/professionnels-de-sante/autorisation-de-mise-sur-le-marche/article/autorisation-d-acces-precoce-autorisation-d-acces-compassionnel-et-cadre-de>

Merci

ramsaysante.com



Ramsay
Santé