



RECEUIL DES DONNÉES PATIENTS PRÉVU PAR LA REFORME D'ACCES DEROGATOIRE

La réforme prévoit un recueil de données patients avec 3 variables maximum afin de juger de l'efficacité : la date du décès et la cause, le critère de jugement principal et les questionnaires de qualité de vie (2).

Il existe quatre fiches de collecte de ces données (Figure 3) :

- Une fiche de demande de traitement
- Une fiche de 1^{er} suivi
- Une fiche de suivi
- Une fiche de fin de suivi à l'arrêt du traitement

| | Caractéristiques patients | Conditions d'utilisation | Efficacité / tolérance | QQV |
|---|---------------------------|--------------------------|------------------------|-----|
| Demande de traitement | X | X | | |
| 1^{er} suivi (1 ^{ère} administration) | X | X | X | X |
| Suivi ultérieur (chaque administration ou suivi) | | X | X | X |
| Fin de suivi (arrêt du traitement ou changement de ligne) | | X | X | X |

Figure 3 : fiches de collecte de données patient dans le cadre d'une demande d'accès dérogatoire

PLACE DES ASSOCIATIONS D'USAGERS PREVUE PAR LA REFORME DEROGATOIRE D'ACCES A L'INNOVATION

Les associations d'usagers du système de santé sont informées de la mise à disposition des médicaments en accès précoce sur le site de l'ANSM, de la HAS et des réseaux sociaux ANSM/HAS.

L'HAS et l'ANSM peuvent inviter toute association de patients et d'usagers du système de santé ou toute autre partie prenante à être entendue au cours de l'instruction ou à adresser ses contributions écrites ; et lui transmettre le Projet de PUT-RD (protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données) proposé par l'industriel.

Une fois le dossier déposé par l'industriel pour une demande d'accès précoce, la recevabilité est étudiée dans les 10 jours puis l'information de cette demande en cours d'évaluation est mise à disposition sur le site de l'HAS. La contribution des associations peut être alors envoyée sous forme d'un questionnaire écrit dans les 42 jours maximum (2)(3).

Ce questionnaire écrit cible les informations suivantes :

- Impact de la maladie sur la personne ou ses proches.
- expérience avec les traitements disponibles (avantages, inconvénients, impact sur le parcours de soins).
- Les améliorations et les inconvénients du traitement concernés, recueil des expériences, attentes et craintes du médicament concerné.
- Points d'attention pour un recueil de données effectifs par les patients eux-mêmes.

Les associations d'usagers peuvent apporter leur contribution à l'évaluation d'un dossier d'accès précoce par les moyens suivants (figure 4) :



- Questionnaire pour toutes les demandes AAP
- Service engagement des usagers de la HAS
- Audition 10mn devant les membres de la commission de transparence possible dans les deux cas de figures suivants :
 - Systématiquement proposée si :
 - 1ère demande de pré AMM avec essai clinique ou accès compassionnel antérieur,
 - retrait d'autorisation précoce à la demande de la HAS.
 - Sur demande de la commission de transparence si enjeu spécifique.

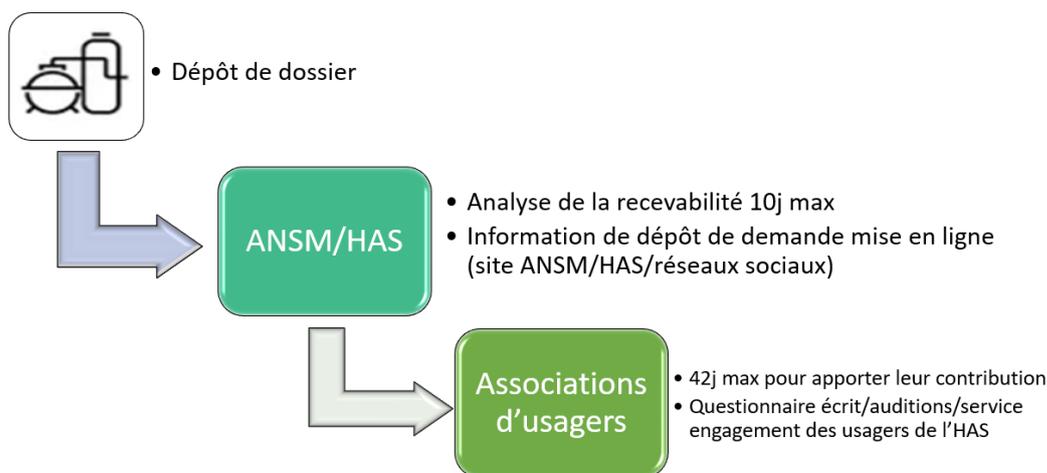


Figure 4 : Contribution des associations d'usagers du système de santé

MODALITES PRATIQUES D'ACCES A L'INNOVATION THERAPEUTIQUE

La fiche de demande d'accès au traitement remplie par le prescripteur est transmise par le pharmacien de la structure à l'industriel. Celui-ci vérifie les critères d'accès (en cas de refus la raison doit être communiquée).

Le pharmacien de la structure effectue une commande du médicament auprès de l'industriel.

Ce dernier envoie les traitements à l'établissement de santé.

Le pharmacien de la structure en assure la dispensation.

Le prescripteur assure le recueil de données patientes via les fiches dédiées.

L'industriel produit régulièrement des rapports de synthèse et leurs résumés qui seront transmis aux instances sanitaires (HAS, ANSM, le ministère de la solidarité et de la santé, les centres régionaux de pharmacovigilance).

Les résumés sont rendus publics (figure 5) (2).



REFERENCES

1. Article 78 - LOI n° 2020-1576 du 14 décembre 2020 de financement de la sécurité sociale pour 2021 (1) - Légifrance [Internet]. [cité 23 oct 2022]. Disponible sur: https://www.legifrance.gouv.fr/jorf/article_jo/JORFARTI000042665373
2. HAS, ANSM. Accès précoce et compassionnel aux médicaments : quels changements pour les industriels ? [Internet]. 2022. Disponible sur: chrome-extension://efaidnbmnnnibpcajpcgclefindmkaj/https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2021-07/acces_precoces_-_support_webinaire.pdf
3. HAS. Accès précoce aux médicaments Guide pour les associations et groupes de patients et d'usagers en vue de leur contribution aux évaluations Validé par le bureau de la transparence commission de la le 1er février 2022 [Internet]. 2022. Disponible sur: chrome-extension://efaidnbmnnnibpcajpcgclefindmkaj/https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2022-04/guide_associations_aap_vf_mel_20220413.pdf
4. HAS, ANSM. Règlement Essais Cliniques dédié aux promoteurs [Internet]. 2022. Disponible sur: <https://ansm.sante.fr/uploads/2022/04/08/20220408-webinaire-rec-06-04-2022.pdf>