

# RARE DISEASE NEWS

Actualités dans les maladies rares

## MISE EN PLACE D'UN NOUVEAU DISPOSITIF POUR L'ACCES AUX MEDICAMENTS INNOVANTS : REFORME DE L'ACCES PRECOCE

La réforme de l'accès précoce aux médicaments innovants est entrée officiellement en vigueur le 1<sup>er</sup> juillet 2021. Ce dispositif permet à des patients en impasse thérapeutique de bénéficier, à titre exceptionnel, de certains médicaments non autorisés dans une indication thérapeutique précise. La HAS a produit une note sur son site afin de préciser les conditions pratiques d'application du dispositif.

L'accès précoce aux médicaments était jusque là géré par six différents systèmes (ATU de cohorte, ATU nominatives, RTU...) qui ont été remplacés par deux grands dispositifs, plus lisibles : l'accès compassionnel et l'accès précoce. Cette réforme permet de simplifier et d'harmoniser les procédures afin de garantir un meilleur accès et une prise en charge immédiate des patients. L'accès précoce s'applique aux médicaments innovants destinés à être commercialisés pour traiter une maladie grave, rare ou invalidante et pour laquelle il n'existe pas de traitement approprié disponible. L'accès compassionnel est quant à lui réservé aux médicaments qui répondent à un besoin thérapeutique non couvert, mais qui ne sont pas nécessairement innovants et qui ne sont pas destinés à être commercialisés dans l'indication concernée.

Les demandes d'autorisation d'accès précoce sont sous la responsabilité du laboratoire, qui est en charge de préparer et de soumettre le dossier auprès de la HAS pour son évaluation. L'ANSM est également consultée pour avis si le médicament ne bénéficie pas encore d'une AMM. La procédure d'évaluation se fait sous une période de 3 mois maximum, au terme de laquelle une autorisation d'accès précoce peut être délivrée pour une durée d'un an renouvelable.

Le médecin prescripteur joue un rôle essentiel dans le dispositif. En premier lieu, il/elle a la charge d'informer les patients des bénéfices attendus et des risques encourus par l'utilisation du médicament. Par ailleurs, l'autorisation d'accès précoce est soumise à une obligation de recueil de données portant sur les caractéristiques des patients traités, l'efficacité du traitement (dont données de qualité de vie) et la sécurité (recueil et déclaration des effets indésirables). Le prescripteur assure le recueil de ces différentes informations sur l'utilisation du médicament et les transmet au laboratoire. Ces données seront régulièrement transmises à l'HAS pour réévaluation en continu du maintien de l'autorisation d'accès précoce du médicament.

La réforme de l'accès précoce récemment mise en place a pour vocation de répondre aux besoins thérapeutiques non couverts, en offrant un cadre réglementaire plus simple et plus lisible aux laboratoires et aux prescripteurs. L'enjeu est de taille, car il s'agit de faire bénéficier aux patients atteints de maladies rares un accès le plus rapide possible aux médicaments innovants, avant même leur mise sur le marché.

### Référence

Haute Autorité de Santé – Accès précoce à un médicament. [https://www.has-sante.fr/jcms/r\\_1500918/fr/acces-precoce-a-un-medicament](https://www.has-sante.fr/jcms/r_1500918/fr/acces-precoce-a-un-medicament)