

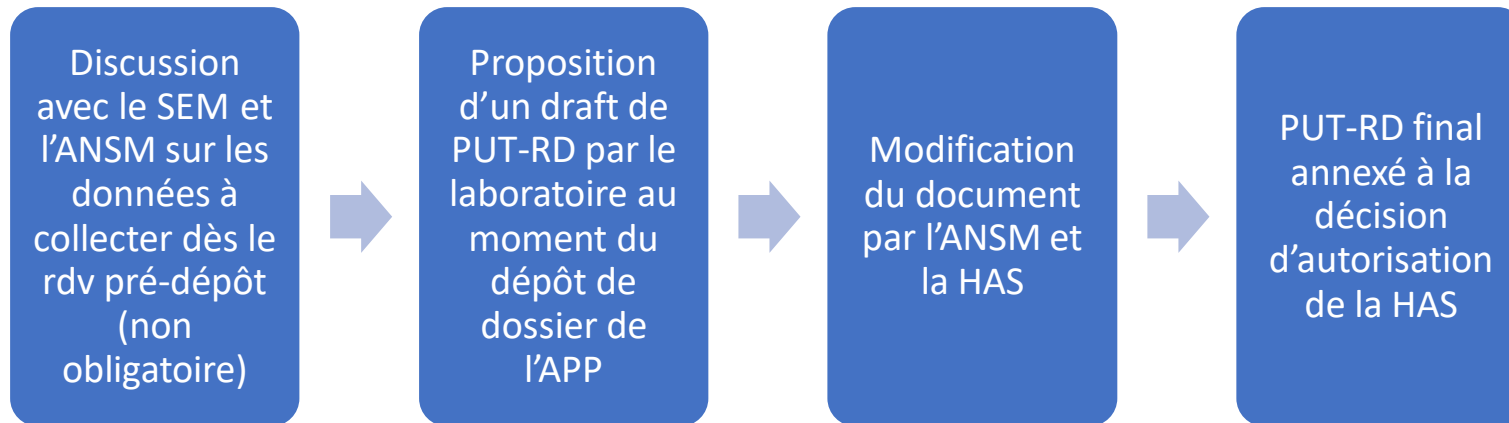


PUT-RD

Cadre réglementaire et définitions

Généralités

- « L'autorisation d'accès précoce est subordonnée au respect, par l'entreprise qui assure l'exploitation du médicament, d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données, défini par la Haute Autorité de santé et annexé à la décision d'autorisation. »
- Le PUT-RD existait déjà dans le cadre des ATU → modifications avec la loi LFSS 2021 qui prévoit des modèles de PUT-RD
- Chronologie du PUT-RD :



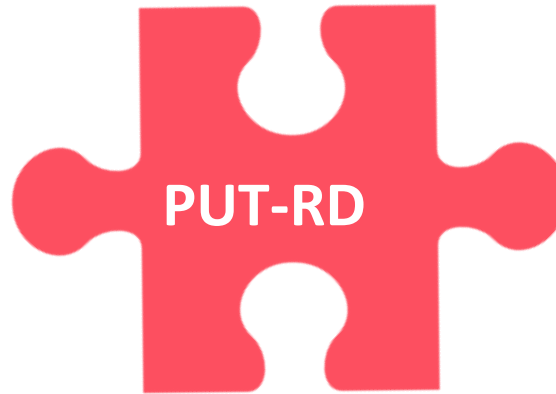
Doctrines HAS

- « *Pour un nouveau médicament ou une nouvelle indication, les accès précoces représentent la première opportunité de collecte de données observationnelles/en vie réelle en France pour documenter son utilisation et alimenter les futures étapes d'évaluation par la commission de la transparence en vue de l'inscription sur les listes des médicaments remboursables. »*
- « **HAS portera une attention particulière aux points suivants :**
 - *La qualité et l'exhaustivité des données [...]*
 - *L'implication du patient dans le dispositif [...]*
 - *La simplification de la collecte sur le terrain par les cliniciens, les pharmaciens et le patient [...]*
 - *La possible réutilisation des données à des fins de recherche, notamment dans le cadre d'études post-inscription et après obtention des autorisations réglementaires nécessaires [...]*

Le PUT-RD c'est quoi ?

**Précise les conditions
d'utilisations pour prescripteurs
et pharmaciens**

**Mention des
variables d'intérêt**

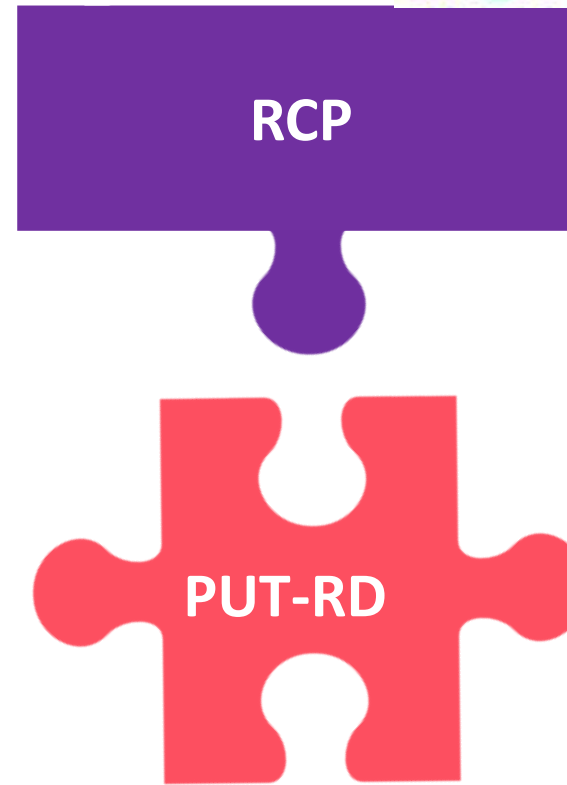


**Permet la collecte
de données et
la surveillance des patients**

**Contient les informations
à destination des patients**

Le PUT-RD c'est quoi ?

ansm



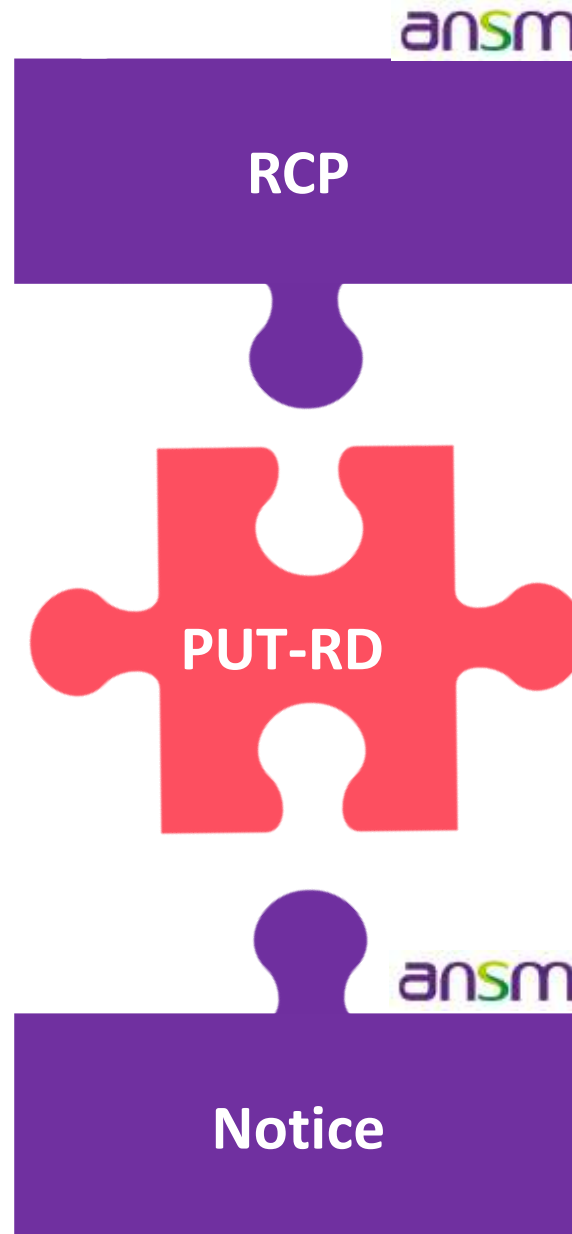
**Mention des
variables d'intérêt**

**Permet la collecte
de données**

**Contient les informations
à destination des patients**

Le PUT-RD c'est quoi ?

**Mention des
variables d'intérêt**



**Permet la collecte
de données**

Le PUT-RD c'est quoi ?

ansm

RCP

HAS

Doctrine HAS

PUT-RD

HAS

Guide AP

ansm

Notice

Principes et recommandations

- **Modèle unique**

- **Faciliter et simplifier** le dépôt de demande d'AAP par les industriels
- Standardisation des PUT-RD → **familiariser les utilisateurs** aux accès précoces
- **Adaptations possibles** au médicament et au type d'AAP

- **Informations aux usagers**

- Information et **engagements prescripteurs**
- Documents **d'information patients** (sur l'AAP et sur le traitement des données)

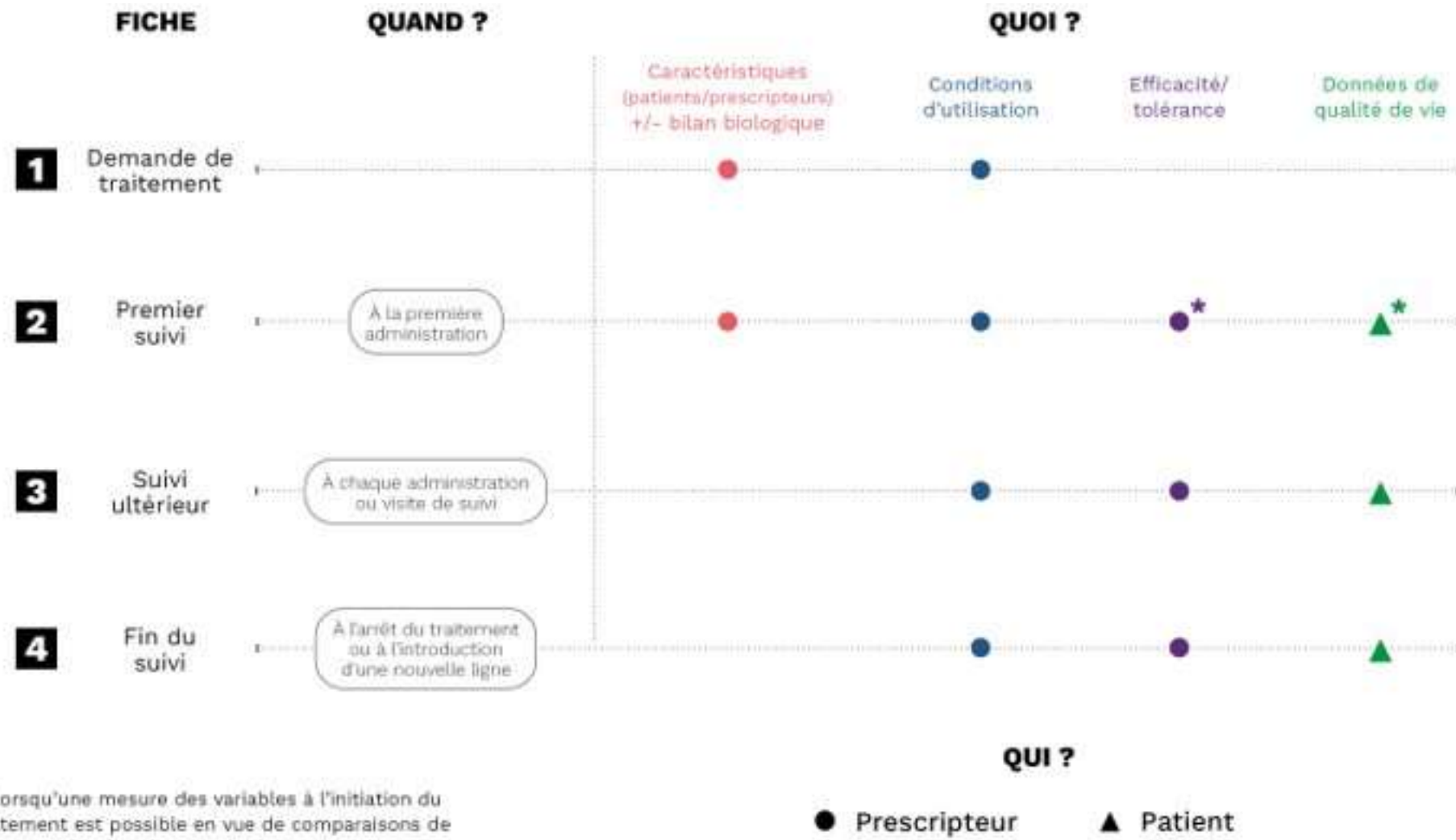
- **Collecte de données**

- En **conformité avec la doctrine HAS** et le guide à destination des industriels
- Modèle accompagné de **recommandations pour faciliter la collecte sur le terrain** (limitation des variables, plateforme numérique, convention entre l'établissement de santé et l'industriel, limitation des champs libres...)



Variables à collecter

Collecte des données : timing



* Lorsqu'une mesure des variables à l'initiation du traitement est possible en vue de comparaisons de type avant/après mise sous traitement

Les données d'efficacité

3 Variables maximum à collecter pour documenter l'efficacité

Mortalité

Si décès : date et cause

Critère de jugement principal

Celui de l'étude pivot ou critère de jugement secondaire si plus pertinent
Adaptation à la pratique courante possible

Un PROM de qualité de vie

Réutilisation des PROMs des essais cliniques recommandée

PROMs – recommandations

1. **Intégrer un auto-questionnaire** permettant d'analyser la QdV et/ou toutes autres mesures pertinentes pour les patients. La validité et l'interprétation de ce questionnaire dans la maladie investiguée devra être justifiée par une revue de la littérature
2. **Prévoir une question de type « Patient Global Impression of Change »** et/ou d'un questionnaire de QdV générique en l'absence d'auto-questionnaire spécifique validée dans la maladie
3. **L'absence de PROMs devra être systématiquement justifiée dans le dossier type**

Focus sur les accès précoce post-AMM

- **Obtention d'une AMM en cours d'AAP**

- Continuité du recueil des données
- La collecte de données pourra être revue en fonction de la décision de la CT → Articulation avec les EPI demandées

- **AAP post AMM d'emblée**

- Modèle très allégé basé sur le RCP annexé à l'AMM
- Collecte restreinte aux conditions d'utilisation et caractéristiques patients/prescripteurs
- Pas de collecte systématique des données d'efficacité

Bilan PUT-RD à la mi-mars

- **25 PUT-RD en cours**
- 15 avec un recueil de données d'efficacité
- **dont deux avec PROM (EORTC QLQ C30)**

Retrouvez
tous nos travaux sur

www.has-sante.fr

