



*Les Ateliers de Giens,  
comme si vous y étiez*

**TABLE RONDE N° 5 : ACCES PRECOCE AUX  
PRODUITS DE SANTE EN FRANCE**

*Nicolas Albin, Frédéric Chassagnol, Jean-François Bergmann, Claire Le Jeune,  
**Lotfi Boudali**, Olivier Blin, Thibault de Chalus, Estelle Fruchet, Mathilde Grande,  
Françoise Grudé, Natalie Hoog-Labouret, Céline Kauv, Frédéric Lavie, Fabrice  
Meillier, Patrick Meshaka, Brigitte Pouletty-Lefebvre, Anne-Céline Richard*

*Journée Nationale de Restitution  
des Rencontres de Pharmacologie et de Recherche Clinique  
Pour l'Innovation et les Technologies de Santé  
20 mars 2019, Institut Pasteur, Paris*

# INTRODUCTION

- Par définition on ne parle que de **produits** « **innovants** » (gain clinique, ASMR >5, mécanisme d'action, besoin non couvert, gravité)
- **Les enjeux**
  - Délais
  - Précocité avec équité
  - Garantie d'un continuum
- **Réversibilité**

# ACCES PRECOCE A UNE MOLECULE EN EXPERIMENTATION

<b>QUESTION</b>	<b>PROBLEMATIQUE</b>	<b>SOLUTIONS PROPOSITIONS</b>
<p><b>J'ai une maladie XYZ en rechute, je sais qu'un nouveau traitement est en expérimentation, comment entrer dans un essai?</b></p>	<ul style="list-style-type: none"><li>• <b>Attractivité de la France (en baisse)</b></li><li>• <b>Lenteur :</b><ul style="list-style-type: none"><li>○ ANSM</li><li>○ CPP</li></ul></li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>• <b>Règlement européen sur les essais cliniques (2020)</b></li><li>• <b>Fast Track ANSM</b></li><li>• <b>Fast track CPP</b></li><li>• <b>Echanges ANSM – CPP</b></li><li>• <b>Engagement de la firmes à débiter vite</b></li><li>• <b>Raccourcissement des délais (&lt; 45j)</b></li></ul>

# ACCES PRECOCE A UNE MOLECULE EN EXPERIMENTATION

<b>QUESTION</b>	<b>PROBLEMATIQUE</b>	<b>SOLUTIONS PROPOSITIONS</b>
<b>Je veux aller dans un centre investigateur</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• <b>Place de la France dans les essais précoces</b></li><li>• <b>Image de la France auprès des industriels</b></li><li>• <b>Valorisation de la recherche académique</b></li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>• <b>Exemple des CLIP (INCa)</b></li><li>• <b>« Ecosystème favorable »</b></li><li>• <b>Plateforme labo/biobanque</b></li><li>• <b>Centre Ref-CHU-CHG</b></li><li>• <b>Accès aux données</b></li><li>• <b>Ouverture de l'ANSM aux usagers</b></li></ul>

# ACCES PRECOCE A UNE MOLECULE EN EXPERIMENTATION

QUESTION	PROBLEMATIQUE	SOLUTIONS PROPOSITIONS
Mais je veux que l'essai soit « bon »	<ul style="list-style-type: none"><li>• Incertitude sur le cahier des charges</li><li>• Evolutions méthodologiques<ul style="list-style-type: none"><li>○ Population</li><li>○ Comparateur</li><li>○ Design</li><li>○ Evaluation</li><li>○ Analyse</li></ul></li><li>• Programme AcSé (INCa) : phase précoce exploratoire</li><li>• Méthodo des essais à petit effectif</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Consortiums académiques / institutionnels/industriels</li><li>• Impact sur le remboursement</li><li>• Scientific advices</li><li>• Early dialogs</li><li>• Possibilité d'accès anticipé (AcSé)</li></ul>

# ACCES PRECOCE A UNE ATU

<b>QUESTION</b>	<b>PROBLEMATIQUE</b>	<b>SOLUTIONS PROPOSITIONS</b>
<p><b>Je veux pouvoir bénéficier du traitement même avant l'AMM</b></p>	<ul style="list-style-type: none"><li>• <b>Uniquement pour la première indication</b></li><li>• <b>ATU nominative ou ATU de cohorte</b></li><li>• <b>Limites :</b><ul style="list-style-type: none"><li>• <b>Maladies graves / rares</b></li><li>• <b>Pas de traitement dispo</b></li><li>• <b>B/R présumé favorable</b></li></ul></li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>• <b>ATUn : guichet unique (Nov 2018), référentiel ANSM</b></li><li>• <b>Elargissement des ATU aux extensions d'indications (CSIS 2018)</b></li><li>• <b>Modalités simplifiées</b></li><li>• <b>ATU en 90j maxi (fast track)</b></li><li>• <b>Lettre d'intention des ATUex</b></li><li>• <b>Temporaire, ré évaluable</b></li><li>• <b>Réversible</b></li><li>• <b>Assurer la continuité du traitement (Early Access Prog.)</b></li></ul>

# ACCES PRECOCE A UNE MOLECULE NOUVELLE (essai, ATU...)

QUESTION	PROBLEMATIQUE	SOLUTIONS PROPOSITIONS
<p>Mais je veux que mes données servent à quelque chose.</p> <p>Et je veux que ça soit gratuit pour moi</p>	<ul style="list-style-type: none"><li>•Suivi des ATU? Contrôle</li><li>•Financement des ATU?</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>•Protocole et suivi obligatoires</li><li>•ATU gratuites?</li><li>•Financement spécifique</li><li>•Prix négocié CEPS?</li></ul>

# EVALUATION D'UNE MOLECULE EN ACCES PRECOCE

<b>QUESTION</b>	<b>PROBLEMATIQUE</b>	<b>SOLUTIONS PROPOSITIONS</b>
<p>Mais maintenant je veux que mon médicament soit rapidement et correctement évalué et remboursé</p>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Equité des niveaux de preuves exigés</li><li>• Délais à la HAS (136 jours si ATU avant)</li><li>• Fréquence des auditions (60% post ATU)</li><li>• Décalage CT &amp; CEESP (1 à 2 mois)</li><li>• Difficulté à trouver des experts sans conflit d'intérêt</li><li>• Usage rare des procédures accélérées (12%)</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Dégager des ressources à la HAS (par exemple au lieu des renouvellements systématiques)</li><li>• Synchronisation CT/ CEESP</li><li>• Experts - structures consultants avec liens</li><li>• Patients care leaders</li><li>• Valorisation de l'expertise (lien agences - GH - UFR, <i>CSIS 2018</i>)</li><li>• Encourager les industriels à utiliser les fast track</li><li>• Remboursement temporaire</li></ul>

# PRIX D'UNE MOLECULE EN ACCES PRECOCE

<b>QUESTION</b>	<b>PROBLEMATIQUE</b>	<b>SOLUTIONS PROPOSITIONS</b>
<p>... et qu'il ait un prix et soit disponible</p>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Négociations longues (180j)</li><li>• Négociations difficiles</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Mise à jour des notes d'intérêt économique</li><li>• 1 mois maxi pour contre proposition de prix du CEPS</li><li>• Obligation de motivation des propositions CEPS et Industrie</li><li>• Fast track des ASMR V</li><li>• Procédure conventionnelle de clôture en l'absence d'accord</li></ul> <p><i>(CSIS N°2 2018)</i></p>

# DETECTION D'UNE MOLECULE INNOVANTE EN ACCES PRECOCE

<b>QUESTION</b>	<b>PROBLEMATIQUE</b>	<b>SOLUTIONS PROPOSITIONS</b>
<p>Mais n'aurait-on pas pu anticiper tout ça et soutenir dès le début le développement de mon médicament innovant?</p>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Difficulté pour les agences à anticiper en l'absence de données</li><li>• Fausses innovations, bluff</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Création d'un observatoire des technologies et innovations</li><li>• Mise en commun d'analyse d'impact</li><li>• Base de données, veille biblio</li><li>• Capitaliser les données :<ul style="list-style-type: none"><li>○ ATU</li><li>○ Post-ATU</li><li>○ Vie réelle</li><li>○ SNIIRAM</li></ul></li><li>• Conditionner la prescription au recueil de données ( reconnaissance, valorisation)</li></ul>

# MISE A DISPOSITION D'UNE MOLECULE INNOVANTE EN ACCES PRECOCE

<b>QUESTION</b>	<b>PROBLEMATIQUE</b>	<b>SOLUTIONS PROPOSITIONS</b>
<p><b>Au moins, vous êtes sûr que mon nouveau médicament ne risque pas de disparaître pendant mon traitement?</b></p>	<ul style="list-style-type: none"><li>• <b>Si conditionnel : possibilité de réversibilité</b></li><li>• <b>Difficulté à apprécier la « perte de chance »</b></li><li>• <b>Alternatives thérapeutiques?</b></li><li>• <b>Difficultés à retirer un remboursement pour les malades en cours de traitement</b></li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>• <b>Données pré-existantes fortes</b></li><li>• <b>Remboursement temporaire avec cahier des charges</b></li><li>• <b>Nécessité à court terme de :</b><ul style="list-style-type: none"><li>○ <b>Données de RCT</b></li><li>○ <b>End-point dur</b></li><li>○ <b>Données probantes de vie réelle (VR)</b></li></ul></li><li>• <b>Gouvernance d'évaluation des données en vie réelle</b></li><li>• <b>Réévaluation sous 5 ans ou –</b></li><li>• <b>« Health Data Hub » (CSIS 2018)</b></li></ul>

# FINANCEMENT D'UNE MOLECULE INNOVANTE EN ACCES PRECOCE

<b>QUESTION</b>	<b>PROBLEMATIQUE</b>	<b>SOLUTIONS PROPOSITIONS</b>
<p><b>Mon médicament hospitalier sera-t-il vraiment disponible et financé dans mon hôpital?</b></p>	<ul style="list-style-type: none"><li>• <b>Problèmes des</b><ul style="list-style-type: none"><li>○ <b>Indications multiples</b></li><li>○ <b>Populations multiples</b></li><li>○ <b>ASMR multiples</b></li></ul></li><li>• <b>La liste en sus...</b></li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>• <b>Partir du prix de la première indication avec remise en fonction des négociations conventionnelles</b></li><li>• <b>Liste en sus ouverte aux ASMR IV</b></li><li>• <b>Mécanisme de prix adapté au remboursements temporaires</b></li><li>• <b>Refonte du financement...</b></li></ul>

# CONCLUSIONS

*Accélérer, Collecter, Réévaluer,  
Informer, Coordonner, Financer*

## Les clefs pour le succès:

- **Accepter la prise de risques**
  - **Exiger la qualité**
- **Accepter la réversibilité**
- **Allouer des ressources**

Merci de votre attention  
Merci à tous les participants

