

Territoires d'Accès Précoce

*Des propositions de solutions pour
continuer à optimiser l'accès à l'innovation*



Document à l'usage exclusif des collaborateurs MSD France dans le cadre de leurs interactions avec les professionnels de santé. Propriété exclusive de MSD France, reproduction totale ou partielle interdite.



« Assouplir et simplifier ». C’est par ces termes que la loi de financement de la Sécurité Sociale, qui a permis la réforme de l’accès précoce, qualifiait les enjeux de transformation d’un dispositif devenu trop peu incitatif pour tous les acteurs du système de santé. Mais au-delà de cet objectif législatif, l’objectif politique concret de cette réforme était de permettre à la France de retrouver sa position pionnière qui avait permis, à partir de 1994 avec les premières autorisations temporaires d’utilisation (ATU), d’offrir aux patients l’accès à des thérapies innovantes avant qu’elles ne soient mises sur le marché.

Ce sont bien ces enjeux essentiels qui sont au cœur du dispositif d’accès compassionnel et d’accès précoce : pouvoir offrir à des patients qui n’en ont pas des possibilités de traitement en dérogeant à un cadre de droit commun ; pouvoir offrir la possibilité aux professionnels de santé de prescrire des thérapies innovantes lorsqu’ils en voient le bénéfice pour leurs patients.

En ce sens, la réforme de juillet 2021, ayant officialisé la création d’un nouveau dispositif, plus souple, plus simple, est une réussite. Sans en remettre en cause le fondement, elle a permis de faire évoluer le dispositif pour renforcer sa place dans le modèle d’accès à l’innovation à la Française.

Bien sûr, comme toute politique publique, le dispositif d’accès précoce révèle aujourd’hui des besoins d’évolution, que ce guide de recommandations s’attache à comprendre et à essayer de résoudre en formulant des propositions à l’attention des autorités de santé. Adaptations organisationnelles, communication, optimisation des outils numériques : les chantiers concerneront tous les acteurs impliqués dans l’accès précoce.

Pour éviter que l’accès précoce ne subisse la même problématique d’empilement de mesures qui a complexifié son prédécesseur, il est nécessaire que nos pouvoirs publics conservent toujours l’esprit de ce dispositif et sa valeur pour les patients au premier plan de leurs considérations. Il en va de la force du modèle d’accès à l’innovation français ; il en va de la possibilité pour les patients de recevoir un traitement lorsqu’ils n’ont aucune autre alternative.



LES SIGNATAIRES

Ambassadeurs du projet

- Jean-Yves BLAY, Oncologue, CLB Lyon
- Barbara LORTAL, Pharmacien hospitalier, Institut Bergonié Bordeaux
- Isabelle MADELAINE, Pharmacien hospitalier, Saint Louis APHP Paris

Associations de patients

- LA LIQUE COMITÉ LE CANCEC
- COLLECTIF TRIPLETTES ROSES
- patients EN RÉSEAU
- Ligue contre le Cancer Gironde
- Collectif Triplettes Roses
- Patients en Réseau

MSD France

- Clarisse LHOSTE, Présidente

« L'accès dérogatoire est un dispositif qui permet à des patients en impasse thérapeutique de bénéficier, à titre exceptionnel et temporaire, de certains médicaments non autorisés dans une indication thérapeutique précise. »

C'est ainsi que la Haute Autorité de Santé définit l'accès précoce, dispositif qui a permis à près de 100 000 patients de sortir d'une situation d'impasse thérapeutique, depuis juillet 2021¹.

Le dispositif tel qu'on le connaît aujourd'hui a été bâti sur les bases de l'ancien système d'autorisations temporaires d'utilisation mis en place dès 1994, qui distinguait les autorisations d'utilisation « nominatives » (ATUn), à vocation compassionnelle, et des autorisations d'utilisation de « cohorte » (ATUc), pour des molécules présumées innovantes. Ce système pionnier, modèle en Europe et dans le monde pour l'accès aux traitements, avait néanmoins subi, au fil des années, un empilement de mesures additionnelles qui l'avait rendu moins incitatif. La réforme, prévue à l'article 78 de la loi de financement de la sécurité sociale pour 2021, est entrée en vigueur le 1^{er} juillet 2021 et a posé les bases d'une refonte totale du système existant en **2 nouveaux dispositifs d'accès** :

l'accès compassionnel avec :

- **L'autorisation d'accès compassionnel (AAC)**, accordé à la demande d'un prescripteur hospitalier pour des patients n'ayant aucune autre option thérapeutique, pour un médicament non autorisé et non disponible en France ;
- **Le cadre de prescription compassionnel (CPC)**, pour des molécules disposant d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) dans une autre indication ;

et l'accès précoce avec :

- **L'accès précoce pré-AMM (AP1)**, pour des molécules présumées innovantes ayant vocation à être commercialisées et ne disposant pas encore d'AMM dans l'indication d'intérêt, à la demande du laboratoire ;
- **L'accès précoce post-AMM (AP2)**, pour des molécules disposant déjà d'une AMM dans l'indication d'intérêt et ayant aussi vocation à être commercialisées, à la demande du laboratoire.

La Haute Autorité de Santé publiait en octobre 2023 un **rapport à deux ans de la réforme**, faisant état d'un **bilan positif** du nouveau dispositif, ayant permis d'accélérer les délais d'accès des médicaments aux patients, avec un délai médian d'accès de 91 jours avant l'AMM pour les AP1 et de 112 jours après l'AMM pour les AP2¹.

À noter également, la forte prédominance des accès précoces octroyés en oncologie, qui représentent près de 50 % des décisions favorables rendues par la HAS¹, mais aussi le nombre élevé d'accès précoces pérennisés dans le droit commun, témoignant de la capacité du dispositif à faire émerger l'innovation.



La démarche **Territoires d'Accès Précoce**

La réforme de l'accès précoce a permis de faire des progrès colossaux pour les patients. Plus de 2 ans après son déploiement on peut affirmer que c'est un mécanisme qui fonctionne, qui est plébiscité et qu'il faut maintenir et protéger à l'avenir. Toutefois les adaptations organisationnelles nécessaires lors de sa mise en œuvre laissent apparaître aujourd'hui des points d'optimisation du dispositif.

Fort de notre expérience avec 8 accès précoces obtenus et près de 10 000 patients ayant bénéficié d'un accès anticipé depuis sa mise en place en 2021, MSD a souhaité initier une démarche collective intitulée « Territoires d'Accès Précoce » pour mieux identifier les difficultés qui peuvent subsister dans la mise en œuvre et identifier des pistes de solutions. Dans ce cadre, trois ateliers, regroupant plus de 20 professionnels de santé de toute la France ont été réalisés et ont abouti à des propositions concrètes. Les conclusions de ces ateliers ont ensuite été discutées au cours de trois tables rondes régionales en présence de professionnels de santé, d'institutionnels et de représentants des associations de patients et ont permis d'initier des débats connexes sur la recherche ou encore les inégalités territoriales d'accès à l'innovation.

Ce document est le résultat concret d'une mobilisation collective qui doit continuer pour un accès toujours plus simple, rapide et équitable des patients à l'innovation.





Les propositions en un coup d'œil

AXE 1

Renforcer l'accès à l'information sur les accès précoces : un impératif préalable à leur mise en place pour un accès équitable sur le territoire — p.9

1. Proposer une optimisation du site de la Haute Autorité de Santé et une communication renforcée sur les accès précoces en cours

- Proposer à la HAS une révision de la section « Accès précoce » de son site visant à présenter l'information de manière plus accessible pour les professionnels de santé.
- Proposer à la HAS et l'ANSM de renforcer leur communication via les réseaux sociaux sur les accès précoces en cours.

3. Améliorer la communication entre professionnels de santé, industriels et sociétés de recherche contractuelle (CRO)

- Définir plus précisément les interlocuteurs responsables de la gestion d'un accès précoce dans le PUT-RD

2. Valoriser le rôle des dispositifs spécifiques régionaux du cancer (DSR-C) et d'acteurs professionnels dans la diffusion de l'information

- Créer une chaîne de diffusion de l'information impliquant HAS, DSR-C et professionnels de santé référents

4. Favoriser une meilleure compréhension globale du dispositif par les professionnels de santé et les patients

- Promouvoir l'information à destination des professionnels de santé
- Développer des fiches didactiques à destination des patients

Repenser la collecte de données : vers davantage de simplicité et un dispositif plus attractif — p.14

5. Assurer la disponibilité de ressources humaines dédiées à la collecte

- Développer des outils standardisés d'information sur les AP à l'attention des professionnels de santé pour les appuyer dans leurs démarches internes auprès des directions d'établissement

7. Renforcer les moyens dédiés à la collecte de données par l'intégration de nouvelles organisations et de nouvelles technologies

- Créer au sein des établissements une fonction support dédiée intégralement au traitement des données
- Automatiser la saisie de données autant que possible

6. Donner davantage de sens à la collecte de données pour les professionnels de santé

- Favoriser un retour de données aux professionnels de santé à la fin de la collecte
- Associer les professionnels de santé et les associations de patients à la conception du PUT-RD

Optimiser l'utilisation des plateformes de gestion des accès précoces — p.20

8. Garantir le bon approvisionnement des hôpitaux en favorisant un processus de commande similaire à celui des produits de droit commun

- Séparer les processus de commande des plateformes de collecte de données

10. Renforcer la communication sur l'utilisation des interfaces PLAGÉ/PASREL et rendre la comptabilité avec ce système d'identification unique opposable

- Demander une communication conjointe de la HAS et de l'ATIH sur PLAGÉ/PASREL

9. Assouplir les règles d'utilisation des plateformes de gestion des accès précoces

- Allonger la durée d'ouverture des plateformes après la fin de l'accès précoce
- Élargir la liste des professionnels de santé autorisés à accéder aux plateformes

11. Favoriser l'adoption de nouveaux outils de gestion des accès précoces

- Faciliter le pilotage global des AP au niveau des établissements via un recours plus systématique à des logiciels adaptés (suivi patients, commandes, etc)



Retour sur **les constats et solutions issus des ateliers**

Grâce au travail des experts, plusieurs axes d'optimisation ont pu émerger dans les discussions autour de **trois points principaux** :

- l'accès à l'information sur le dispositif et sur les accès dérogatoires en cours,
- la collecte de données,
- et les plateformes de gestion des accès précoces.

L'accès à l'information est aujourd'hui considéré comme insuffisant. Les sites de la Haute Autorité de Santé et de l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé et leur communication sur les accès précoces en cours ne permettent pas à tous les professionnels d'être au courant des options dont ils disposent, en particulier dans les centres moins spécialisés, générant une disparité d'accès à l'innovation sur le territoire national.

La collecte de données est axée autour d'un taux de complétion de 90%. Face à cet objectif ambitieux, des ressources financières et humaines suffisantes doivent être dédiées à la collecte de données.

Enfin, **les plateformes d'accès précoce** sont trop nombreuses et peu intuitives, créant une surcharge de travail et une perte de temps précieux pour les professionnels de santé en charge des accès précoces.

Si ces freins existent, de nombreuses bonnes pratiques locales ont été rapportées par les experts, ainsi que des pistes de solutions qui ont été théorisées lors des ateliers.

AXE 1



Renforcer l'accès à l'information sur les accès précoces : un impératif préalable à leur mise en place pour un accès équitable sur le territoire

LES CONSTATS

L'information mise à disposition par les autorités de santé n'est pas ou peu requêtable.

Aujourd'hui, l'information relative aux accès compassionnels (AAC) et précoces (AP1/AP2) est publiée respectivement sur les sites de l'ANSM et de la HAS. En pratique néanmoins, d'après les professionnels de santé interrogés, **cette information n'est pas facilement accessible sur les sites des autorités. Elle n'est parfois pas mise à jour en temps réel, ne peut pas être filtrée** par les professionnels de santé en fonction des indications ou de leur besoin d'information avant la prescription, et **ne semble pas suffisamment communiquée de manière proactive** par ces agences. L'arrivée de nombreux accès dérogatoires, en particulier en oncologie, rend le suivi de ces nouvelles options thérapeutiques complexe. La connaissance de tous les AP en cours doit donc passer par une veille conséquente, visant à identifier la publication sur le site de la HAS et de l'ANSM des autorisations d'accès précoce et compassionnel. Cela représente une charge importante dans l'emploi du temps des professionnels de santé et **ne répond pas suffisamment aux besoins concrets des professionnels de santé**, par exemple l'identification d'une nouvelle alternative thérapeutique en accès précoce à laquelle le patient serait éligible au cours d'une réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP), générant une perte de chance pour les patients dans les établissements qui n'en ont pas les moyens.

Si dans certaines régions, les dispositifs spécifiques régionaux du cancer (DSR-C, ex-réseaux régionaux de cancérologie) voire les professionnels de santé eux-mêmes s'organisent pour diffuser cette information dans la sphère professionnelle, les pouvoirs publics pourraient apporter une réponse pour prévenir les

disparités actuelles dans l'accès à l'information et en fin de compte, aux traitements.

Les pratiques des laboratoires quant à la mise à disposition des informations nécessaires pour le démarrage d'un accès précoce sont très hétérogènes.

Par ailleurs, les professionnels de santé sont amenés à compléter une demande d'accès au traitement dans le cadre du protocole d'utilisation thérapeutique et donc à interagir, pour la bonne transmission de la demande, avec le laboratoire ou avec la société de recherche contractuelle (*contract research organization*, CRO) qui peut être prestataire du laboratoire pour la gestion de l'accès précoce. Dans ce cadre, les professionnels de santé rapportent **des situations d'incertitude et d'hétérogénéité des pratiques** quant aux interlocuteurs auprès desquels transmettre leurs demandes, situations qui génèrent une perte de temps importante au regard du nombre de demandes d'accès précoce qui peuvent être effectuées et peut donc entraîner un retard dans la prise en charge des patients. Cette multiplicité des interlocuteurs peut aussi entraîner une dispersion de l'information qui peut s'avérer également préjudiciable.

LES PROPOSITIONS

L'accès à l'information est un levier essentiel pour la bonne appropriation du dispositif et pour l'accès des patients aux traitements en accès dérogatoire, de manière équitable sur tout le territoire. Il est essentiel de le garantir à tous les professionnels de santé en rendant l'information plus facilement disponible et requêtable sur le site des autorités de santé, afin de ne pas instaurer de disparités entre les établisse-

cette liste puisse inclure des filtres par organe ou par indication.

Certaines bonnes pratiques régionales pourraient servir de modèle au développement d'un tableau opérable pour les professionnels de santé. Ainsi, l'Institut Curie développe actuellement, en collaboration avec la Société Française de Pharmacie,

Pour accéder à l'intégralité du document et découvrir les propositions de solutions, contactez votre interlocuteur MSD privilégié

Bibliographie de l'extrait

1 Haute Autorité de Santé (HAS). Accès précoce des médicaments : un bilan positif après deux ans de mise en place du dispositif – Rapport. Octobre 2023. Site : https://www.has-sante.fr/jcms/p_3470178/fr/acces-precoce-des-medicaments-un-bilan-positif-apres-deux-ans-de-mise-en-place-du-dispositif [Consulté le 22/04/2024]

Document à l'usage exclusif des collaborateurs MSD France dans le cadre de leurs interactions avec les professionnels de santé. Propriété exclusive de MSD France, reproduction totale ou partielle interdite.