

**Les données de santé collectées dans
le cadre des accès dérogatoires
(Accès précoces)**

Thierry Marquet

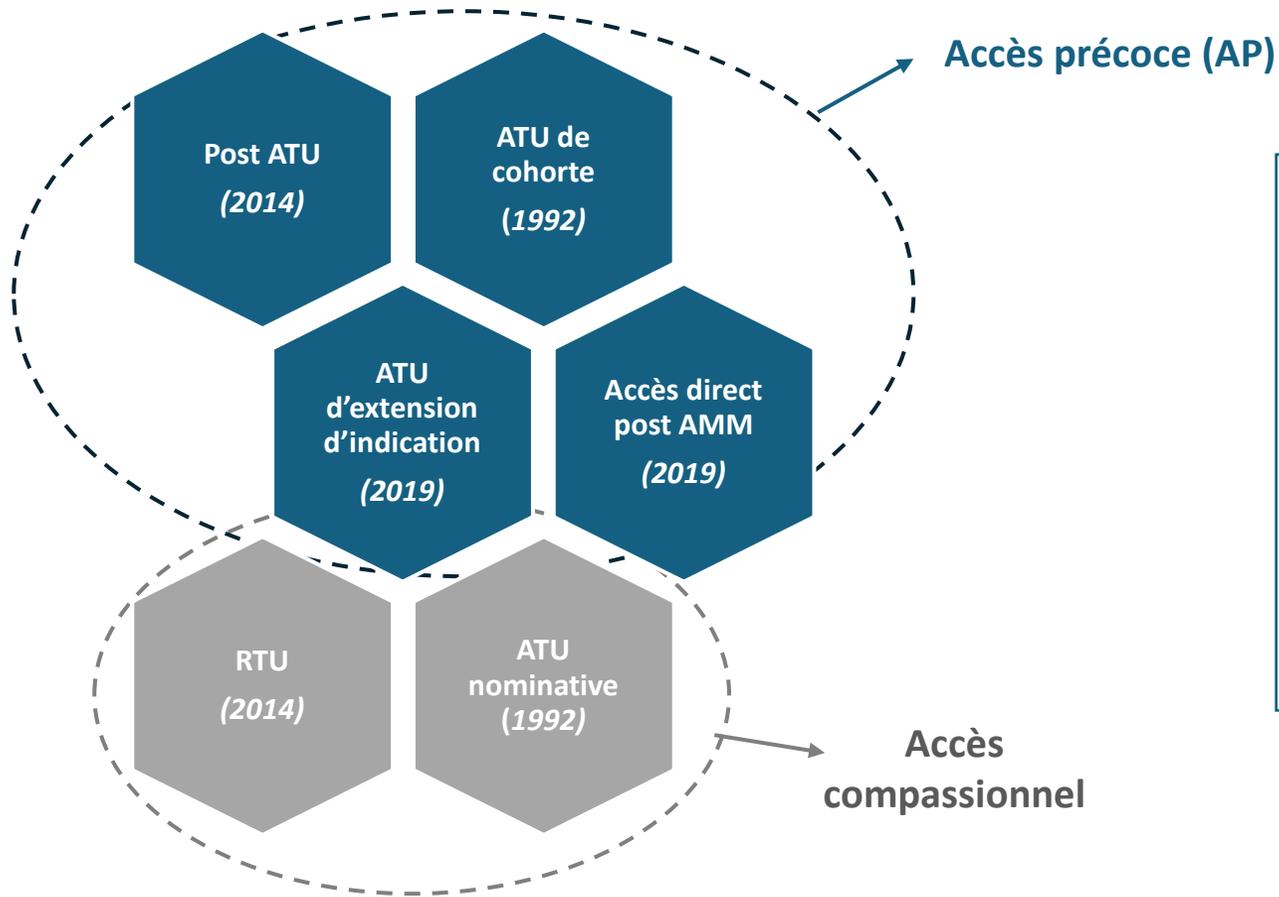
Senior Director – Accès des Patients à l'innovation

Takeda France

Président de PPTA France



L'article 78 de la LFSS pour 2021 a posé les bases d'une refonte totale et d'une simplification des systèmes historiques d'accès et de prise en charge dérogatoire des médicaments innovants

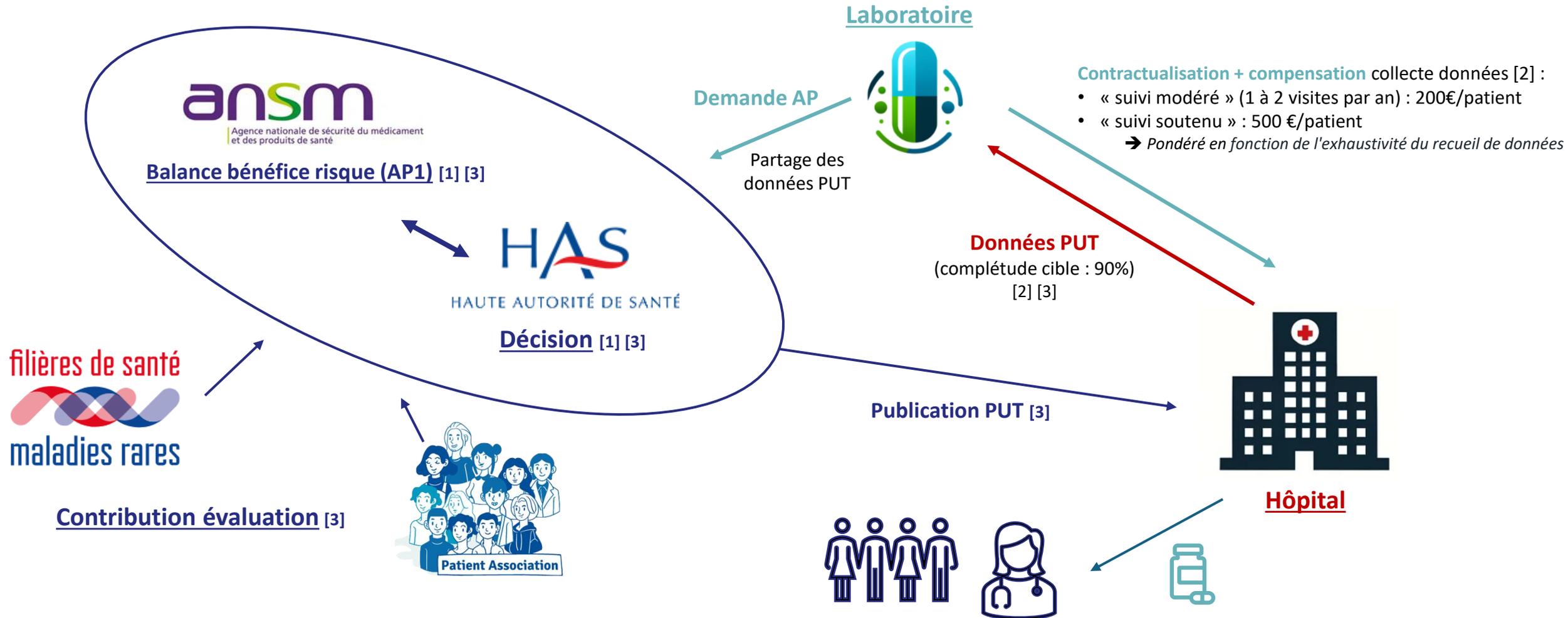


L'ambition de cette réforme était :

- Permettre un **accès rapide pour les patients** à des médicaments dans un cadre sécurisé pour une utilisation hors AMM et pris en charge par l'assurance maladie,
- Assurer de la **lisibilité pour les prescripteurs**,
- Renforcer **l'attractivité et de la prévisibilité pour les entreprises** porteuses de médicaments innovants,
- Assurer la **soutenabilité financière pour l'assurance maladie** et une transition accès précoce-droit commun facilité, avec la mise en place de remises annuelles

Passage de 6 à 2 systèmes

Une synergie indispensable entre tous les acteurs



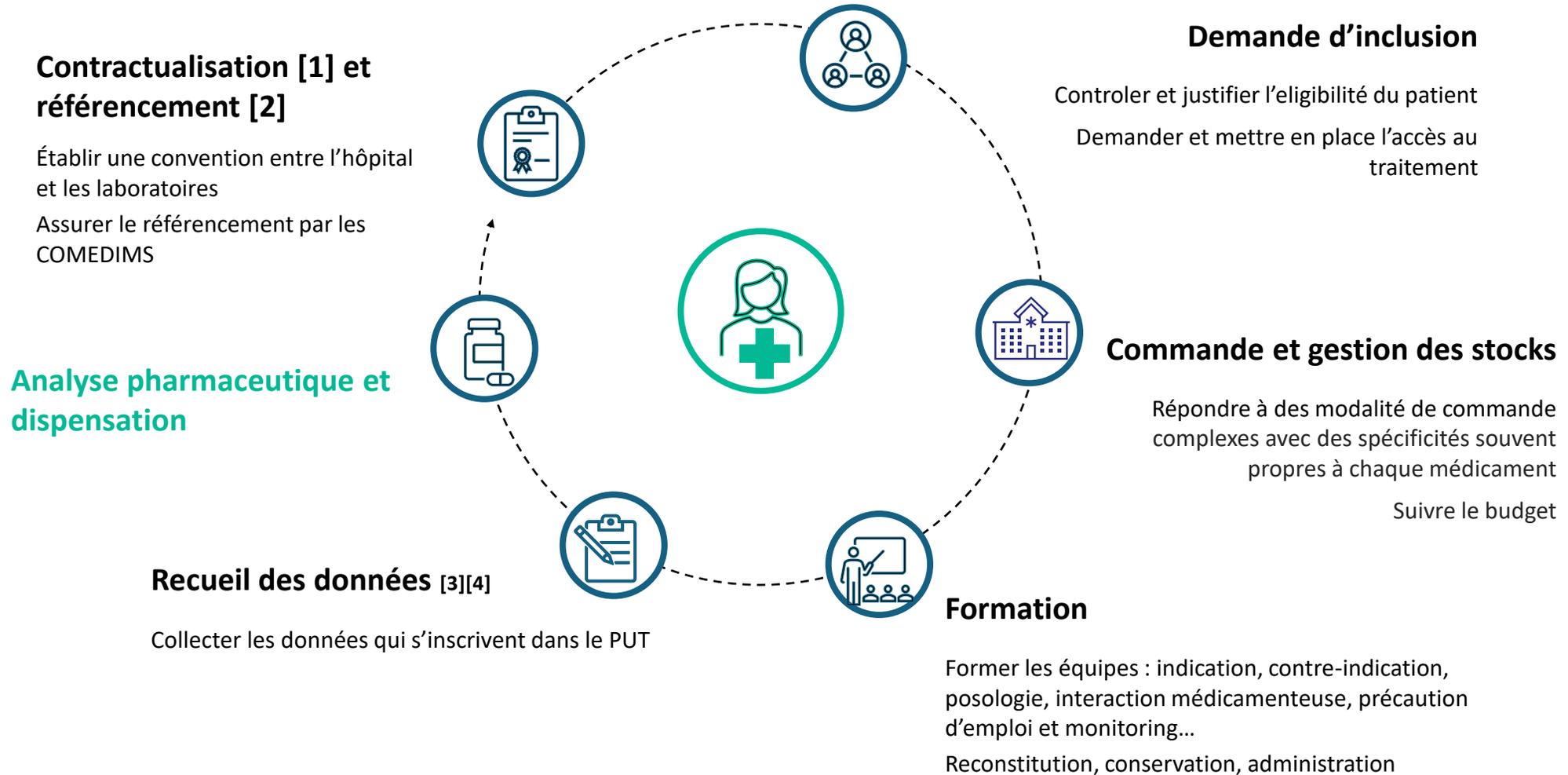
PUT : protocole d'utilisation thérapeutique

[1] LOI n° 2020-1576 du 14 décembre 2020 de financement de la sécurité sociale pour 2021

[2] Arrêté du 15 avril 2022 relatif au modèle de convention prévu aux articles R. 5121-70, R. 5121-74-5 et R. 5121-76-6 du code de la santé publique

[3] Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS – Avril 2022

Et une place centrale pour le pharmacien hospitalier



[1] - Arrêté du 15 avril 2022 relatif au modèle de convention prévu aux articles R. 5121-70, R. 5121-74-5 et R. 5121-76-6 du code de la santé publique

[2] COMEDIMS AP-HP - Accès précoce avec AMM pour avis temporaire de la COMEDIMS – Juin 2022 – [lien](#)

[3] Art. L. 5121-12 CSP

[4] Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS – Avril 2022

La collecte de données a été rendue obligatoire, mais elle reste perfectible

- **L'autorisation d'accès précoce est subordonnée au respect d'un Protocole d'Utilisation Thérapeutique et de Recueil des Données (PUT-RD), défini par la HAS et élaboré en lien avec l'ANSM [1]**
- Les données recueillies au titre de l'autorisation d'accès précoce **n'ont pas vocation à remplacer les essais cliniques** et ne modifient pas les attentes de la CT sur le plan de développement clinique [2]. Ces données sont **complémentaires** et contribuent donc à l'évaluation du médicament par la HAS pour le renouvellement de l'autorisation d'accès précoce et, à terme, pour l'évaluation en vue du remboursement [2]
- L'entreprise qui assure l'exploitation du médicament assure à sa charge le recueil des données [1].
- **La collecte est uniquement réservée aux personnels des établissements** participant à la prise en charge de la personne, dans la stricte limite des missions qui leur sont confiées [4], mais le laboratoire doit apporter « les moyens nécessaires aux équipes médicales concernées » [2].
- Ces données sont considérées comme des « **données à caractère personnel** » collectées dans le respect du secret médical [3] [4]. Elles ne sont pas des données de recherche au sens de la loi Jardé [5]
- Seuls les membres de l'équipe de soins sont autorisés à consulter les données directement identifiantes des patients. Aucun contrôle de la qualité des données par une personne ne relevant pas de l'équipe de soins n'est possible [6]

Sources :

[1] Art. L. 5121-12 CSP

[2] Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS – Avril 2022

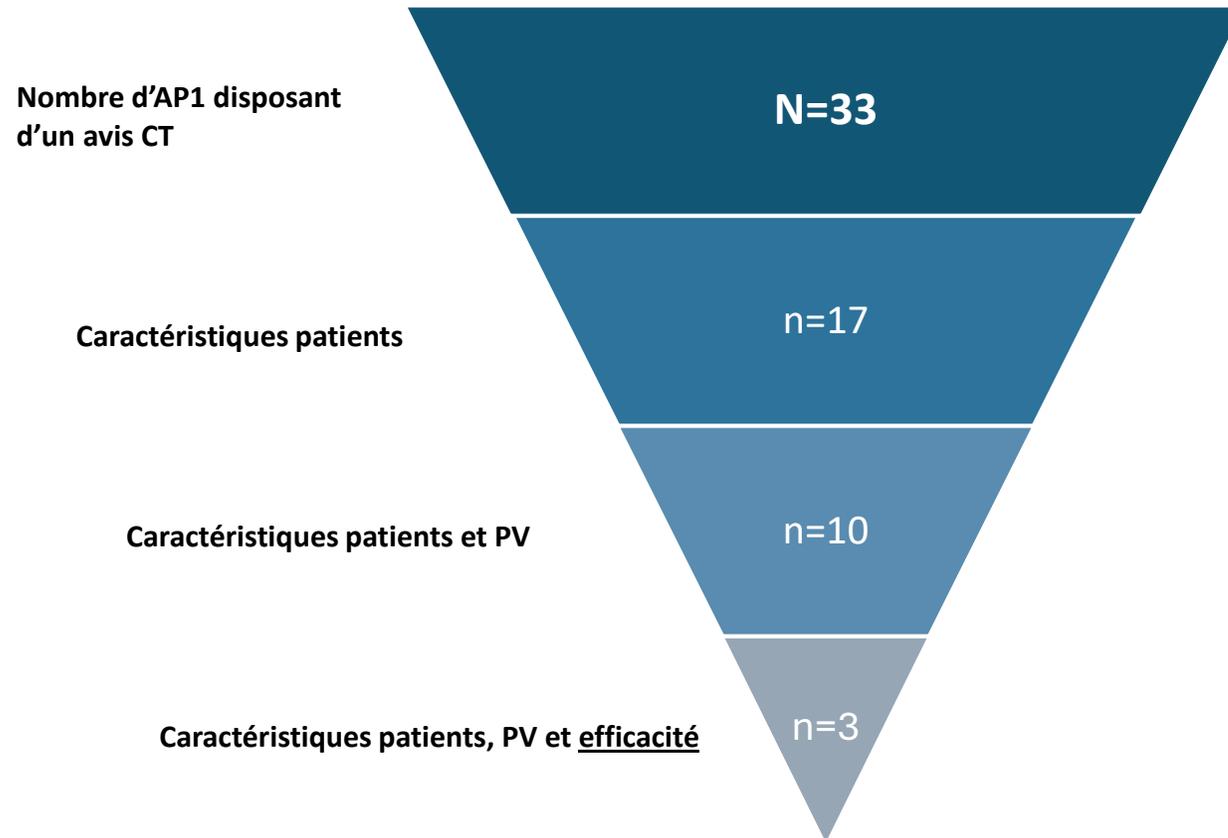
[3] articles 69 et 70 de la loi « informatique et libertés »

[4] CNIL - Référentiel relatif aux traitements de données à caractère personnel mis en œuvre par le laboratoire titulaire des droits d'exploitation d'un médicament bénéficiant d'une autorisation d'accès précoce – Avril 2022

[5] Article R.1121-1 du CSP

[6] Santé : la CNIL adopte deux référentiels concernant les accès précoces et les accès compassionnels- Novembre 2022. Site internet de la [CNIL](#) consulté le 11 juin 2024

Malgré les efforts, ces données restent peu valorisées/valorisables lors de l'évaluation de droit commun (avis de CT)



AP-1 : Accès Précoce pré-AMM
CT : Commission de la Transparence
PV : pharmacovigilance

Note : choix de retenir les AP-1 dans l'analyse afin de privilégier des durées d'AP théoriquement plus longues

Open data HAS – [lien](#) – consulté le 20 mai 2024 – Avis s'intéressant à une première indication et aux nouvelles indications – Avis publiés avant le 20 mai 2024

Pistes d'améliorations dans le recueil et l'utilisation des données collectées dans le cadre des accès précoces

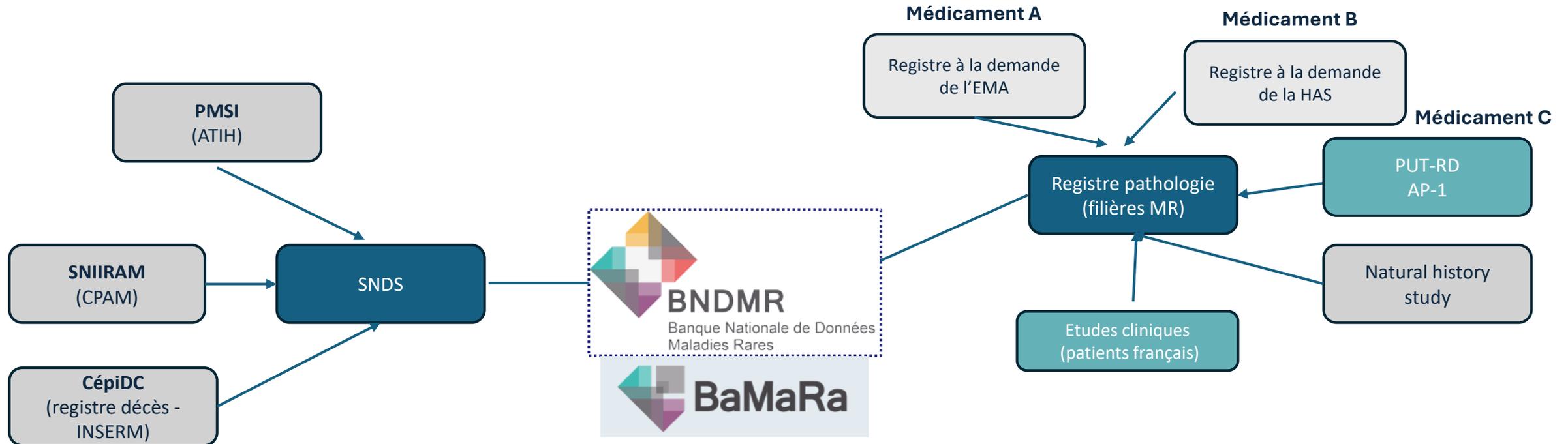
■ Améliorer le recueil et l'utilisation des données

- Permettre la participation de ARC/ Tech/CROs pour décharger les professionnels de santé (modification législative nécessaire, cadre à valider par la CNIL)
- Réfléchir à un changement de statut des données récoltées dans le cadre de l'AP : passer du statut de données personnelles au statut de données de recherche, accessibles à un plus grand nombre d'acteurs dans un cadre sécurisé

■ Optimiser l'utilisation et la valorisation de ces données

- Garder la possibilité de maintenir la collecte des données initiées dans l'AP après la commercialisation de droit commun
- Mesurer l'impact des innovations sur le parcours de soins, comparaisons indirectes, comparaisons de séquence de traitement...
- Rendre les évaluations au fil de l'eau possibles sur la base de données en vie réelle : réévaluation à la demande du laboratoire ou des autorités
- Chaînage avec les bases médico-administratives
- Favoriser le continuum de génération et réutilisation des données : hébergement/entrepôts de données, interopérabilité

Et demain? L'opportunité de passer d'une pluralité de registres et cohortes à un registre exhaustif unique centré sur la pathologie – exemple des Maladies Rares



Conclusion

- **Importance des Données de Santé collectées en accès précoce:**
 - Collecte importante tout au long du cycle de vie des médicaments.
 - Essentielles dans les maladies rares et en oncologie.
 - Données complémentaires aux essais cliniques.

- **Complexité et Optimisation :**
 - Bilan à 3 ans des accès précoces sur ces collectes à améliorer
 - Propositions pour améliorer le recueil et l'utilisation des données (registres).

- **Propositions d'Amélioration :**
 - Participation des ARC / Tech pour soulager les professionnels de santé.
 - Evolution du statut des données pour une meilleure valorisation.
 - Faire évoluer les infrastructures d'hébergement des données.

- **Perspectives Futures :**
 - Vers des registres répondant aux exigences de complétude, exhaustivité et pérennité des financements.
 - Réévaluations basées sur des données en vie réelle.
 - Continuum de génération et réutilisation des données.