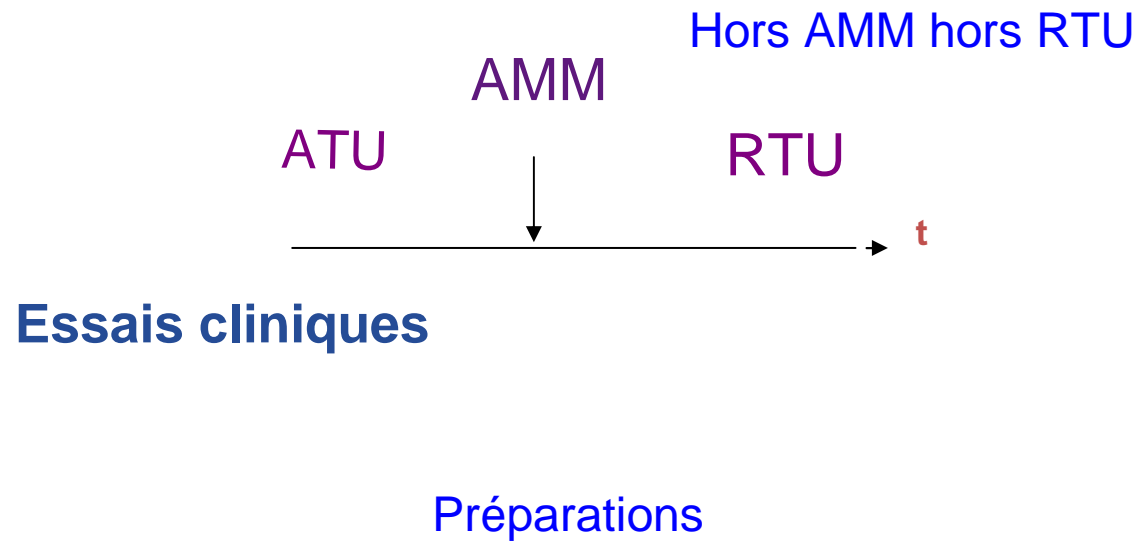



Les évolutions suite aux décisions de la loi de sécurité sanitaire

Annie LORENCE
ANSM
28 nov 13








ATU de cohorte / ATU nominative

- caractère exceptionnel
- médicaments sans AMM en France
- maladie grave ou rare,
- besoin thérapeutique (absence de traitement approprié et disponible)
-  **la mise en œuvre du traitement ne peut pas être différée**



ATUn	ATUc
<p>À la demande et sous la responsabilité d'un médecin hospitalier Pour un patient nommément désigné Non incluable dans un EC Bénéfice/risque présumé >0</p> <p> Demande d'ATUn recevable si :</p> <ul style="list-style-type: none">• demande d'AMM ou ATUC par le laboratoire ou engagement à le faire, dans un délai déterminé• ou EC en cours ou demande d'AEC en France	<p>A la demande d'un laboratoire Pour un groupe de patients Bénéfice/risque fortement présumé >0 Demande recevable si engagement AMM</p>



ATUn	ATUc
<p> Exceptions :</p> <ul style="list-style-type: none">• conséquences graves à court terme très fortement probables• arrêt commercialisation mais besoin pour certains patients dans une autre indication (ex : Nizoral® /Cushing)• si refus d'ATUc ou d'EC mais bénéfice individuel <p>ATUn pour la durée du traitement, renouvelable Information patient à justifier dans le DMP</p> <p> Protocole d'Utilisation Thérapeutique obligatoire sauf pour les situations « dérogatoires »</p>	<p>ATUC pour un an, renouvelable</p> <p>ATUC avec RCP, notice, étiquetage spécifique</p> <p>Protocole d'Utilisation Thérapeutique obligatoire</p>



Objectif : extension des ATU de cohorte, en remplacement des ATUn



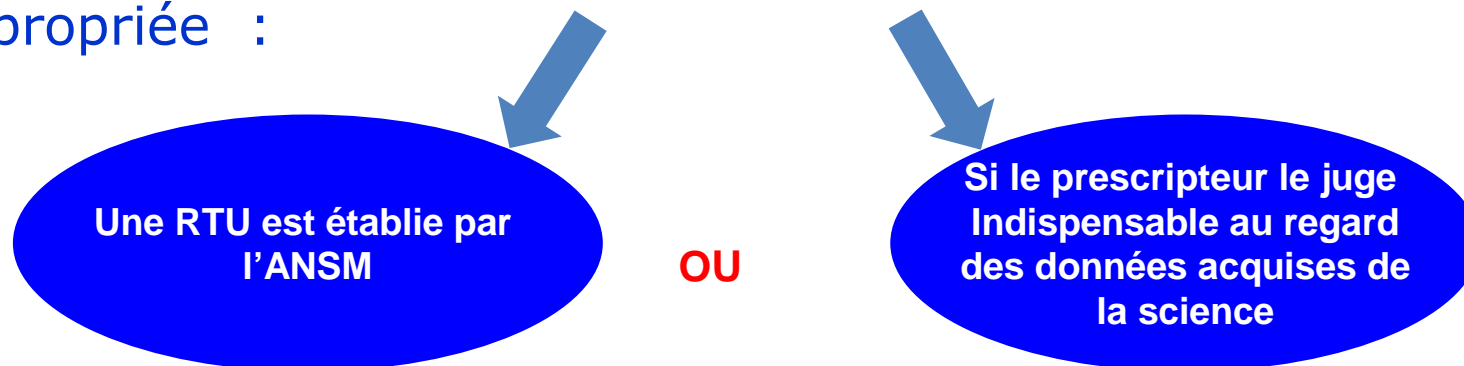
Hors AMM

PRINCIPE du nouvel encadrement du hors AMM issu de la loi du 29 décembre 2011 :

La prescription d'une spécialité pharmaceutique doit être conforme à son AMM ou son ATUc.

DEROGATION :

La prescription d'une spécialité non conforme à son AMM est possible si en l'absence d'alternative médicamenteuse appropriée :



→ Objectif : **remboursement**

➤ Décret n°2005-1023 du 24 août 2005 (modifié en 2008) relatif au contrat de bon usage des médicaments et des produits et prestations mentionné à l'article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale

✓ Protocole thérapeutique temporaire (PTT) → médicaments chers

➤ Décret n° 2012-740 du 9 mai 2012 relatif à la prise en charge dérogatoire par l'assurance maladie des spécialités pharmaceutiques bénéficiant d'une recommandation temporaire d'utilisation ou de certains produits et prestations

✓ Arrêtés de prise en charge (3 ans) → maladies rares ou ALD



➤ **Renforcement de la sécurité d'utilisation des médicaments dans l'intérêt des patients :**

- ✓ Information et suivi des patients
- ✓ Acquisition de données de sécurité et d'efficacité des produits concernés

➤ **Une équité d'accès aux traitements**



➤ Mentions de la RTU :

- ✓ **L'indication** dérogatoire;
- ✓ La **posologie et le mode d'administration** ;
- ✓ Si besoin, Contre Indications, mises en garde, précautions d'emploi, **effets indésirables** ;
- ✓ Le cas échéant, le **classement de la spécialité**.

➤ Argumentaire sur les données disponibles permettant de présumer d'un rapport B/R favorable



➤ Protocole de suivi de l'efficacité, de la sécurité et des conditions réelles d'utilisation :

- ✓ Fiches de suivi (\neq essai clinique)
- ✓ Rapports de synthèse périodiques
- ✓ Obligatoire et financé par le laboratoire

➤ Convention (en tant que de besoin)

Possible engagement du titulaire de l'AMM de déposer une demande de modification d'AMM dans un délai fixé par l'ANSM



Bilan « signalements » hors AMM Maladies rares

- Enquête DGS/DGOS de 2012 : 550 signalements de 69 C Ref
- PTT et articles 56
- Dossiers en cours : 9/21 dans les maladies rares



- Elaboration de RTU **si enjeu de santé publique et suivi particulier**
- RTU ≠ Essais cliniques à promouvoir ++
- Publication : www.anism.sante.fr



Merci

