

« Panorama Réglementaire » : Le grand test !

MARKET ACCESS

Cynthia GOBILLOT

Directeur du Département Accès au Marché

Accès au Marché, Affaires Publiques et Communication

SERVIER France



Cercle des Pharmaciens et Dirigeants
des Industries de Santé



Accès dérogatoires en France



> Autorisation d'accès précoce

> Autorisation d'accès compassionnel

> Cadre de prescription compassionnelle

Contexte

Depuis le 1er juillet 2021, la HAS a pour mission d'évaluer les médicaments dans le cadre d'une demande d'autorisation d'accès précoce (AAP)

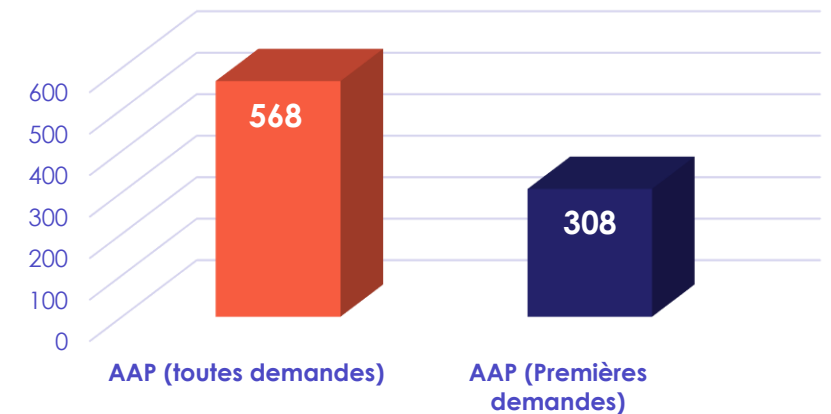
L'AAP en quelques mots...

Procédure dérogatoire exceptionnelle qui permet la mise à disposition et la prise en charge précoce d'une ou plusieurs indication(s) de certains médicaments

Les critères d'éligibilité:

- Maladie grave, rare ou invalidante
- Absence de traitement approprié disponible
- Impossibilité de différer la mise en œuvre du traitement
- Médicament présumé innovant notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent
- Efficacité/sécurité fortement présumé (pour l'AAP pré-AMM)

Nombre de demandes d'AAP évaluées par la HAS depuis le 01/07/2021



Toutes demandes: demande initiale, renouvellement, nouvelles données, réévaluation, ...

Question n°1: Un médicament doit avoir une AMM pour pouvoir bénéficier d'un accès précoce ?

Oui

Non

La bonne réponse est: **NON**

Pourquoi ?

- Il existe 2 types d'AAP:
 - pré-AMM (**dans l'attente de l'AMM**) → env. 40% des demandes
 - post-AMM (dans l'attente du remboursement de droit commun) → env. 60% des demandes

Pour aller plus loin...

Depuis le 1er juillet 2021, le régime des autorisations temporaires d'utilisation (ATU) est devenu:

- celui de l'autorisation d'accès compassionnel (AAC) pour les ATU nominatives.
Les demandes d'AAC sont faites par les prescripteurs pour un patient donné lorsque des conditions bien précises sont réunies (1- absence de traitement approprié disponible, 2-pas de recherche impliquant la personne humaine à des fins commerciales (sauf s'il s'agit d'une AAC très précoce), efficacité/sécurité présumée, maladie grave, rare ou invalidante, impossibilité de différer la mise en œuvre du traitement)
- celui de l'autorisation d'accès précoce (AAP) pour les ATU de cohorte

Question n°2: Une autorisation d'accès précoce peut-elle être précédée d'une autorisation d'accès compassionnel ?

Oui

Non

La bonne réponse est: **OUI**

Pourquoi ?

L'autorisation d'accès précoce peut être précédée d'une autorisation d'accès compassionnel (AAC) conformément à l'article L5121-12-1 du CSP : « Par dérogation, un médicament faisant l'objet, à un stade très précoce, d'une RIPH peut faire l'objet d'une AAC lorsque la mise en œuvre du traitement ne peut être différée et que le patient ne peut participer à cette recherche, **sous réserve de la soumission d'une demande d'AAP par le laboratoire** »

Question n°3: La HAS émet-elle une recommandation pour l'accès précoce ?

Oui

Non

La bonne réponse est: **NON**

Pourquoi ?

La HAS (le Collège à l'issue de l'avis de la CT) émet **une décision** d'autorisation d'accès précoce. Effectivement, la HAS est décisionnaire dans le cas des AAP, au contraire du remboursement de droit commun où, seule, la Commission de la Transparence émet un avis

Question n°4: L'accès précoce est octroyé pour une durée de...

3 ans

1 an

La bonne réponse est: **1 an**

Pour aller plus loin...

L'autorisation d'accès précoce est octroyée pour une durée d'un an et peut être renouvelée (D5121-69-3 du Code de la Santé Publique). Le nombre de renouvellement n'est pas limité par la loi. Les tensions financières sont aujourd'hui au cœur des débats et le nombre de renouvellement d'AAP par la HAS fait l'objet de toutes les attentions.

En pratique, eu égard au temps nécessaire à la procédure de remboursement de droit commun, un à 2 renouvellements d'AAP en post-AMM peuvent être nécessaires

Remboursement de droit commun en France



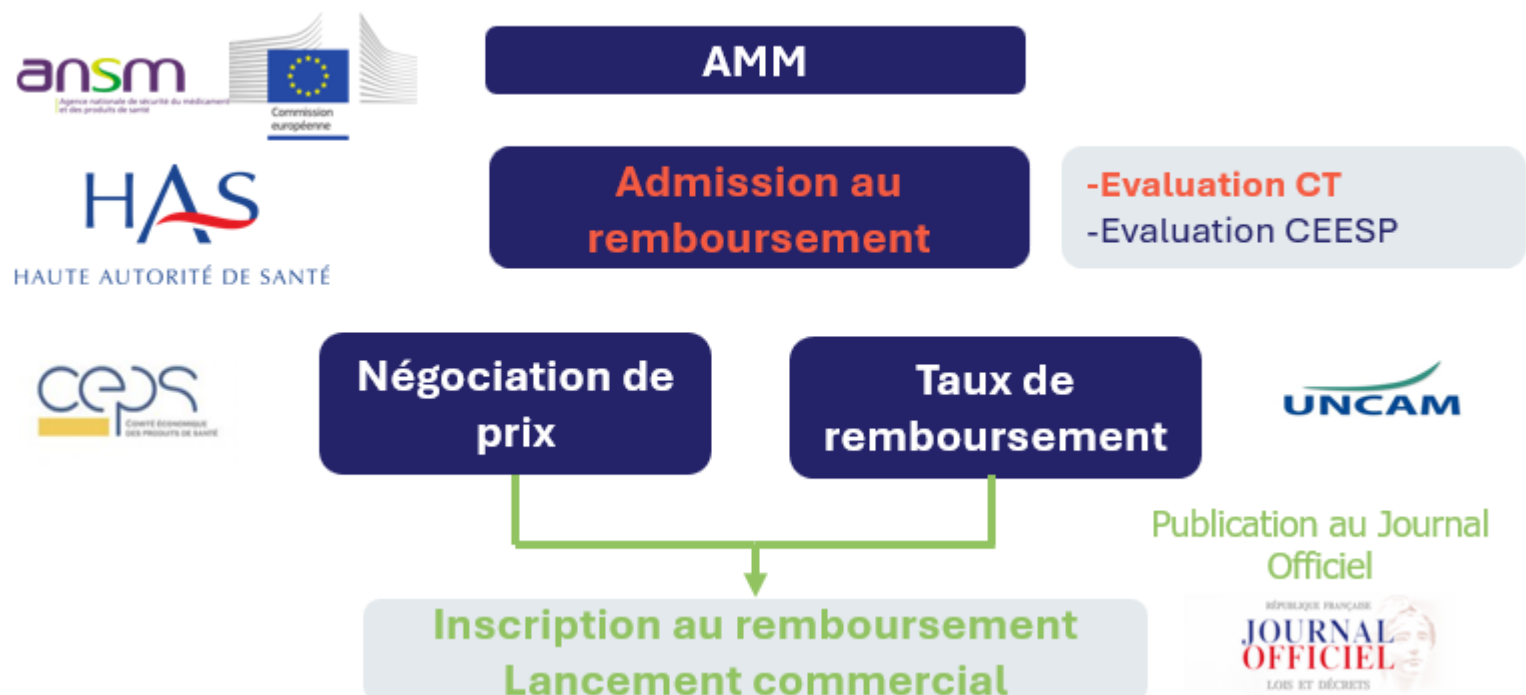
HAS



CEPS

Contexte

L'inscription au remboursement en France suit différentes étapes



Question n°5: Parmi cette liste, quels sont les 6 pays pour lesquels la prise en charge (remboursement) doit être précisée dans la note de synthèse (dossier de demande de remboursement) ?

USA	Royaume-Uni	Allemagne	Belgique	Italie
Portugal	Japon	Pays-Bas	Espagne	Suisse

La bonne réponse est: **Royaume-Uni, Allemagne, Pays-Bas, Belgique, Espagne, Italie**

Pour aller plus loin...

Cette information permet à la HAS de prendre connaissance des périmètres et conditions de remboursement dans des pays qu'elle juge comparable et peut également choisir de consulter ces autorités pour obtenir un éclairage sur les procédures de remboursement dans ceux-ci.

« Tout ou partie du dossier d'évaluation de l'industriel peut être transmis aux experts extérieurs et aux agences sanitaires publiques auxquels la CT fait appel pour les besoins de son évaluation. »

Guide de soumission d'une demande auprès de la Commission de la Transparence, Juillet 2025

Question n°6: Combien la commission de transparence de la HAS rend par an des avis de remboursement ?

Entre 500 et 700

Entre 700 et 900

Entre 900 et 1100

La bonne réponse est: La commission de la transparence rend entre 500 et 700 avis chaque année

Pour aller plus loin...

En 2024, 657 dossiers (versus 655 en 2023) ont été déposés pour une évaluation par la CT afin d'accéder à une prise en charge :

- 129 dossiers dans le cadre de l'accès précoce
- 528 dossiers dits « de droit commun », dont 240 dossiers de demande d'inscription sur la liste des médicaments remboursables/d'extension de prise en charge.

Le nombre de dossiers évalués par la HAS (hors accès précoces) a diminué depuis 2015, date à laquelle la soumission des dossiers de demande de renouvellement quinquennaux a été supprimée.

Question n°7: Un médicament qui a un SMR faible ou modéré peut-il bénéficier d'un taux de remboursement à 100% ?

Oui

Non

La bonne réponse est: **OUI**

Pourquoi ?

« La participation de l'assuré prévue au I de l'article L. 160-13 est supprimée pour certains médicaments reconnus comme irremplaçables et particulièrement coûteux, figurant sur une liste établie par arrêté conjoint du ministre chargé de la santé et du ministre chargé de la sécurité sociale, après avis de la CT » (Article R160-8 du CSS).

Pour aller plus loin...

Ce dispositif s'applique ainsi même si le patient n'a pas d'ALD. En effet, dans certaines situations (raisons professionnelles ou personnelles), le patient peut ne pas souhaiter être en ALD.

Par ailleurs, cette situation peut également permettre à certains patients bénéficiaires de l'AME de pouvoir être traités avec des médicaments à SMR faible (exclus de l'AME depuis 2015).

Question n°8: Une stabilité du prix facial pour une durée de 5 ans maximum peut être accordée par le CEPS en raison d'investissements dans les capacités de production pour ce médicament?

Oui

Non

La bonne réponse est: **OUI**

Pourquoi ?

Inscrit à l'Article 27 de l'accord cadre prorogé le 03/03/2026. Une stabilité du prix facial de 5 ans maximum peut être accordée par le CEPS à un médicament en fonction des investissements dans les capacités de production pour ce médicament, la R&D ou des solutions numériques, récemment réalisés ou à venir en Union Européenne, notamment en France (y compris par l'intermédiaire d'un façonnier). Pendant la période de stabilité, toute révision du prix s'effectue sur la base du prix net de remise.

Pour aller plus loin...

La notion de souveraineté est au cœur des discussions notamment depuis le COVID-19 et se poursuit en raison des tensions internationales actuelles. L'article 75 de la LFSS pour 2025 est également en soutien de la relocalisation de la production en France (la fixation du prix tient également compte de la sécurité d'approvisionnement du marché français que garantit l'implantation des sites de production).

Question n°9: Lorsqu'un 1^{er} générique du médicament de référence est commercialisé, le prix de la spécialité de référence est décoté de 20%?

Vrai

Faux

La bonne réponse est: **VRAI**

Pourquoi ?

Inscrit à l'Article 24 de l'accord cadre prorogé le 03/03/2026. L'objectif est de garantir à terme une convergence de prix entre le princeps et les génériques.

Question n°10: Lorsqu'un médicament a un chiffre d'affaires prévisionnel en 2^{ème} année de commercialisation > à 50 millions d'euros HT, il doit fournir un modèle d'impact budgétaire à la CEESP en complément du modèle médico-économique et au CEPS?

Vrai

Faux

La bonne réponse est: **VRAI**

Pourquoi ?

Inscrit à l'Article 12 de l'accord cadre prorogé le 03/03/2026.

Pour aller plus loin:

L'objectif de l'Analyse d'Impact Budgétaire est d'estimer l'impact financier, sur le budget d'un acteur du système de santé, de l'introduction, du retrait ou de la modification de stratégies médicales liées à une innovation technique ou à une modification réglementaire. Elle aide à déterminer les besoins ou les opportunités de financement. Elle fournit un cadre synthétisant les connaissances disponibles à un moment donné et pour un payeur donné, sur l'état d'une pathologie, ses traitements usuels et les effets d'une modification de ces derniers.

L'objectif est différent de celui de l'évaluation économique qui évalue les coûts et résultats d'une nouvelle stratégie pour en estimer les ratios coût-efficacité/utilité/bénéfice.

Des questions ?

