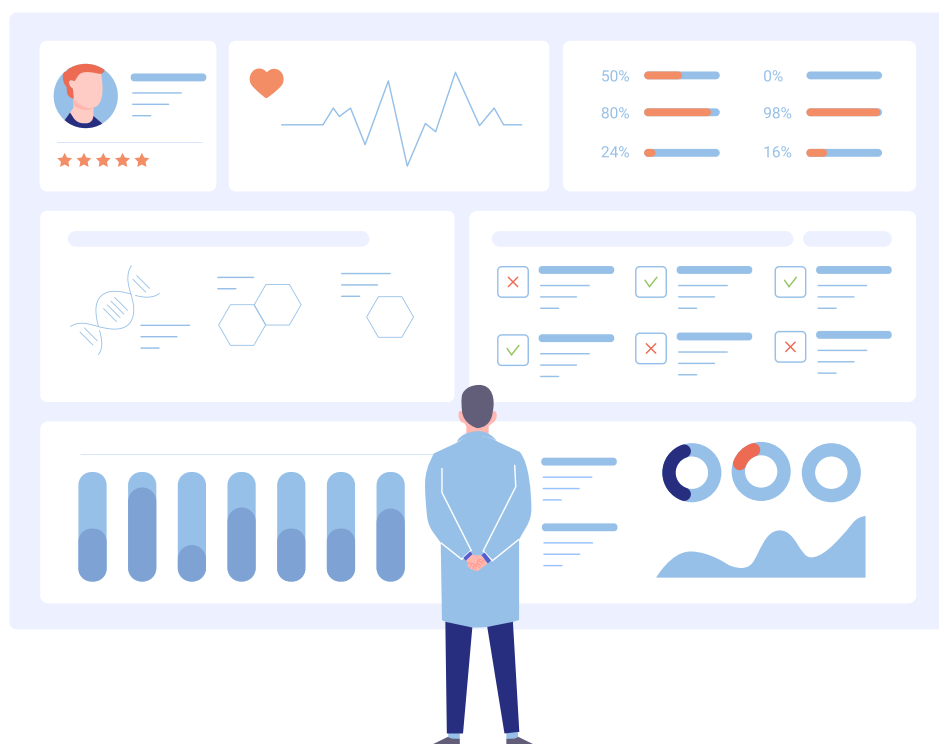


Accès précoce

12 propositions
pour optimiser
et donner du sens
au recueil de données





Sommaire

4 Le Comité des Sages

5 Édito

**6 Tout comprendre
du recueil de données**

8 **ENJEU 1**

**Éclairer et accompagner
les professionnels de santé et
les patients dans leurs démarches**

10 **ENJEU 2**

**Optimiser et simplifier
les processus de recueil
de données**

Le Comité des Sages

Il réunit professionnels de santé, association de patients et industriels, garants et ambassadeurs de la démarche fédérative initiée par le Leem (Les Entreprises du Médicament). À l'appui des retours d'expérience des acteurs du recueil de données sur le terrain*, six personnalités se sont réunies pour partager les constats et les freins rencontrés dans leur pratique et formuler leurs propositions d'optimisations.



Éric Baseilhac

Directeur des Affaires Économiques et Internationales du Leem (Les entreprises du médicament)



Jean-Marie Canonge

Pharmacien hospitalier, chef du département pharmacie de l'IUCT Oncopole de Toulouse



Pr Corinne Haioun

PU/PH, hématologue au CHU Henri Mondor Créteil



Pr Antoine Italiano

PU/PH, oncologue médical et responsable de l'unité d'essais cliniques de phase précoce de l'Institut Bergonié



Pr Nicolas Penel

PU/PH, oncologue médicale à l'Université de Lille



Avec la contribution de » **Danièle Aubanel**, Vice-présidente de l'association ELLyE (Ensemble Leucémie Lymphomes Espoir)

* Sur la base d'un audit quantitatif et qualitatif mené auprès de 30 professionnels de santé et acteurs concernés (oncologues, hématologues, pharmaciens hospitaliers, neurologues, attachés de recherche clinique), aussi bien en établissements publics que privés.



ÉDITO

Depuis le 1^{er} juillet 2021, grâce à la loi de financement de la sécurité sociale pour 2021 ayant opéré une large refonte de simplification du système dérogatoire d'accès et de prise en charge des médicaments faisant l'objet d'autorisations temporaires d'utilisation (ATU), le dispositif de l'accès précoce aux médicaments présumés innovants – c'est à dire la possibilité de prescription et d'utilisation d'un médicament présumé innovant avant son inscription dans le droit commun – est entré en vigueur, sous l'égide de la Haute Autorité de Santé (HAS).

Cet accès précoce représente une avancée majeure pour les patients en impasse thérapeutique, leur offrant la possibilité de bénéficier plus rapidement de traitements présumés innovants (en moyenne plus d'un an avant leur inscription dans le droit commun).

Toutefois, un premier bilan, dressé en octobre 2023 par la Haute Autorité de Santé (HAS) et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM), incite à réfléchir à des évolutions nécessaires, notamment en matière de recueil des données de vie réelle dont l'analyse permet de justifier le maintien du statut d'accès précoce ou son passage dans le droit commun. **Ce bilan soulève en effet des « points de vigilance », jugeant ce recueil insuffisant en termes de taux de complétude et de qualité, posant « de nombreuses difficultés dans les établissements de santé ».** Ce constat met en lumière les obstacles rencontrés par les professionnels et les établissements de santé, tant au niveau de la saisie que du suivi des données récoltées.

Face à cette réalité, le Leem (Les Entreprises du Médicament) a pris l'initiative de consulter et de donner la parole aux professionnels de santé, industriels et associations de patients, afin de mieux comprendre et identifier les freins relatifs au recueil de données, et de formuler des propositions concrètes pour l'optimiser à court et moyen termes.

Le fruit de cette démarche se matérialise dans ce livre blanc, qui a vocation à contribuer ainsi au bilan de la réforme de l'accès précoce, près de trois ans après son entrée en vigueur.

Industriels, professionnels de santé et associations de patients... **Ensemble, nous devons relever le défi de l'optimisation du recueil de données pour garantir un meilleur accès aux médicaments innovants, tout en assurant un suivi rigoureux et efficace.** Ce n'est qu'en travaillant main dans la main que nous pourrons offrir aux patients les traitements nécessaires, qui sont autant de motifs d'espoir, tout en favorisant le progrès médical et en assurant la pérennité de notre système de santé.

Le Comité des Sages

Tout comprendre du recueil de données

Aujourd'hui, l'accès précoce aux médicaments innovants est conditionné par l'utilisation d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données (PUT-RD), construit par les industries pharmaceutiques selon des principes définis par la Haute Autorité de Santé (HAS). Ce dispositif impose aux entreprises pharmaceutiques de prendre en charge la collecte des données de suivi des patients traités. Ces données sont transmises par les établissements selon des modalités strictes garantissant le respect du secret médical, et encadrées par des conventions de dédommagement entre les industriels et les établissements de santé qui opèrent le recueil.

Ses objectifs

Le recueil des données poursuit trois principaux objectifs :

1. Évaluation de l'efficacité et de la sécurité

Évaluer le plus tôt possible si les bénéfices attendus des médicaments en accès précoce sont réels, afin de maintenir ce statut et améliorer la prise en charge et la sécurité des patients.

2. Soutien à l'évaluation des médicaments innovants

Contribuer à l'évaluation de ces médicaments par la commission de la transparence de la HAS, en vue d'une prise en charge pérenne par l'Assurance maladie, dans le cadre d'une demande d'autorisation de mise sur le marché.

3. Recherche et amélioration de l'observance

Utiliser les données collectées pour poursuivre la recherche, améliorer l'observance des traitements et favoriser le progrès médical.

Au-delà de ces objectifs dont l'application doit être renforcée, **le recueil de données doit également devenir un moyen essentiel pour obtenir des données de vie réelle dans notre système de santé**, surtout pour des pathologies pour lesquelles elles sont indispensables.

Pour atteindre les objectifs ambitieux du recueil de données, il est crucial de simplifier et d'harmoniser les processus, d'améliorer la transparence, et de garantir un soutien financier adéquat. En impliquant davantage les professionnels de santé et les patients dans ce processus, nous pouvons espérer atteindre une qualité et une complétude des données qui permettront de maximiser les bénéfices des médicaments innovants en accès précoce.

CE QU'IL FAUT RETENIR...

Accès Précoces

250 demandes d'Autorisations d'accès précoces (APP) déposées en 2 ans.

125 décisions rendues pour les premières demandes pré et post AMM dont **98 décisions favorables**.

Plus de **100 000** patients en situation d'impasse thérapeutique ont bénéficié du dispositif principalement dans le domaine de l'oncologie-hématologie (+ 50 %).

9 mois Les médicaments en accès précoce ont été autorisés et pris en charge en moyenne 387 jours avant leur inscription en droit commun.

Recueil de données

Imposé par la LFSS pour 2021, le **Protocole PUT-RD** garantit le recueil des données et le respect du secret médical.

90% Objectif de taux de complétude fixé par la HAS.

65% Taux de complétude actuellement atteint.

3 objectifs principaux :

Évaluer l'efficacité et la sécurité des médicaments.

Soutenir l'évaluation pour une prise en charge pérenne par l'Assurance maladie.

Poursuivre la recherche et améliorer l'observance des traitements.

ENJEU 1

Éclairer et accompagner les professionnels de santé et les patients dans leurs démarches

Constats

L'optimisation du recueil de données dans le cadre de l'accès précoce aux médicaments innovants est cruciale pour garantir des soins de qualité et favoriser le progrès médical. Cependant, plusieurs constats mettent en lumière des obstacles significatifs qui entravent ce processus et nécessitent des actions concrètes pour y remédier.

1 Mauvaise compréhension des enjeux et objectifs du recueil de données

Les finalités du dispositif d'accès précoce ne semblent pas toujours claires pour les professionnels de santé, pourtant au cœur du recueil de données dont ils ne saisissent parfois pas pleinement les enjeux et les objectifs. Cette incompréhension concerne notamment le rôle déterminant des industriels dans ce processus et les bénéfices attendus pour les patients. Il est impératif de clarifier ces aspects pour assurer une adhésion plus large et plus efficace des acteurs de terrain.

2 Manque de transparence sur les conventions de dédommagement liant industriels et établissements de santé

La transparence est essentielle pour instaurer la confiance et assurer une collaboration fluide entre les différentes parties prenantes. Or, le cadre contractuel régissant le recueil de données entre les industriels et les établissements de santé, par le biais de conventions de dédommagement, reste souvent opaque. Cette absence de visibilité nuit à l'appropriation des démarches par les professionnels de santé et peut engendrer des réticences ou des malentendus.

3 Complexité excessive des démarches de recueil de données

Les démarches administratives et techniques liées au recueil de données s'avèrent souvent trop complexes pour les professionnels de santé. Cette complexité peut décourager l'implication des acteurs et entraîner des erreurs ou des omissions, compromettant ainsi la qualité et la complétude des données collectées. Simplifier et rationaliser ces procédures est une priorité pour faciliter la tâche des prescripteurs et améliorer l'efficacité du recueil.

4 Défaut d'inclusion des patients dans le processus de collecte

Bien que les patients soient les principaux bénéficiaires de l'accès précoce aux médicaments, ils sont paradoxalement de simples spectateurs du processus de collecte des données. Leur implication active est pourtant essentielle pour garantir la pertinence et la qualité des informations recueillies. Il est donc capital de repenser ce processus pour intégrer pleinement les patients et valoriser leur contribution.

Ces constats soulignent la nécessité d'opérer des évolutions majeures et concertées pour éclairer et accompagner les professionnels de santé et les patients dans leurs démarches relatives au recueil de données. En agissant de concert, les obstacles pourront être surmontés afin de garantir un accès précoce aux médicaments innovants, au bénéfice de tous.

Éclairer et accompagner les professionnels de santé et les patients dans leurs démarches

Propositions

À COURT-TERME

- 1** Créer un site unique comme centre de ressources ergonomique piloté par la HAS (à la fois à destination des professionnels de santé et des patients).
- 2** Sanctuariser l'entretien physique systématique entre patients et professionnels de santé dans le cadre du recueil de données afin de s'assurer du consentement et de la compréhension du patient sur l'ensemble des démarches, et de mieux mesurer l'efficacité, les effets indésirables, les conditions réelles d'utilisation.
- 3** Définir clairement et précisément les objectifs du recueil de données au niveau réglementaire.
- 4** Confier à l'IGAS une mission visant à mesurer l'application concrète de l'utilisation du recueil de données par la HAS dans l'évaluation des médicaments innovants.

À LONG-TERME

- 5** Créer un module de formation initiale ou continue sur l'accès précoce et le recueil de données pour les professionnels de santé et les attachés de recherche clinique.
- 6** Organiser, à l'initiative de la HAS et du LEEM, un webinaire annuel « bilan et perspectives » sur l'accès précoce et le recueil de données entre autorités sanitaires, professionnels de santé, associations de patients et industriels.

ENJEU 2

Optimiser et simplifier les processus de recueil de données

Constats

La qualité du recueil de données est essentielle pour évaluer l'impact des médicaments innovants en accès précoce. Toutefois, en complément de l'accompagnement nécessaire des professionnels de santé et des patients, plusieurs obstacles nuisent à l'optimisation de ce processus, nécessitant des améliorations substantielles pour garantir des résultats fiables et exploitables.

1 Une activité très chronophage

Le recueil de données dans le cadre de l'accès précoce aux médicaments est une tâche particulièrement chronophage. Les exigences administratives et les nombreuses étapes requises pour collecter et rapporter les données peuvent contraindre les professionnels de santé à délaisser cette activité, par manque de temps et de ressources. Dans le cas contraire, cette situation entraîne une surcharge de travail et limite leur disponibilité pour d'autres tâches cliniques essentielles. Il est donc impératif de simplifier et d'automatiser autant que possible ces processus pour libérer du temps et des ressources.

2 Inégalités territoriales pour l'accès aux ressources humaines et l'organisation de la collecte des données

Les attachés de recherche clinique (ARC), dont le rôle est essentiel dans le processus de collecte des données auprès des patients, manquent aux établissements de santé qui éprouvent les plus grandes difficultés pour recruter et conserver ces profils qualifiés sur cette mission rébarbative et peu attractive. C'est d'autant plus vrai pour les petits établissements de santé, moins bien organisés en ressources pour faire face à cette obligation, créant ainsi des inégalités de recueil dans les territoires. Au-delà de la question importante du financement des ARC, se pose celle d'une meilleure organisation du processus de collecte de données, et notamment d'une meilleure allocation des ressources pour renforcer les capacités des équipes impliquées dans ce processus.

3 Multitude de plateformes

L'existence d'une multitude de plateformes pour le recueil de données complique encore davantage la tâche des professionnels de santé. Cette fragmentation entraîne des inefficacités, des incohérences et une duplication des efforts. Une harmonisation des systèmes et la création d'une plateforme unique et intégrée sont impératives pour simplifier le recueil de données et améliorer leur qualité.

Ces constats mettent en lumière les défis majeurs auxquels sont confrontés les professionnels de santé dans le recueil de données. **Optimiser et améliorer ces processus est une priorité pour garantir un accès précoce efficace et efficient aux médicaments innovants.** En simplifiant les démarches, en fournissant les moyens financiers nécessaires et en unifiant les plateformes, nous pourrions alléger la charge des professionnels de santé et assurer une collecte de données plus rigoureuse et cohérente.

Optimiser et améliorer
les processus de recueil de données

Propositions

À COURT-TERME

- 7 Graduer le périmètre de collecte de données selon la nature et les ressources des établissements de santé.
- 8 Mettre en place un annuaire répertoriant les référents sur l'accès précoce et le recueil des données au niveau de chaque laboratoire et/ou de leur CRO (organismes de recherche sous contrat).
- 9 Confier à l'IGAS une mission visant à faire un état des lieux du fléchage et de l'utilisation des financements relatifs à la complétude des données sur l'accès précoce au sein des établissements concernés.

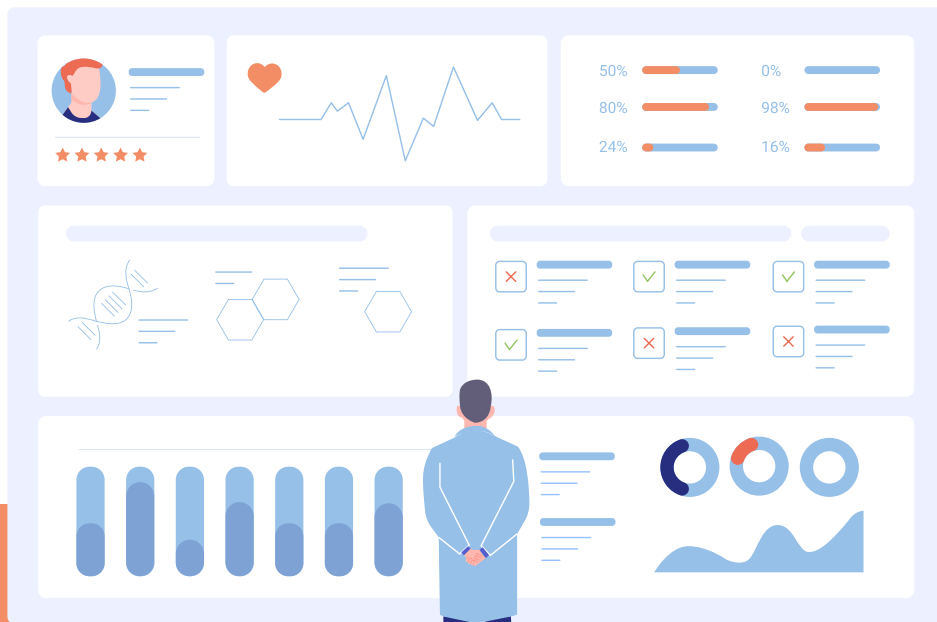
À LONG-TERME

- 10 Confier à la HAS, à l'ANSM et au Leem, le soin de piloter la création d'une plateforme et d'un logiciel unique sur le recueil de données.
- 11 Lancer une expérimentation sur l'utilisation de l'intelligence artificielle dans la collecte de données sur l'accès précoce.
- 12 Inciter, dans l'élaboration par les industriels du PUT-RD, à la participation des Associations de patients et sociétés savantes avant qu'il soit soumis à la HAS. Le cas échéant, mettre en œuvre une procédure contradictoire par écrit.

leem

www.leem.org

À l'initiative du **leem**



Accès précoce

12 propositions
pour optimiser
et donner du sens
au recueil de données