

## Accès précoce aux médicaments : sécuriser un dispositif essentiel pour les patients

Mis en place en 2021, le dispositif d'accès précoce permet à plus de 50 000 patients (vs 30 000 avec le mécanisme précédent d'ATU<sup>1</sup>) par an en France<sup>2</sup> de bénéficier de traitements innovants plus d'un an avant leur commercialisation officielle. Les trois premières années d'expérimentation ont néanmoins mis en lumière quelques zones de fragilité. Le Leem soumet des propositions pour sécuriser ce dispositif essentiel et qui a fait ses preuves.

Depuis la création du dispositif d'accès précoce, les industriels du médicament se sont largement mobilisés en sa faveur. 93 % des médicaments innovants (ASMR I à IV) ont fait l'objet d'un accès précoce qui a permis à certains patients français d'en disposer plus tôt que d'autres patients européens. Et cela, sans augmentation significative des dépenses de l'Assurance Maladie.

### Chiffres-clés :

- **377** M€ de dépenses nettes pour l'Assurance Maladie depuis la mise en place de l'accès précoce vs 352 M€ sur la période précédente (avec l'ancien dispositif d'ATU).
- **169** demandes d'accès précoce déposées par les industriels (à mars 2024).
- **387** : nombre de jours gagnés par les patients pour accéder aux nouveaux traitements avant leur commercialisation officielle.

En outre, 80 % des médicaments ayant bénéficié de ce dispositif ont été ensuite confirmés dans le droit commun et mis à disposition pour l'ensemble des patients. Un seul d'entre eux a fait l'objet d'une évaluation négative par la HAS<sup>3</sup>. Un pari qui s'est donc révélé gagnant pour les patients. L'accès précoce représente ainsi une avancée majeure pour les patients en impasse thérapeutique, leur offrant la possibilité de bénéficier plus rapidement de traitements innovants pris en charge par la solidarité nationale.

### Données de vie réelle : besoin de clarifier l'objectif

Élément crucial de la réforme de 2021, un recueil de données de vie réelle - à la charge des industriels - a été systématisé pour contribuer à l'évaluation du médicament. Un bilan dressé en octobre 2023

<sup>1</sup> Autorisation temporaire d'utilisation

<sup>2</sup> Agence Nationale de Sécurité du Médicament, bilan à mi-parcours

<sup>3</sup> Haute Autorité de Santé

par la HAS et l'ANSM<sup>4</sup> relève néanmoins les nombreuses difficultés rencontrées par les professionnels et les établissements de santé, concernant tant la saisie des données que leur suivi.

En pratique, la mise en place de ce recueil requiert des ressources humaines et financières importantes pour les établissements de santé comme pour les industriels (mise en place de plateformes numériques, dédommagement du recueil...) alors que l'utilité des données recueillies reste limitée puisqu'elles sont le plus souvent indisponibles au moment de l'évaluation de droit commun. Le Leem a consulté les différentes parties impliquées (professionnels de santé et associations de patients) pour identifier les obstacles potentiels. Un livre blanc publié en juillet 2024 formule 12 propositions techniques concrètes, à court-terme et à plus long-terme, destinées à fluidifier un système complexe. Cette consultation a mis en lumière la nécessité de clarifier la finalité de ce recueil de données pour maintenir un engagement fort de l'ensemble des acteurs.

## Maintenir l'attractivité du dispositif

Depuis le début de l'année 2024, la proportion de dossiers d'accès précoce acceptés par la Haute Autorité de Santé a significativement baissé, passant de 75 % à 40 %. En cause, un durcissement de l'examen des demandes déposées par les industriels. Pourtant, les besoins des patients n'ont pas diminué et les deux premières années du dispositif ont montré que les médicaments mis à disposition avaient prouvé leur apport réel.

*« L'objectif initial de la réforme de 2021 était de clarifier et simplifier les dispositifs d'accès dérogatoires français pour mieux servir les patients, rappelle Thierry Hulot, président du Leem. Nous devons sécuriser et pérenniser le dispositif d'accès précoce, en travaillant plus étroitement avec toutes les parties prenantes. C'est ensemble – avec les autorités de santé, les associations de patients, les professionnels de santé – que nous pourrons garantir aux Français un accès rapide aux traitements innovants ».*

---

### **Contacts Presse :**

Stéphanie BOU - 06 60 46 23 08 [sbou@leem.org](mailto:sbou@leem.org)

Virginie PAUTRE - 06 31 86 82 70 - [vpautre@leem.org](mailto:vpautre@leem.org)

Céline FERNANDES – 06 08 97 50 49 - [cfernandes@leem.org](mailto:cfernandes@leem.org)

---

<sup>4</sup> Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé