

**1. des missions et des compétences élargies**

**2. une gouvernance modernisée**

**3. une évolution de l'organisation**

**4. des moyens renforcés et priorités**

**Mise en perspective ...**

# Une Agence de sécurité sanitaire

## Des produits

- Médicaments
- Dispositifs médicaux
- Produits du corps humains

## Des métiers

- Evaluation
- Surveillance
- Affaires juridiques et réglementaires
- Inspection
- Contrôles

Des livrables : décisions



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH



# *La sécurité ....du patient !*

- Une ambition : conjuguer *accès rapide* à l'innovation et *adaptation continue* de la balance B/R au fil du progrès thérapeutique
- Des valeurs renforcées : *transparence* de l'expertise et de la décision, *surveillance* et évaluation continue, *information* indépendante et partagée
- Une gouvernance modernisée : contrôle *CA et CS*, moins d'instances, *responsabilités*
- Une organisation intégrée : directions *produits*, directions *métiers*, *stratégie*, processus et *ressources*

# Evolution et clarification des instances consultatives

- Mobiliser et s'appuyer sur l'*expertise* externe
  - | 36 groupes de travail pérennes
  - | Les comités scientifiques temporaires (ad hoc)
- Maintenir et développer l'*interface avec les réseaux* (de vigilances)
  - | 4 comités techniques (dont CRPV et CEIP)
- Structurer et formaliser l'*interface avec «les parties prenantes»*
  - | Associations, Sociétés savantes, Professionnels, Industriels
- Installer 4 *nouvelles commissions* consultatives

## NB

2011 l'Afssaps s'appuyait sur 89 groupes de travail et comités + 18 commissions, comités techniques et groupes d'experts «réglementés»

## Les commissions consultatives n=4

- **Bénéfice / risque**
- Composition et compétences modifiées : médecins généralistes 2, pharmaciens 2, associations 2, experts du bénéfice et du risque 8
- Ordre du jour, Enregistrement et diffusion publique vidéo
- Discutent et donnent un avis public sur des dossiers instruits en amont

- « **Commission d'évaluation initiale du rapport entre les bénéfices et les risques des produits de santé » (14 membres)**
- « **Commission de suivi du rapport entre les bénéfices et les risques des produits de santé » (14 membres)**
- « **Commission des stupéfiants et psychotropes » (14 membres)**
- « **Commission de prévention des risques liés à l'utilisation de catégories de produits de santé » (16 membres)**

# Favoriser un accès rapide, encadré et transparent à l'innovation pour les patients

- I. Mieux encadrer, suivre les ATU et développer les **ATU de cohortes**
- II. Favoriser la mise en œuvre d'**essais cliniques** en France
- III. Donner accès à l'utilisation de molécules déjà commercialisées au-delà des indications actuelles de l'AMM : **les RTU**

# Prioriser les actions de vigilance et de surveillance

- u Renforcement des missions de l'agence en matière de surveillance
- u Création d'une direction de la surveillance au sein de l'ANSM

- I. Renforcer les vigilances – développer les méthodes actives de **surveillance**
- II. Créer un **pôle d'épidémiologie** des produits de santé
- III. Renforcer les **réseaux régionaux**
- IV. Prévenir par la mise en place d'un programme de **réévaluation systématique des anciennes AMM**

# Intégrer les priorités d'action dans une stratégie européenne

Or

- | Evaluation initiale et continue du rapport Bénéfice/Risque des produits de santé au niveau européen **PRAC**
- | Renforcement de l'efficacité du **contrôle du marché**
- | **Réaction** aux urgences sanitaires
- | **Indépendance de l'information** et de la communication



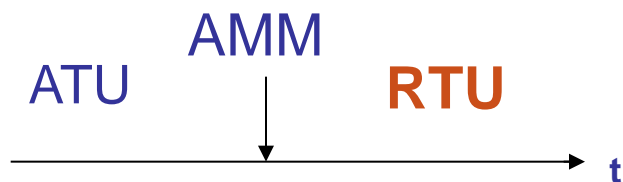


# FOCUS sur RTU

# Raisons de ce nouvel encadrement

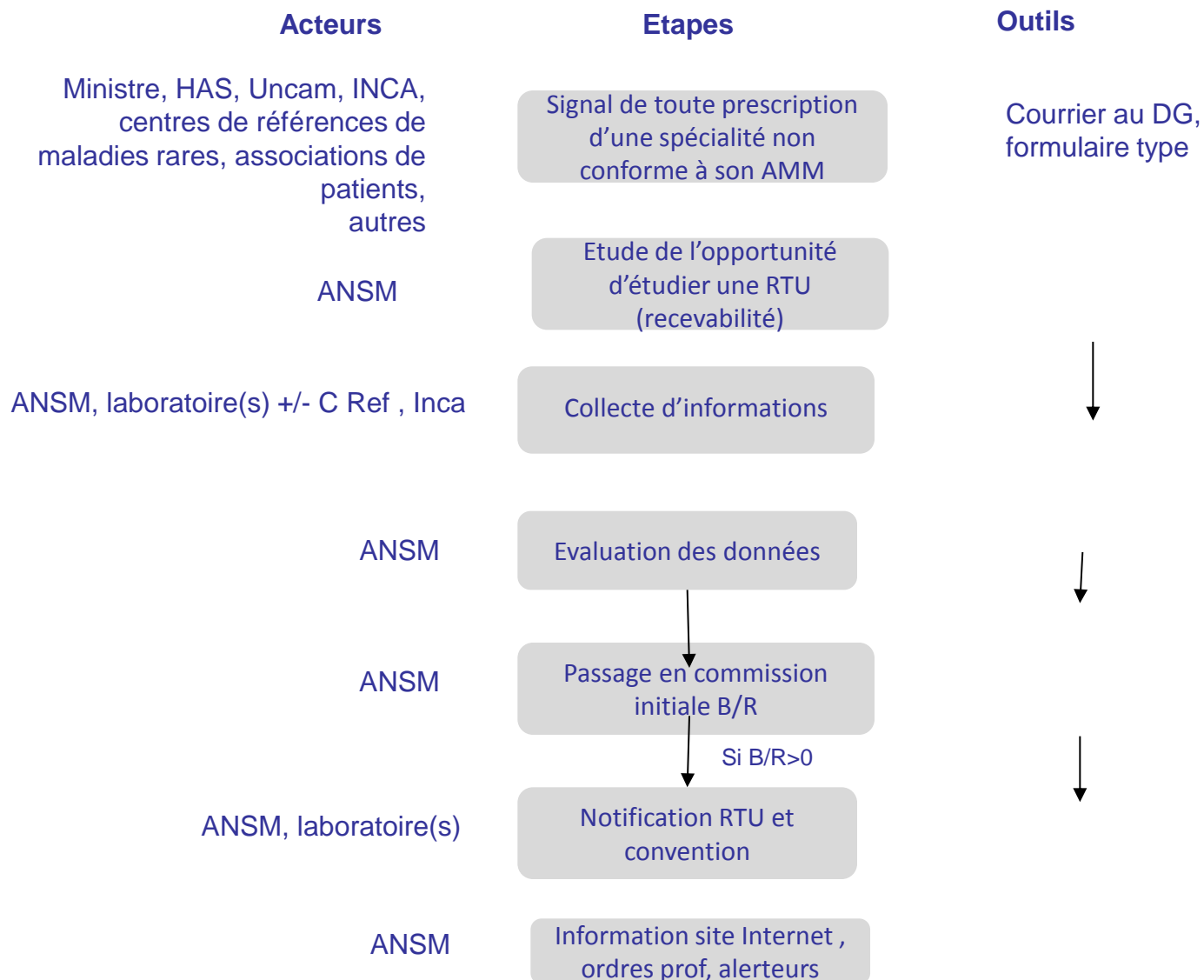
- Le renforcement de la sécurité d'utilisation des médicaments dans l'intérêt des patients :
  - ✓ Acquisition de données de sécurité et d'efficacité des produits concernés
  - ✓ Information et suivi des patients
- Une équité d'accès aux traitements
- Pour remédier à un risque avéré pour la santé publique

# Conditions pour que l'ANSM élabore des RTU



- Besoin thérapeutique (absence d'alternative médicamenteuse appropriée autorisée) ou impact de santé publique ou économique
- Bénéfice/Risques présumé favorable
- Spécialités concernées : toutes les spécialités avec AMM

# PROCESSUS DE TRAITEMENT D'UN DOSSIER DE RTU



si B/R > favorable : Contenu d'une RTU (1)

### 3. Notification de la RTU et publication

- ◆ Mentions :
  - **L'indication** dérogatoire;
  - **La posologie et le mode d'administration** ;
  - Si besoin, CI, mises en garde, précautions d'emploi
  - **Les 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**
- ◆ **Durée de validité (3 ans max)**

# Contenu d'une RTU (2)

1. le protocole de suivi des patients :
  - **modalités de suivi des patients et de recueil des informations relatives à l'efficacité, à la sécurité et aux conditions réelles d'utilisation de la spécialité,**
  - Rappports de synthèse périodiques
  - ≠ essai clinique
  - **Obligatoire et financé par le laboratoire**
2. la 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**

# Premiers dossiers

1. Protocoles de suivi demandés pour
  - Remicade (maladie de Takayasu)
  - Mabthera (vascularite cryoglobulinémiques sévères du VHC+)
  - Roactemra (maladie de Castleman)
  - Velcade (amylose AL, syndrome de Randall)
  - Thalidomide (aphtoses sévères, formes cutanées de lupus érythémateux, formes sévères d'érythème noueux lépreux)
  
2. Instruction :
  - Baclofène : alcoolo-dépendance
  - Nplate, Revolade : Purpura Thrombopénique Idiopathique de l'enfant
  - Cellcept : pemphigus

### **Avertissement**

- Lien d'intérêt : personnel salarié de l'ANSM (opérateur de l'Etat).
- La présente intervention s'inscrit dans un strict respect d'indépendance et d'impartialité de l'ANSM vis-à-vis des autres intervenants.
- Toute utilisation du matériel présenté, doit être soumise à l'approbation préalable de l'ANSM.

### **Warning**

- Link of interest: employee of ANSM (State operator).
- This speech is made under strict compliance with the independence and impartiality of ANSM as regards other speakers.
- Any further use of this material must be submitted to ANSM prior approval.