

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 sécuritédu 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



ansm

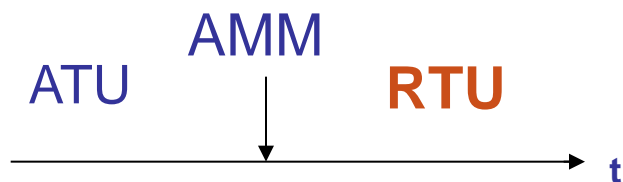
Agence nationale de sécurité du médicament
et des produits de santé

FOCUS sur RTU

Raisons de ce nouvel encadrement

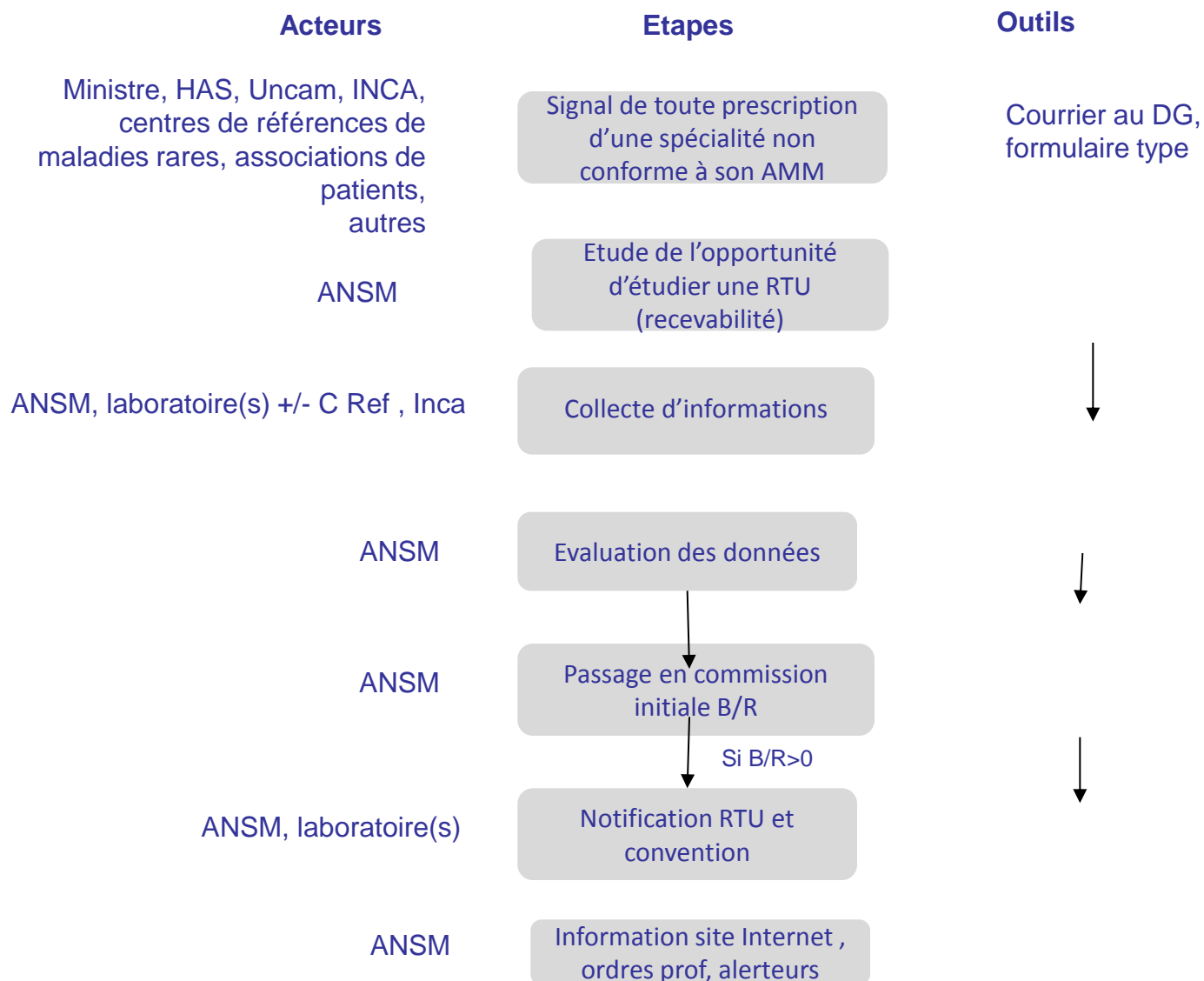
- Le renforcement de la sécurité d'utilisation des médicaments dans l'intérêt des patients :
 - ✓ Acquisition de données de sécurité et d'efficacité des produits concernés
 - ✓ Information et suivi des patients
- Une équité d'accès aux traitements
- Pour remédier à un risque avéré pour la santé publique

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.