

Direction de l'Évaluation
Pôle Accès Innovation et Développement

Saint-Denis, le 02 octobre 2014

Compte Rendu

Réunion du 22 septembre 2014

Objet : Comité d'interface ANSM/ Leem / GT 2 Accès à l'innovation

Etaient présents :

Pour l'ANSM : C. Delval, N. Bahmad, V. Nadjarian, C. Auriche, A. Lorence, AF Motte, S. Benchetrit, F. Cuenot, C. Druet, F. Perrin-Dureau, C. Belorgey, A. Moreau, L. Fluckiger, E. Oudet

Pour le Leem : S. Courcier (GSK), A. Benkrittly (Sanofi), C. Rey-Coquais (Pfizer), I. Hoche (Gilead), J. Gasteau (MSD), S. Bourjac (Celgène), B. Marchenay (Roche), C. Lassale (Leem), C. Sibenaler (Leem), V. Barat-Léonhardt (GSK/exceptionnellement pour la présentation EAP)

Ordre du jour

1) **Introduction**

2) **Essais cliniques**

- **Avis aux promoteurs :** une mise à jour est en cours de finalisation. Une dernière réunion est prévue en interne pour statuer sur les derniers points de discussion. Ce document sera diffusé ensuite aux promoteurs (industriels et institutionnels) en octobre pour relecture rapide (environ 15 jours). Côté Leem, la relecture sera assurée par le groupe de travail réglementaire dédié aux études cliniques.

- Projet de phase pilote : le projet avance bien, le pilote sera fait sur la base du volontariat pour les promoteurs et les CPP (actuellement, 9 CPP sont volontaires), avec une simulation des délais. Un avis aux promoteurs spécifique pour cette phase pilote sera rédigé ainsi qu'un modèle de rapport d'évaluation. Pour les industriels, il est important que cette phase pilote démarre au plus vite (février 2015) afin de conserver notre avance au niveau européen. L'articulation du champ d'évaluation entre l'ANSM et les CPP est une difficulté majeure à traiter. Il n'y a pas encore eu officiellement d'arbitrage pour statuer de l'instance qui aura en France l'évaluation de la méthodologie.

- Implémentation en Europe du Règlement européen :

- Les autres Etats Membres ne sont pas encore organisés pour la mise en place du Règlement, mais la France est très observée.

- Des groupes de travail sont mis en place entre les Etats Membres, la Commission européenne et l'EMA pour l'élaboration du portail européen. Une consultation publique est prévue fin novembre 2014 sur les spécifications techniques générales et fonctionnelles du portail.

Un audit du système indépendant aura lieu (en mars 2015), puis publication au JOUE pour une mise en place effective en septembre 2016. A noter que la Commission Européenne donne un accès par Etat Membre et que c'est à l'Etat Membre de s'organiser pour l'articulation entre l'autorité compétente et les CPP. Sur le portail, les parties I et II du dossier seront bien individualisées.

- des points juridiques sont encore à valider au niveau européen (par exemple l'articulation entre les articles 11 et 14)

- Retour du CTFG : l'ANSM reprend sa présence au sein du CTFG.

Le CTFG est chargé par l'EMA d'émettre des recommandations pour le CTAG sur les critères de choix de l'Etat Membre de référence dans le cadre du futur règlement européen.

L'ANSM va participer à des travaux avec l'Allemagne le Danemark, la Belgique, l'Irlande, le Portugal et la Norvège sur l'élaboration d'un template d'évaluation des dossiers dans le cadre de la VHP.

Il est rappelé l'importance de la participation de la France à la VHP.

Un point sur la database VHP : les promoteurs industriels et académiques ont été informés de la possible participation de la France dans le cadre de la VHP.

Il est à noter que :

- certains pays ne participent plus à cette procédure du fait de l'outil
- actuellement l'outil n'est pas disponible (nous n'avons pas été informés de la reprise de l'activité).

3) Early Access Program

Un état des lieux (préparé par un petit groupe d'industriels) sur les différents systèmes d'accès précoce à l'innovation dans les principaux pays européens est présenté. Il est décidé de poursuivre la réflexion sur ce sujet, notamment au regard des questions suivantes :

- quels pays ont un système d'évaluation/ autorisation pour les programmes mis en place/ les protocoles.

- comparaison des délais (cas précis)

- exigences de fabrication / étiquetage des produits

- volume de patients

- études cliniques d'accès précoce : creuser les cas afin d'identifier les obstacles et points de simplification.

Pour cela, il est décidé de mettre en place un petit groupe de travail (*C. Sibenaler se met en contact avec N. Bahmad pour l'organisation*)

Lors de la prochaine réunion, un état des lieux du passage ATU nominatives aux ATU de cohorte sera présenté par l'ANSM. Des rencontres précoces peuvent être demandées auprès de l'ANSM pour discuter des solutions d'accès ou pour des essais cliniques complexes.

4) Adaptive Licensing

L'ANSM présente le concept d'*adaptive licensing* qui est un projet pilote lancé par l'EMA en avril 2014 pour répondre à la demande de la Commission Européenne de réduction des délais d'accès à l'innovation.

Un sous-groupe de travail *Adaptive Licensing Discussion Group* (ALDG), piloté par le SAWP (*Scientific Advise Working Party*) et constitué de 5 membres volontaires (dont un membre de l'ANSM membre du SAWP) a été mis en place dès la fin de l'année 2013.

Il s'agit d'un accompagnement intégré via un dialogue anticipé avec toutes les parties prenantes liées au développement, à la mise sur le marché et à la prise en charge d'un médicament (régulateurs, HTA bodies,...) afin de permettre un accès précoce et plus rapide à des médicaments répondant à un besoin médical non couvert dans des pathologies sévèrement invalidantes et/ou menaçant le pronostic vital tout en veillant à ce que le coût soit supportable par la société.

Des projets ont été soumis par les industriels dans le cadre de cette phase pilote dont les discussions sont totalement confidentielles (cf site de l'EMA, rubrique « Adaptive Licensing »).

5) Autres points :

- premiers résultats de l'enquête 2014 du Leem sur l'attractivité de la France pour la recherche clinique :

Représentativité constante au fil des enquêtes (66% du chiffre d'affaires de l'industrie en France), augmentation des délais réglementaires (ANSM et CPP). Point d'alerte sur les délais des CPP qui vont au-delà des délais réglementaires. Augmentation des délais de signature des contrats hospitaliers.

A l'international, forte compétition avec les pays d'Amérique du Nord qui poursuivent leur progression en terme de participation aux études.

Au niveau européen forte poussée des pays « Europe de l'est », et positionnement à peu près identique des pays d'Europe de l'Ouest avec une augmentation de la présence de l'Espagne. Par aire thérapeutique, les meilleures performances en termes de recrutement de patients sont en oncologie/onco-hématologie. En conclusion, il est rappelé l'importance du déploiement du contrat unique avec les hôpitaux publics, l'importance de la structuration de la recherche clinique (formation, réseaux d'excellence, rôle des associations de patients) et l'enjeu majeur de l'implémentation du Règlement européen sur les essais cliniques.

- Réflexion à venir sur les avis scientifiques nationaux : point reporté à la prochaine réunion

- Le Leem demande un point sur les prochaines RTU à venir, et notamment des informations sur le planning de passage des PTT aux RTU. Ce point sera traité lors de la prochaine réunion

Prochaine réunion à organiser début décembre 2014.