

---

**ÉVALUER**  
LES TECHNOLOGIES DE SANTÉ

---

**RAPPORT**

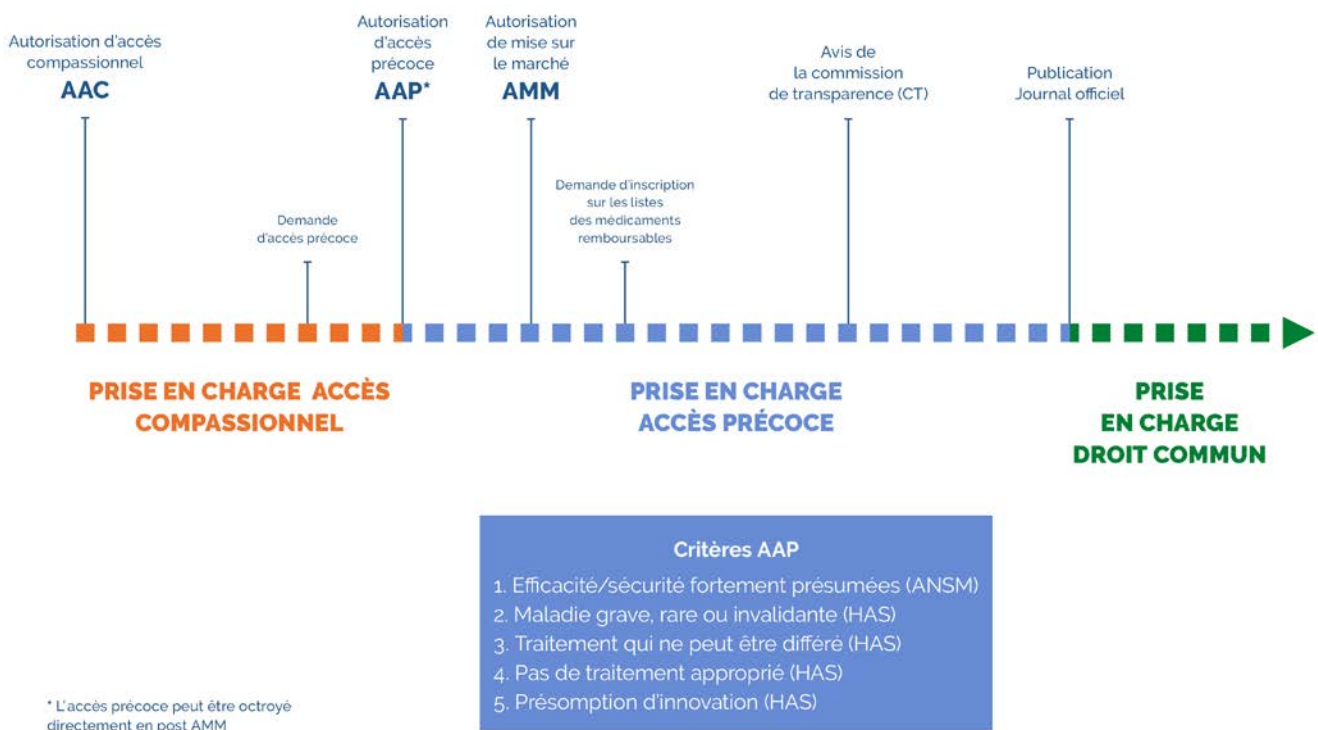
**Accès précoce des  
médicaments : un  
bilan positif après  
deux ans de mise  
en place du  
dispositif**

**11 octobre 2023**

---

Depuis le 1<sup>er</sup> juillet 2021, l'accès précoce aux médicaments présumés innovants est accordé par la Haute Autorité de santé (HAS). Pour les médicaments qui ne sont pas encore disponibles dans le cadre d'une autorisation de mise sur le marché (AMM), l'autorisation d'accès précoce (AAP) est délivrée après avis de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) relatif à leur présomption d'efficacité et de sécurité.

Les AAP concernent des médicaments présumés innovants qui répondent à des besoins thérapeutiques non couverts et pour des patients atteints de maladies graves, rares ou invalidantes, dont le traitement ne peut être différé. L'objectif est de permettre un accès rapide aux patients à des médicaments pour lesquels il n'y a pas d'alternative thérapeutique.



**Figure 1. Dispositifs de prise en charge dérogatoires, vers le droit commun [PEC : prise en charge ; AAC : autorisation d'accès compassionnel ; AAP : autorisation d'accès précoce ; CT : commission de la transparence ; JO : journal officiel]**

Deux ans après l'entrée en vigueur de cette réforme prévue par la loi de financement de la sécurité sociale pour 2021, la HAS, l'ANSM et le ministère de la Santé et de la Prévention dressent un bilan positif de ce dispositif et pointent des pistes d'amélioration.

Les données présentées dans ce rapport couvrent la période du 1<sup>er</sup> juillet 2021 au 30 juin 2023. L'extraction a été réalisée le 17 juillet 2023.

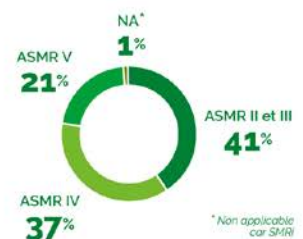
# Accès précoce aux médicaments : 180 décisions en deux ans

Entre 2021 et 2023, plus de **100 000 patients** en situation d'impasse thérapeutique ont bénéficié du nouveau dispositif d'accès précoce.

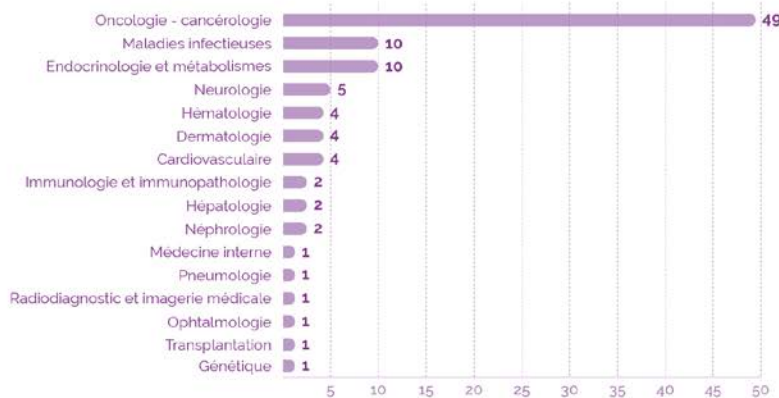
## 180 décisions d'accès précoce tous motifs confondus



## 125 décisions rendues pour les premières demandes



**49**  
décisions en oncologie - cancérologie



**77 jours**

Le délai médian d'instruction des premières demandes est de 77 jours, soit 13 jours de moins que fixé par la loi (90 jours)



**9 mois**

Les médicaments en accès précoce ont été autorisés et pris en charge en moyenne 9 mois (293 jours) avant leur inscription en droit commun.

Données du 01/07/2021 au 30/06/2023

# Sommaire

---

<b>Synthèse : chiffres clés des deux premières années de mise en œuvre</b>	<b>5</b>
<b>1. Un dispositif d'accès dérogatoire incitatif</b>	<b>6</b>
1.1. Près d'une centaine de rendez-vous prédépôts	6
1.2. Plus de 250 demandes déposées et 180 instructions réalisées tous motifs confondus	6
1.3. Plus de 160 demandes et 125 décisions de premières demandes d'accès précoce	8
1.4. Le recueil de données des accès précoces	10
<b>2. Les déterminants des refus d'AAP</b>	<b>11</b>
<b>3. Les délais d'évaluation et d'accès</b>	<b>12</b>
3.1. Délais d'évaluation inférieurs au délai réglementaire	12
3.2. Délai d'accès dans le cadre du dispositif général d'accès précoce pré-AMM	12
3.3. Délai d'accès dans le cadre du dispositif général d'accès précoce post-AMM	12
3.4. Délai d'accès précoce et droit commun	13
<b>4. Au regard des données disponibles des innovations avérées ou non</b>	<b>14</b>
<b>5. Les pistes d'amélioration envisagées</b>	<b>15</b>
<b>Abréviations et acronymes</b>	<b>17</b>

Ce document ainsi que sa référence bibliographique sont téléchargeables sur [www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr) 

Haute Autorité de santé – Service communication et information

5 avenue du Stade de France – 93218 SAINT-DENIS LA PLAINE CEDEX. Tél. : +33 (0)1 55 93 70 00

© Haute Autorité de santé – octobre 2023 – ISBN :

# Synthèse : chiffres clés des deux premières années de mise en œuvre

- **Un dispositif que les industriels sollicitent de plus en plus** : 250 demandes d'AAP déposées en 2 ans avec un volume qui s'accroît au fil du temps, près d'une centaine de rendez-vous pré-dépôt d'accompagnement des industriels réalisés conjointement par le service d'évaluation des médicaments de la HAS et par l'ANSM.
- **Sur la période on estime que le dispositif a bénéficié à plus de 100 000 patients en situation d'impasse thérapeutique.**
- **Un délai de décision plus rapide que le délai fixé par la loi** : alors que le délai réglementaire d'instruction des dossiers est fixé à 90 jours, dans l'objectif de permettre un accès rapide aux traitements présumés innovants, les délais médians d'évaluation constatés sont de 77 jours pour les premières demandes.
- **Un dispositif qui permet un accès pris en charge en amont du droit commun** : les médicaments ont été autorisés et pris en charge en moyenne 9 mois (293 jours) avant d'être inscrits sur les listes de remboursement à compter de leur obtention d'autorisation d'accès précoce.
- **Un outil pour accélérer l'accès des médicaments innovants** : les produits évalués dans le cadre du droit commun et apportant un progrès thérapeutique conséquent (ASMR<sup>1</sup> I (majeure) à III (modérée)) étaient, pour 80% d'entre eux, déjà disponibles en accès précoce.
- Concernant **les premières demandes d'accès précoce** :
  - Principalement dans le domaine de l'oncologie-hématologie ;
  - Près de 50% déposées par des laboratoires avec un CA 2021 remboursable supérieur à 100 M€ et 10% par des laboratoires avec CA 2021 remboursable inférieur à 10 M€ ;
  - Les associations de patients ont apporté une contribution écrite aux évaluations dans 50% des cas ;
  - 78% de décisions favorables (AAP) ;
  - Pour 14% des médicaments bénéficiant d'une autorisation d'accès précoce évalués par la commission de la transparence en vue de leur remboursement de droit commun, la commission ne disposait pas encore des données pour conclure sur la plus-value réelle du médicament.

---

<sup>1</sup> L'amélioration du service médical rendu (ASMR) est une évaluation du progrès thérapeutique (ou diagnostique) apporté par le médicament, notamment en termes d'efficacité ou de tolérance par rapport aux alternatives existantes. Elle mesure la valeur médicale ajoutée du médicament par rapport à l'existant : là encore, cette appréciation est un instantané dans un environnement potentiellement évolutif. Elle peut être qualifiée de majeure (ASMR I), importante (ASMR II), modérée (ASMR III), mineure (ASMR IV) ou inexistante (ASMR V), ce dernier qualificatif correspondant à une absence de progrès thérapeutique. L'ASMR permet notamment de définir le cadre de la négociation du prix du médicament évalué.

# 1. Un dispositif d'accès dérogatoire incitatif

## 1.1. Près d'une centaine de rendez-vous pré-dépôts

En amont des demandes d'autorisation d'accès précoce pré-AMM, les industriels peuvent solliciter un rendez-vous pré-dépôt.

Ces rendez-vous pré-dépôt avec l'industriel se déroulent conjointement avec les services de la HAS et de l'ANSM. Ils ne sont pas obligatoires, mais fortement encouragés dans l'objectif de discuter de l'éligibilité de la demande au regard des critères de l'accès précoce, du contenu du dossier à déposer, du calendrier de dépôt et notamment du type de données à recueillir dans le protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD) au regard des préconisations du guide de dépôt.

L'objectif de ces rendez-vous est de permettre aux laboratoires d'anticiper au mieux l'évaluation de l'ANSM et la décision de la HAS, ainsi que le choix des données à recueillir dans le cadre du PUT-RD afin de répondre aux attentes des deux agences.

Près d'une centaine de rendez-vous pré-dépôt ont été demandés, dans 90 cas ces rendez-vous ont abouti à un dépôt de dossier.

## 1.2. Plus de 250 demandes déposées et 180 instructions réalisées tous motifs confondus

En 24 mois, **253 demandes ont été déposées (tous motifs confondus)**.

Les motifs de dépôt des industriels sont de plusieurs ordres :

- demande d'autorisation d'accès précoce pré-AMM ou post-AMM ;
- demande de renouvellement d'une autorisation d'accès précoce pré-AMM ou post-AMM avec le dépôt notamment des rapports de synthèse selon la périodicité de soumission définie ;
- dépôt de nouvelles données (résultats d'études cliniques, avis du CHMP, rapports de synthèse en dehors des renouvellements...) ;
- demande de continuité de prise en charge à la suite de l'obtention d'une AMM pour un médicament bénéficiant d'une autorisation d'accès précoce pré-AMM ;
- demande de retrait d'une autorisation d'accès précoce pré- ou post-AMM.

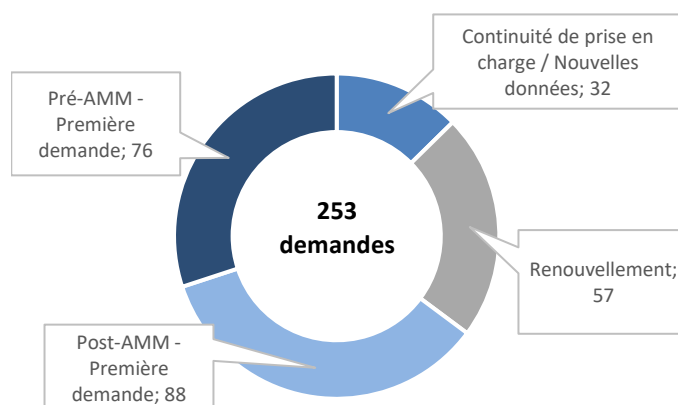


Figure 2. Répartition par motif des demandes déposées sur les 24 mois d'analyse

Sur la période étudiée, il n'y a eu aucune demande de la part des laboratoires de retrait d'autorisation d'accès précoce en cours.

La tendance des demandes, tous motifs confondus, est croissante depuis la réforme, de l'ordre de 10% par trimestre.

Notons que la part des renouvellements s'accroît, représentant plus de 40% des demandes de 2023.

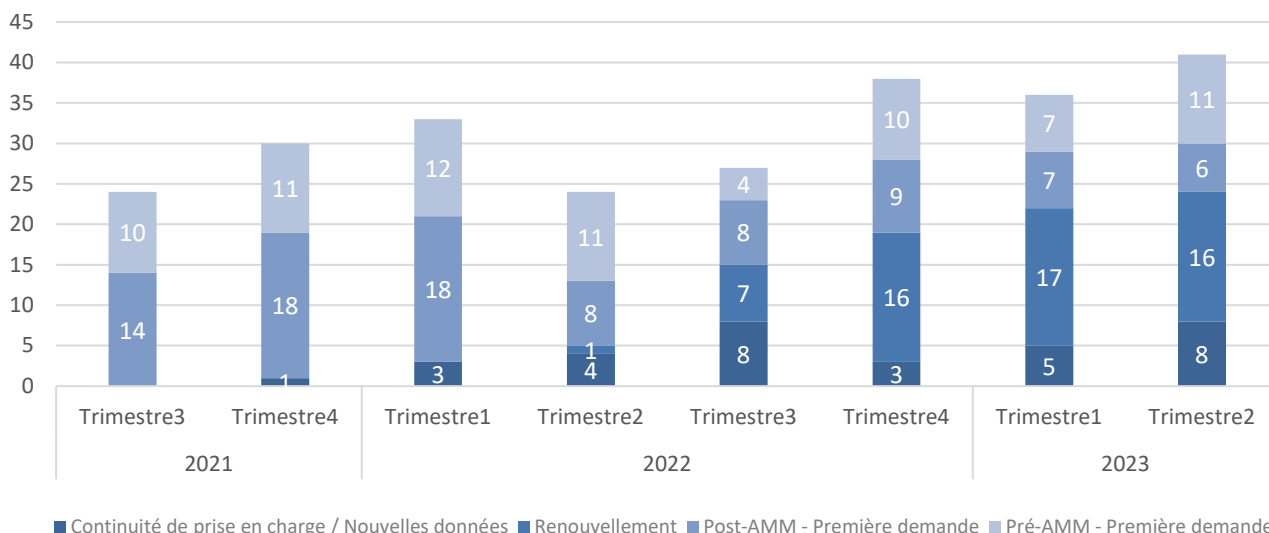


Figure 3. Répartition par trimestre des demandes déposées sur les 24 mois d'analyse

A la suite de ces demandes (tous motifs confondus), une instruction est réalisée par la HAS. Elle a abouti dans la période considérée pour 180 demandes.

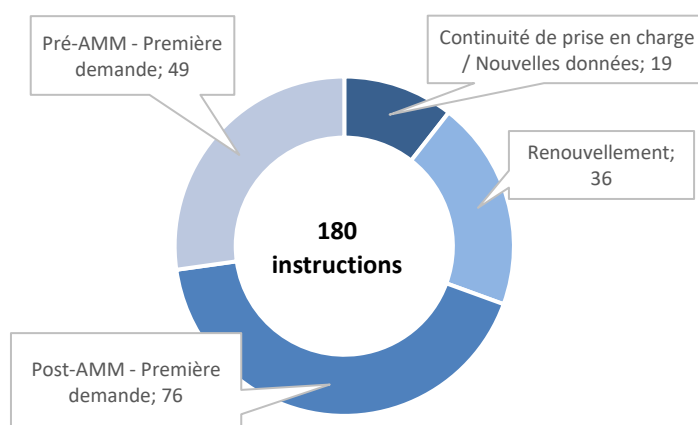


Figure 4. Répartition par motifs des 180 demandes instruites sur les 24 mois d'analyse

En sus de ces 180 instructions, 20 demandes ont été abandonnées en cours d'instruction à l'initiative des laboratoires, davantage en pré-AMM qu'en post-AMM (14 vs 6) notamment en raison de l'absence de réponses des laboratoires à des questions précises dans les délais imposés. Dans près de la moitié des cas les laboratoires ont redéposé un dossier complet ultérieurement.

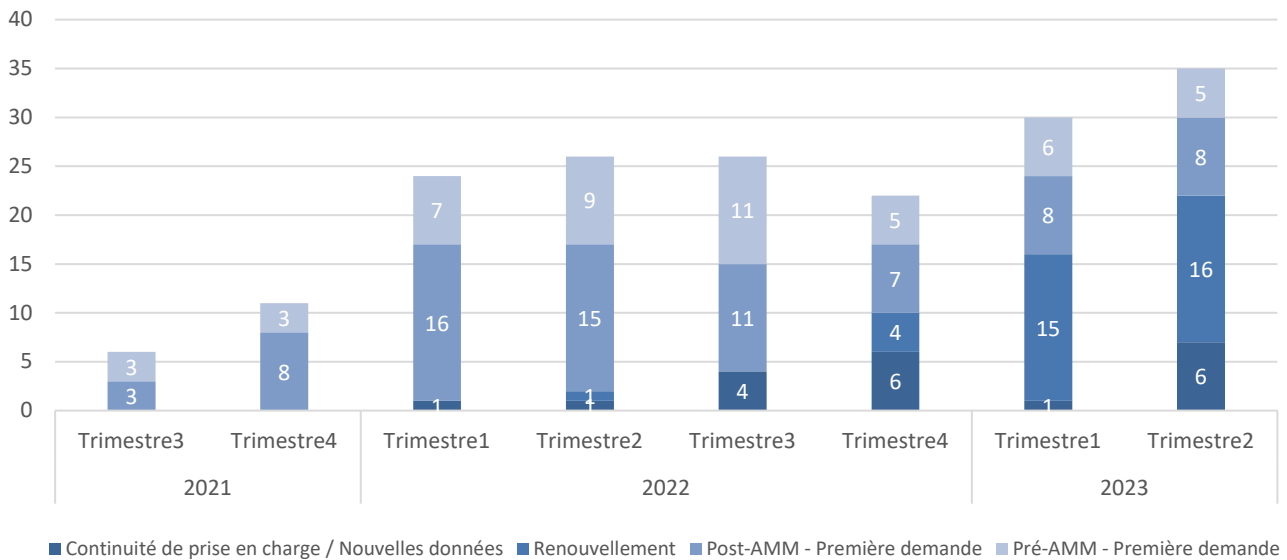


Figure 5. Répartition par trimestre des 180 demandes instruites

Durant cette période de 24 mois, le Collège de la HAS a octroyé le renouvellement de 35 autorisations d'accès précoce (dont 1 pré-AMM).

Depuis juillet 2021, les associations de patients et groupes d'utilisateurs du système de santé peuvent contribuer à l'évaluation des médicaments en vue d'une autorisation d'accès précoce. Ainsi, les 1ères demandes d'autorisation d'accès précoce et les demandes de renouvellements d'autorisation d'accès précoce sont ouvertes à contribution. Sur les 160 décisions rendues dans le cadre d'une 1ère demande d'AP ou de renouvellement d'AAP, 71 ont été alimentées par la contribution écrite d'au moins une association de patients/partie prenante et 22 par au moins une audition d'association de patients/partie prenante par la commission de la transparence.

### 1.3. Plus de 160 demandes et 125 décisions de premières demandes d'accès précoce

Concernant spécifiquement les premières demandes d'accès précoce par les industriels, sur ces 24 mois :

- **164 premières demandes d'autorisation d'accès précoce (76 pré-AMM et 88 post-AMM, soit légèrement moins de la moitié en amont de l'AMM) ont été déposées** par les laboratoires pharmaceutiques ;
- Les demandes concernaient majoritairement le domaine de l'oncologie-hématologie ;
- Le dispositif est incitatif pour tout type d'industriel (30% de laboratoires avec un chiffre d'affaires (CA) remboursable 2021 < 10 M€ ou non connu).



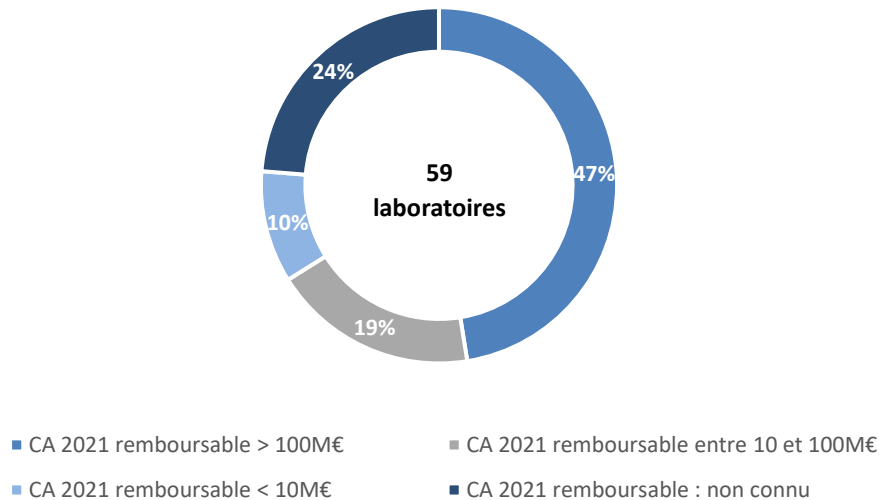


Figure 6. Répartition des laboratoires ayant déposé une première demande d'autorisation d'accès précoce selon leur chiffre d'affaires (CA) remboursable 2021 (n=59)

Les laboratoires avec un chiffre d'affaires (CA) remboursable 2021 supérieur à 100 M€ représentent près de 50% des dépôts de premières demandes et ceux avec un CA 2021 remboursable < 10 M€ représentent 10%.

Au total, **125 décisions** avaient déjà été rendues par la HAS au 1<sup>er</sup> juillet 2023 sur ces demandes (49 pré-AMM et 76 post-AMM), aboutissant dans 78% des cas (n=98/125) à une autorisation d'accès précoce.

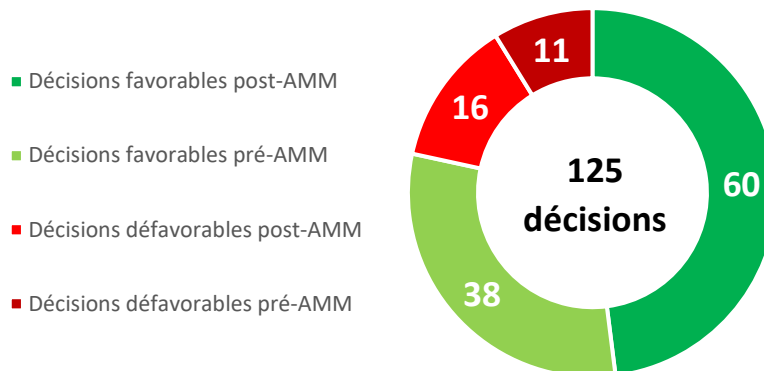


Figure 7. Répartition des décisions relatives aux 1ères demandes d'accès précoce

Les décisions concernent majoritairement le domaine de l'oncologie-hématologie.

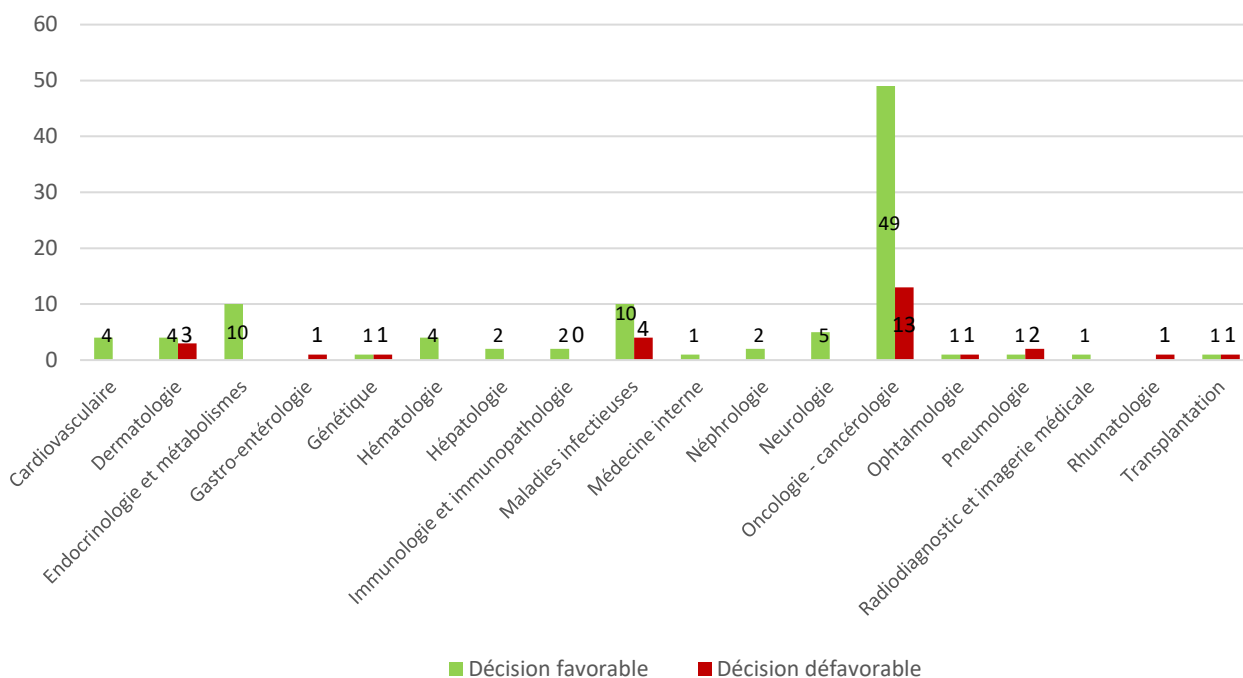


Figure 8. Répartition par aire thérapeutique des décisions (n = 125) relatives aux premières demandes d'accès précoce

## 1.4. Le recueil de données des accès précoces

Depuis le 1<sup>er</sup> juillet 2021, 98 protocoles d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD) ont été validés et publiés par la [HAS](#), dont 40% (n=39/98) pour des accès précoces pré-AMM.

Le recueil des données d'efficacité est réalisé via des fiches de suivi des patients pour 52 PUT-RD, avec un auto-questionnaire à remplir par le patient (*Patient Reported Outcome*) pour 32 PUT-RD. Le recueil de données a été adossé à un registre pour six accès précoces (registre national DESCAR-T).

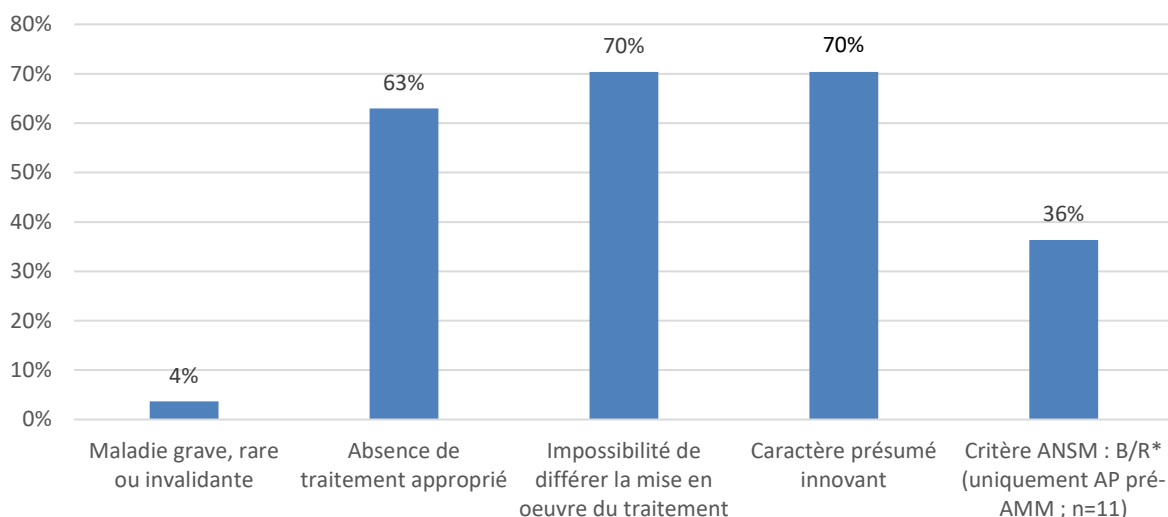
Au 1<sup>er</sup> juillet 2023, 67 rapports de synthèse ont été reçus et les résumés de ces rapports de synthèse sont publiés sur le site de la HAS.

## 2. Les déterminants des refus d'AAP

Au total, le Collège de la HAS a émis 27 refus d'autorisation d'accès précoce (11 refus concernaient une première demande d'autorisation d'accès précoce pré-AMM, 16 une première demande d'autorisation d'accès post-AMM).

Les critères d'éligibilité non remplis ont été (plusieurs critères peuvent être non remplis pour une seule décision) :

- Le médicament doit être destiné à traiter une maladie grave, rare ou invalidante pour 1 décision ;
- L'absence de traitement approprié pour 17 décisions ;
- L'impossibilité de différer la mise en œuvre du traitement pour 19 décisions ;
- Le caractère présumé innovant pour 19 décisions ;
- Pour les demandes d'autorisation d'accès précoce pré-AMM, l'ANSM n'a pas pu attester d'une forte présomption d'efficacité et de sécurité pour 4 des 11 spécialités ayant fait l'objet d'un refus pour diverses raisons (notamment existence de biais méthodologiques majeurs relevés dans le cadre de l'étude soumise qui compromettaient la fiabilité des résultats, ...).



\* B/R : Rapport bénéfices / risques

Figure 9. Refus d'autorisation d'accès précoce (n=27 premières demandes) : critères d'éligibilité non remplis (plusieurs critères possibles pour un même refus)

## 3. Les délais d'évaluation et d'accès

Le délai réglementaire pour rendre une décision après réception du dossier complet est de 90 jours, dans l'objectif de permettre [un accès rapide aux traitements présumés](#).

Les textes permettent à la HAS d'allonger le délai à 4 mois en cas de nombre élevé de demandes. Malgré la demande nombre croissante de dépôts, l'ANSM et la HAS se sont à ce jour toujours organisées pour ne pas avoir recours à cet allongement en priorisant cette activité.

**Les délais présentés dans cette partie ne concernent que les premières demandes d'accès précoce.**

### 3.1. Délais d'évaluation inférieurs au délai réglementaire

Le délai d'évaluation jusqu'à la décision du Collège de la HAS est inférieur au délai réglementaire, avec un délai médian de 77 jours<sup>2</sup> quelle que soit l'issue de la décision (octroi ou refus d'accès précoce).

### 3.2. Délai d'accès dans le cadre du dispositif général d'accès précoce pré-AMM

Le dispositif d'accès précoce pré-AMM permet l'accès des patients aux médicaments présumés innovants en amont de l'obtention de l'AMM.

76% des dossiers de premières demandes pré-AMM faisaient l'objet d'une demande d'AMM parallèle. En médiane, le médicament est autorisé 91 jours avant l'obtention de l'AMM<sup>3</sup>.

### 3.3. Délai d'accès dans le cadre du dispositif général d'accès précoce post-AMM

Le dispositif d'accès précoce post-AMM, permet quant à lui une mise à disposition du médicament avant la période de négociation de prix entre l'industriel et le CEPS, et la publication au Journal Officiel signifiant le remboursement de droit commun.

Les industriels dont le médicament dispose d'une AMM déposent leurs demandes d'accès précoce en médiane 47 jours après leur AMM et la décision favorable est rendue en 112 jours en médiane après l'obtention de l'AMM<sup>4</sup>.

---

<sup>2</sup> Hors périodes de suspension de l'évaluation.

<sup>3</sup> 30 spécialités avaient obtenu une AMM parmi les 38 spécialités ayant bénéficié du dispositif d'accès précoce pré-AMM (décision favorable du Collège de la HAS dans le cadre d'une 1<sup>ère</sup> demande) au 1<sup>er</sup> juillet 2023.

<sup>4</sup> Au 1<sup>er</sup> juillet 2023, 60 spécialités avaient obtenu une décision favorable du collège de la HAS sur les 76 demandes d'accès précoce post-AMM évaluées.

### **3.4. Délai d'accès précoce et droit commun**

En considérant l'ensemble des produits ayant fait l'objet d'un octroi d'accès précoce pour la période considérée et ayant été inscrits sur les listes de remboursement à la suite de leur évaluation dans le cadre du droit commun au 1<sup>er</sup> juillet 2023, les médicaments ont été disponibles en moyenne 9 mois (293 jours) avant d'être inscrits sur les listes de remboursement à compter de leur obtention d'autorisation d'accès précoce.

Les médicaments encore en accès précoce au 1<sup>er</sup> juillet 2023 l'étaient en moyenne depuis 312 jours.

## 4. Au regard des données disponibles des innovations avérées ou non

Les spécialités ayant bénéficié d'une décision (favorable ou défavorable) relative à leur première demande d'autorisation d'accès précoce (n=125) ont été dans 82 % (n=102/125) des cas également évaluées par la commission de la transparence dans le cadre du droit commun.

Au total, sur ces 102 médicaments, 86 avaient fait l'objet d'une autorisation d'accès précoce (décision favorable). Parmi ces 86 médicaments :

- La commission de la transparence a octroyé au moins une ASMR II-III dans 41 % des cas (n=35/86), une ASMR IV dans 37% (n=32/86), une ASMR V dans 21% (n=18/86) et un SMR insuffisant dans 1 cas (n=1/86).
- La commission a considéré que le « pari » de l'accès précoce n'était pas levé en droit commun dans près de 14% (n=12/86) des cas. La CT a attribué une ASMR V avec une demande de réévaluation programmée dans l'attente des données confirmatoires afin de lever les incertitudes dans le cadre d'un plan de développement en cours jugé adapté par la CT.

Les produits évalués dans le cadre du droit commun au 1<sup>er</sup> semestre 2023<sup>5</sup> et apportant un progrès thérapeutique conséquent (ASMR<sup>6</sup> I (majeure) à III (modérée)) étaient, pour 80% d'entre eux, déjà disponibles en accès précoce.

Parmi les médicaments s'étant vu refuser une autorisation d'accès (n=16), la commission de la transparence a octroyé un SMR « insuffisant » dans le cadre du droit commun dans l'entièreté de l'indication dans 31 % des cas (n=5/16) et un SMR suffisant avec une ASMR IV dans 25 % des cas (n=4/16) et avec une ASMR V dans 44 % des cas (n=7/16).

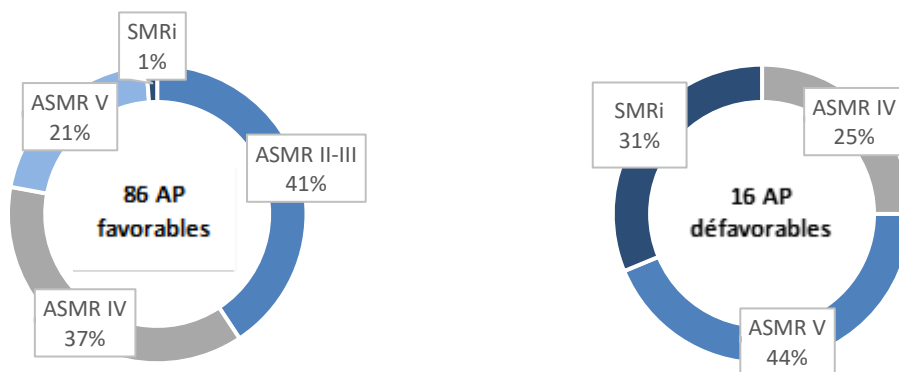


Figure 10. Répartition des ASMR des premières demandes d'AP ayant fait l'objet d'un avis de droit commun sur la période d'analyse

<sup>5</sup> Avis de la Commission rendus entre le 01/01/2023 et le 30/06/2023 (n=11).

<sup>6</sup> L'amélioration du service médical rendu (ASMR) est une évaluation du progrès thérapeutique (ou diagnostique) apporté par le médicament, notamment en termes d'efficacité ou de tolérance par rapport aux alternatives existantes. Elle mesure la valeur médicale ajoutée du médicament par rapport à l'existant : là encore, cette appréciation est un instantané dans un environnement potentiellement évolutif. Elle peut être qualifiée de majeure (ASMR I), importante (ASMR II), modérée (ASMR III), mineure (ASMR IV) ou inexistante (ASMR V), ce dernier qualificatif correspondant à une absence de progrès thérapeutique. L'ASMR permet notamment de définir le cadre de la négociation du prix du médicament évalué. Son appréciation repose sur les éléments détaillés ci-dessous.

## 5. Les pistes d'amélioration envisagées

Le bilan de ces deux premières années d'accès précoce aux médicaments est très positif avec une coordination de deux institutions (ANSM/HAS) qui fonctionne dans des délais encadrés réglementairement. Ce dispositif a permis une mise à disposition rapide des médicaments pour plus de 100 000 patients en situation d'impasse thérapeutique.

Cependant, des points de vigilance existent qui conduisent à réfléchir à des évolutions.

### Réflexions sur les conditions du "pari" de l'accès précoce

Aux USA, où des procédures accélérées sont en place depuis plus de 30 ans, la Food and Drug Administration (FDA) a décidé de faire évoluer ses recommandations aux industriels en 2023<sup>7</sup>. Ces recommandations visent à mieux encadrer ces procédures accélérées, lesquelles font l'objet de plusieurs limites<sup>8</sup> : les patients ciblés ne sont pas nécessairement en impasse thérapeutique (des alternatives existent), alors qu'il s'agit d'une condition importante pour justifier la procédure accélérée. Les données cliniques présentées à la FDA sont fréquemment de faible qualité méthodologique<sup>9</sup>, il s'agit donc souvent d'un pari pris sur données « immatures ». Face à ces écueils, la FDA a décidé de rappeler aux industriels la nécessité de fournir des données cliniques de bonne qualité méthodologique, c'est-à-dire susceptibles de lever les incertitudes sur l'intérêt thérapeutique des produits concernés, chaque fois si possible, sur la base d'études comparatives et randomisées. Ces données devront être disponibles rapidement, selon un calendrier déterminé en concertation avec la FDA. En cas de non-respect, des sanctions sont envisagées.

En France, et au regard de l'expérience américaine, il apparaît nécessaire de minimiser la prise de risque liée à la disponibilité de résultats préliminaires encourageants, présumant d'une innovation, mais sans que la démonstration d'un bénéfice clinique ne soit véritablement établie. Le profil de tolérance des médicaments concernés étant généralement mal cerné, l'application d'un principe de précaution dans l'intérêt des patients prend tout son sens.

C'est pourquoi la HAS rappelle l'importance du plan de développement clinique disponible au moment de la demande dans les procédures d'accès précoce. Ce plan de développement doit prévoir, au moment du pari, la mise à disposition de données solides établissant à terme la place dans la stratégie thérapeutique du produit concerné, comme dans le cadre des procédures de droit commun.

<sup>7</sup> Clinical Trial Considerations to Support Accelerated Approval of Oncology. Therapeutics Guidance for Industry. DRAFT GUIDANCE. U.S. Department of Health and Human Services Food and Drug Administration Oncology Center of Excellence (OCE) Center for Drug Evaluation and Research (CDER) Center for Biologics Evaluation and Research (CBER). March 2023

<sup>8</sup> Gyawali B, Kesselheim A S, Ross J S, The Accelerated Approval Program for Cancer Drugs. Finding the Right Balance. N Engl J Med 2024;389:11 nejm.org. p968-971.

Madhusoodanan J. How a controversial US drug policy could be harming cancer patients worldwide. The FDA's accelerated-approval process was designed to help people access life-saving drugs. But gaps in communication could mean that people are undergoing treatments known to be ineffective. Nature 2023;620(7973):264-267.

Companies not meeting confirmatory trial requirements following accelerated approval in U.S. - FDA commissioner Califf. APM International. 18/10/2022

Fashoyin-Aje L, Mehta G, Beaver J, Pazdur R. The On- and Off-Ramps of Oncology Accelerated Approval. N Engl J Med 2022;87:1430-1442.

HTA bodies and regulators facing 'enormous amount of garbage in clinical trials' for cancer, says researcher. APM International 08/11/2021

Gyawali B, Rome B, Kesselheim A. Regulatory and clinical consequences of negative confirmatory trials of accelerated approval cancer drugs: retrospective observational study. BMJ 2021;374:n1959

Schnog, JJ.B., Samson, M.J., Gans, R.O.B. et al. An urgent call to raise the bar in oncology. Br J Cancer 2021;125:1477-1485. <https://doi.org/10.1038/s41416-021-01495-7>

<sup>9</sup> Absence de groupe contrôle, critère(s) de jugement non corrélé à un bénéfice clinique, bénéfice inconnu en termes de morbi-mortalité ou de qualité de vie ...

## Maintien de l'accès des patients aux médicaments présumés innovants avec incertitude

Dès lors qu'il s'agit de recommander le remboursement d'un nouveau traitement, la commission continuera à émettre des avis scientifiques et à exiger une méthodologie rigoureuse, indiquant le cas échéant quand elle estimera que les données ne sont pas suffisantes pour donner un éclairage complet. Dans cette optique, la nouvelle doctrine reconnaît que les ASMR V peuvent correspondre à plusieurs types de situations, notamment celle où l'absence de valeur ajoutée est avérée et celle où aucune amélioration ne peut être reconnue à ce stade, sachant qu'un plan de développement adapté en cours, avec un calendrier défini, permettrait de démontrer la valeur ajoutée du médicament. Dans ce dernier cas, une mesure concernant la prise en charge temporaire de ces traitements est proposée par le gouvernement. Elle sera discutée cet automne dans le cadre du projet de loi de financement de la sécurité sociale (PLFSS) pour 2024.

## Optimisation des procédures pour le rendu des décisions

Des gains d'efficacité dans l'organisation interne de la HAS sont également en cours de réflexion : recours à davantage de délégations du Collège au président de la HAS sur avis conforme de la Commission de la Transparence ou encore renouvellements tacites sous certaines conditions.

## Optimisation du recueil des données

Depuis le lancement de la réforme des accès précoces, la HAS travaille de façon continue à l'optimisation et à la simplification du recueil de données dans les accès précoces qui posent de nombreuses difficultés au sein des établissements de santé :

- Lancement en 2022 d'un appel à recensement des sources de données existantes pour limiter les doublons de saisie des données par les prescripteurs ;
- Mise en ligne sur le site web de la HAS du [tableau des PUT-RD](#) pour favoriser la transparence, la standardisation et l'accès aux plateformes ;
- Accompagnement des porteurs de projets sur le sujet des accès précoces, renforcé notamment par la création d'une cellule de coordination des données en vie réelle au sein de la HAS ;
- Collaboration avec la Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR) autour d'un set de données minimum pour les traitements indiqués dans les maladies rares, décliné en juillet 2023 sous la forme d'un [PUT-RD adapté au recueil de données via BaMaRa](#) (fruit d'une concertation nationale incluant la HAS, l'ANSM, la DGOS, les Filières de Santé Maladies Rares (FSMR) ainsi que les industriels du médicament et leurs partenaires) ;
- Un [nouveau modèle de PUT-RD](#) a également été publié en avril 2023 avec des simplifications à la clé, issues de l'expérience acquise de la validation des PUT-RD depuis le début de la réforme.



# Abréviations et acronymes

---

AAP	Autorisation d'accès précoce
AMM	Autorisation de mise sur le marché
ANSM	Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé
AP	Accès précoce
ASMR	Amélioration du service médical rendu
B/R	Bénéfice Risque
CA	Chiffre d'affaires
CT	Commission de la transparence
FDA	Food and Drug Administration
HAS	Haute Autorité de santé
PUT-RD	Protocole d'utilisation et de recueil de données
SMR	Service médical rendu

---

Retrouvez tous nos travaux sur  
[www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr)

---

