

## **Progresser dans l'accès à des soins innovants et personnalisés**

### **De nouveaux enjeux dans l'accès à l'innovation, des thérapies personnalisées**

**L'enjeu de cette table ronde, animée par Damien Mascret, portait sur l'identification et le développement des molécules anticancéreuses, les tests prédictifs ainsi que de manière plus générale, sur les contraintes et moyens d'accès à l'innovation.**

Marie Lanta, membre du Comité des patients de la Ligue nationale contre le cancer, a ouvert la table ronde en expliquant son travail « depuis 12 ans, on relit les protocoles d'essais cliniques, ce qui permet d'améliorer l'information donnée aux patients, notamment dans la lettre qui lui est remise. Ainsi, le patient peut, après sa rencontre avec le médecin investigateur, relire chez lui la lettre d'information et faire son choix », en précisant « on tient les délais de relecture, on ne pénalise pas le démarrage des essais ». Marie Lanta est revenue sur le fait qu'il fallait distinguer deux profils de patients dans l'accès aux essais cliniques : les patients à qui l'on propose de rentrer dans un essai clinique et les patients en situation métastatique à la recherche de molécules innovantes. Marie Lanta a expliqué qu'il fallait dans ce dernier cas, comprendre le système d'ATU (autorisation temporaire d'utilisation) ainsi que les conditions d'inclusion, données parfois difficiles à intégrer pour le patient.

Fabienne Bartoli, adjointe du directeur général de l'Afssaps, est revenue sur les conditions d'accès à ces molécules innovantes et sur les mécanismes d'accès à l'innovation. Parmi ces derniers, l'autorisation temporaire d'utilisation (ATU) qui permet d'accéder à des molécules innovantes dans les conditions assurant le plus de sécurité possible avant l'autorisation de mise sur le marché officielle. Cette ATU peut être de deux types : l'ATU dite de cohorte (pour un groupe ou un sous-groupe de patients) ou l'ATU d'utilisation nominative.

Deuxième moyen d'accès à l'innovation, le protocole temporaire de traitement (PTT). Ce dispositif temporaire et évolutif permet de valider l'autorisation d'utilisation de médicaments inscrits sur la liste hors GHS en cancérologie en dehors de l'autorisation de mise sur le marché. Ces PTT sont définis dans le cadre du bon usage des médicaments et des dispositifs médicaux « hors GHS » par des référentiels de bon usage (RBU) élaborés conjointement par la HAS, l'INCa et l'Afssaps. Concernant les biomarqueurs, Fabienne Bartoli a rappelé que l'un des objectifs du Plan cancer était de permettre l'utilisation et le remboursement de ces tests de génétique moléculaire conjointement au médicament.

Dominique Amory, président des Laboratoires internationaux de recherche et de Lilly France, a indiqué que les industriels étaient satisfaits du système d'accès à l'innovation, en particulier pour le cancer. Il a souligné la complexification du développement des molécules, puisqu'il n'est pas toujours possible de pouvoir identifier rapidement les patients répondeurs. Pour Dominique Amory, la cancérologie fait figure de proue en matière de développement des thérapies ciblées et constitue de ce fait un enjeu très important.

Noël Renaudin, président du Comité économique des produits de santé, est revenu sur l'enjeu économique représenté par les thérapies ciblées. Pour Noël Renaudin, une question prévaut : est-ce que le médicament va apporter quelque chose de significativement avantageux pour un groupe de personnes ? « Si la réponse est oui, alors on le fait ». Noël Renaudin a précisé que l'un des enjeux était d'assurer la poursuite du financement du système, les ressources globales étant limitées. Il faut donc pour cela des outils de maîtrise des dépenses a indiqué Noël Renaudin tout en modérant « aujourd'hui, le problème est moins de savoir comme on va payer les médicaments que de les trouver ».

Plusieurs questions dans la salle suite à ces débats, dont une sur les biomarqueurs. Les participants à la table ronde ont expliqué que la recherche en génie moléculaire se faisait plus en amont et que de plus en plus de partenariats étaient noués en ce sens. Autre intervention sur les essais cliniques, notamment sur la qualité du consentement et la facilitation de la recherche académique. Marie Lanta a expliqué que la mesure 4.3 du Plan cancer 2009-2013 renforçait le rôle des comités de patients en matière de relecture des protocoles d'essais cliniques.