

Pour votre enfant

Accès précoce à un médicament avant autorisation de mise sur le marché

Mars 2023 – Mise à jour juin 2023

Votre médecin a proposé pour votre enfant, mineur¹, un médicament qui a reçu une autorisation d'accès précoce. Ce document a pour objectif de vous informer sur cette prescription et ce à quoi elle vous engage, vous et votre enfant. Il complète les informations de votre médecin et vous aidera à prendre une décision à propos de ce traitement.

Qu'est-ce qu'une autorisation d'accès précoce à un médicament avant autorisation de mise sur le marché ?

Des premières recherches jusqu'à la commercialisation, tout nouveau médicament doit franchir plusieurs étapes durant lesquelles il est évalué, dans une indication² donnée, pour savoir s'il est sûr et s'il apporte un réel bénéfice aux personnes malades.

Ce parcours, depuis le début de la recherche fondamentale jusqu'à l'autorisation de mise sur le marché et la décision de remboursement et de prix, prend plusieurs années (voir schéma ci-après).

Une autorisation d'accès précoce permet à des personnes qui en ont un besoin urgent de prendre un médicament sans attendre qu'il ait franchi les dernières étapes.

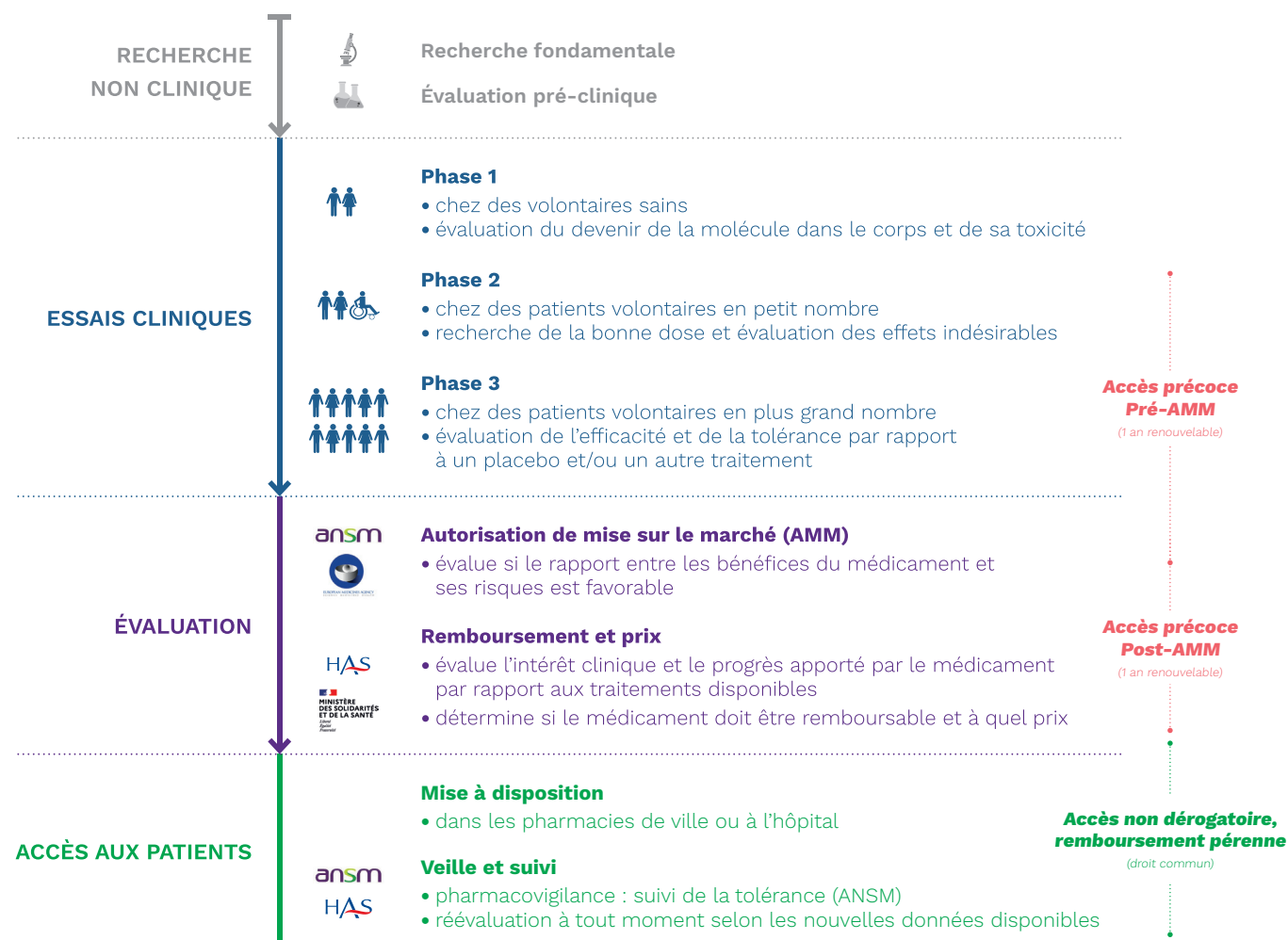
C'est une solution pour qu'une personne qui a une maladie grave, rare ou invalidante reçoive rapidement un médicament lorsqu'il n'existe pas d'autre traitement approprié pour elle et que son état de santé ne permet pas d'attendre.

Les médicaments prescrits en accès précoce sont présumés innovants, ils sont susceptibles d'apporter un changement positif important aux personnes qui le prennent. Il s'agit par exemple du premier médicament disponible pour soigner cette maladie ou d'une nouvelle façon de prendre un traitement (par exemple des comprimés plutôt qu'une perfusion).

1. Ce document s'adresse aux parents d'un enfant mineur, ou à la personne qui détient l'autorité parentale le cas échéant.

2. Une indication est la maladie ou les symptômes que le médicament est capable de traiter.

L'accès précoce dans le parcours du médicament



Cette prescription en accès précoce est dite dérogatoire, ce qui veut dire que c'est une autorisation exceptionnelle accordée en dehors des règles habituelles qui s'appliquent aux médicaments en général.

Toutefois, lorsqu'un traitement est autorisé en accès précoce, le laboratoire a déjà déposé ou s'est engagé à déposer une demande d'autorisation de mise sur le marché.

L'accès précoce va de pair avec le recueil obligatoire de données pour s'assurer que le médicament est sûr et efficace en conditions réelles d'utilisation. Ces données sont recueillies par le laboratoire pharmaceutique auprès des médecins qui prescrivent le médicament, des pharmaciens qui le dispensent et des enfants qui le prennent ou de leurs proches. Elles sont transmises de manière anonyme aux autorités de santé pour évaluer le médicament pendant l'accès précoce en vue de son autorisation de mise sur le marché et de son remboursement.

Les médicaments mis à disposition dans ce cadre sont intégralement pris en charge par l'Assurance maladie, sans avance de frais de votre part. Pour connaître les conditions de prise en charge d'autres frais éventuels, comme les déplacements et les hébergements, renseignez-vous auprès de l'équipe médicale qui suit votre enfant.

Le médicament que l'on propose à votre enfant est-il sûr ? Est-ce qu'il court des risques en le prenant ?

Même si ce traitement n'a pas encore été totalement évalué et que l'étape des essais cliniques est encore en cours, les premiers résultats des recherches³ ont conduit à estimer que l'efficacité et la sécurité de ce médicament étaient fortement présumées dans l'indication considérée.

3. Il s'agit de recherches impliquant la personne humaine à des fins commerciales auxquelles il a été procédé en vue de la demande d'autorisation de mise sur le marché.

Un médicament est efficace quand il a des effets bénéfiques pour les personnes qui le prennent.

Un médicament est sûr lorsqu'il est bien toléré et n'a pas d'effets indésirables trop importants. Les effets indésirables sont les conséquences inattendues et désagréables du traitement (douleurs, plaques rouges sur la peau, nausées, diarrhées, etc.).

Ainsi, il est très probable que les effets indésirables de ce médicament ne soient pas trop importants par rapport au bénéfice attendu.

Cependant, dans le cas d'un médicament disposant d'une autorisation d'accès précoce, on ne sait pas encore tout sur les effets indésirables et l'efficacité du médicament dans l'indication considérée. Par conséquent, les risques pris par le patient sont plus grands pour ce médicament que pour les médicaments déjà commercialisés.

Vous pouvez en parler avec le médecin qui suit votre enfant. N'hésitez pas à poser toutes vos questions. Il vous donnera des informations sur les bénéfices et effets attendus de ce médicament dans la situation de votre enfant, sur ses avantages, mais aussi sur les risques, les incertitudes ou les inconvénients (effets secondaires, contraintes, etc.).

Votre enfant a aussi le droit d'être informé d'une manière adaptée à son âge et ses capacités de compréhension. Le médecin et l'équipe ont le devoir de créer les meilleures conditions pour ce dialogue et de répondre à toutes les questions que votre enfant souhaite poser.

Vous pouvez noter ici ce qui est important pour vous (les questions que vous voulez poser à votre médecin, ce que vous ne voulez pas oublier de lui dire, etc.).

Voici les questions que certaines personnes ont posées à leur médecin :

- que signifie être obligé de recueillir des données ? (voir paragraphe « À quoi cela vous engage-t-il ? »)
- existe-t-il d'autres traitements disponibles pour mon enfant ?
- quelle différence avec un essai clinique ?

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

Vous êtes libre d'accepter ou de refuser la prescription de ce médicament. Votre enfant doit avoir été informé de façon adaptée.

Après avoir échangé avec le médecin qui suit votre enfant, c'est à vous de prendre la décision finale. Vous pouvez prendre le temps de réfléchir.

À tout moment, vous avez le droit de changer d'avis et de demander que votre enfant ne prenne plus ce médicament. Il faut alors en informer le médecin le plus tôt possible.

L'équipe qui suit votre enfant doit lui apporter la même qualité de soins, quelle que soit votre décision. Votre enfant ne sera pénalisé en aucun cas.

En pratique, comment votre enfant va-t-il recevoir ce médicament ?

La présentation d'un médicament et son utilisation varient d'un médicament à l'autre : en perfusion, en gélules ou comprimés à avaler, en injection, en inhalations, etc. Demandez des précisions à votre médecin ou reportez-vous à la notice du médicament dans sa boîte s'il y en a une ou au site Internet de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) – ansm.sante.fr

L'utilisation de ce médicament est très encadrée, très précise. Si votre enfant prend ce médicament à domicile, il est important :

- de respecter les préconisations qui vous ont été données pour le prendre et le conserver (certains médicaments doivent être conservés au réfrigérateur, sont à prendre à distance des repas, etc.) ;
- de demander des précisions sur le lieu où vous pourrez le trouver. Les médicaments en accès précoce ne sont pas disponibles dans les pharmacies de ville, mais seulement dans des hôpitaux. Au besoin, demandez à l'équipe qui suit votre enfant si le médicament peut être disponible dans un hôpital près de chez vous.

À quoi cela engage-t-il ? Quelles seront les contraintes ?

Comme il y a peu de recul sur le médicament qui est proposé pour votre enfant, son utilisation précoce est observée avec attention pour mieux l'évaluer et le connaître. Cette surveillance est décrite en détail dans le protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD) disponible sur le site Internet de la Haute Autorité de santé (HAS), de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) et du ministère chargé de la Santé (voir les adresses des sites dans la rubrique « Pour aller plus loin »).

Votre retour et celui de votre enfant sur ce traitement est essentiel. C'est pourquoi votre avis sur ce médicament et les effets qu'il a sur votre enfant sera recueilli de deux façons : à chaque visite avec le médecin qui suit votre enfant et entre les visites.

À chaque visite avec le médecin qui suit votre enfant

Le médecin va vous poser des questions sur la façon dont votre enfant prend ce médicament et rassembler des données à caractère personnel sur sa santé et ses habitudes de vie. Pour plus de détails sur les données à caractère personnel recueillies et vos droits, vous pouvez lire le document intitulé « Accès précoce à un médicament – Traitement des données à caractère personnel » (voir en fin de document la rubrique « Pour aller plus loin »).

Entre les visites

La qualité de vie en général avec le médicament est une information également très importante. Les impacts de la situation de santé avec le traitement sont-ils sensibles sur des domaines tels que la vie scolaire, familiale, les activités possibles, etc. ? Ces retours sont importants, vous ou votre enfant pouvez à tout moment les rapporter au médecin.

Par ailleurs, il est important que les effets indésirables du médicament, c'est-à-dire des conséquences inattendues et désagréables du traitement que votre enfant pourrait ressentir (maux de tête, nausées, diarrhées, etc.), soient tous portés à la connaissance du médecin.

La qualité de vie en général avec le médicament est une information également très importante. Les impacts de la situation de santé avec le traitement sont-ils sensibles sur des domaines tels que la vie scolaire, familiale, les activités possibles, etc. ? Ces retours sont importants, vous ou votre enfant pouvez à tout moment les rapporter au médecin.

En pratique

Si votre enfant ne se sent pas comme d'habitude ou en cas de symptôme nouveau ou inhabituel : parlez-en sans tarder au médecin qui le suit, à votre pharmacien ou à l'infirmier/ère.

Vous pouvez, en complément, déclarer les effets indésirables, en précisant qu'il s'agit d'un médicament en accès précoce, directement *via* le système national de déclaration – www.signalement-sante.gouv.fr

Partager l'expérience de ce traitement, permet de faire avancer les connaissances sur ce médicament, ce qui sera très utile dans la perspective de sa commercialisation éventuelle.

Lorsque l'on prescrit un médicament dans le cadre d'un accès précoce, votre enfant n'entre pas dans un essai clinique. L'objectif principal est de le soigner et non de tester le médicament. Il n'y aura donc pas à faire d'examen supplémentaires en plus de ceux prévus dans la prise en charge habituelle.

Combien de temps dure une autorisation d'accès précoce à un médicament ?

Une autorisation d'accès précoce est toujours temporaire.

L'autorisation d'accès précoce à un médicament avant son autorisation de mise sur le marché est délivrée pour une durée d'un an, renouvelable tous les ans jusqu'à sa prise en charge financière pérenne par l'Assurance maladie, sauf si l'autorisation est retirée ou suspendue.

Elle peut être retirée ou suspendue dans des cas très particuliers, en fonction des nouvelles données, à la demande du laboratoire pharmaceutique ou des autorités de santé (pour plus d'informations sur ces retraits ou suspensions, reportez-vous au guide intitulé « [Accès précoce des médicaments : accompagnement des laboratoires](#) » disponible sur le site de la Haute Autorité de santé.

Que se passe-t-il si l'autorisation est suspendue ou retirée ?

Dans le cas où l'autorisation d'accès précoce du médicament de votre enfant serait retirée ou suspendue alors qu'il lui apporte des bénéfices, son médecin pourra quand même continuer à le lui prescrire, si vous le souhaitez, pendant un an maximum à compter de la date de l'arrêté du ministre en charge de la Santé qui acte la fin de sa prise en charge financière par l'Assurance maladie.

Toutefois, ceci n'est pas possible si de nouvelles informations montrent que le médicament n'est pas assez sûr.

Traitement des données à caractère personnel

Le traitement par un médicament prescrit dans le cadre d'un accès précoce implique le recueil de données à caractère personnel concernant la santé de votre enfant.

Vous trouverez des informations relatives à vos droits et ceux de votre enfant dans le document intitulé « [Pour votre enfant – Accès précoce à un médicament – Traitement des données à caractère personnel](#) » disponible sur le site Internet de la HAS, espace usagers ou *via* ce QR code.



i Pour aller plus loin