

SOMMAIRE

PARIS - NANTES - LYON
MONTPELLIER – LILLE - NICE

Bureaux intégrés

AIX-EN-PROVENCE
BLOIS - BORDEAUX
CLERMONT-FERRAND
LE HAVRE - MARSEILLE - METZ
NANCY - NICE - ROUEN - TOURS

Réseau SIMON Avocats

ALGÉRIE - ARGENTINE
ARMÉNIE - AZERBAÏDJAN
BAHAMAS - BAHREÏN
BANGLADESH - BELGIQUE
BIRMANIE - BOLIVIE - BRÉSIL
BULGARIE - CAMBODGE
CAMEROUN - CHILI - CHINE
CHYPRE - COLOMBIE
COREE DU SUD - COSTA RICA
CÔTE D'IVOIRE - ÉGYPTÉ
EL SALVADOR
ÉMIRATS ARABES UNIS
ESTONIE - ÉTATS-UNIS - GRECE
GUATEMALA - HONDURAS
HONGRIE - ÎLE MAURICE
ÎLES VIERGES BRITANNIQUES
INDE - INDONÉSIE - IRAN
ITALIE - KAZAKHSTAN
KOWEÏT - LUXEMBOURG
MADAGASCAR - MALTE
MAROC - MEXIQUE - NICARAGUA
OMAN - PANAMA - PARAGUAY
PÉROU - PORTUGAL - QATAR
RD CONGO - RÉPUBLIQUE
DOMINICAINE - SENEGAL
SINGAPOUR - SUISSE - THAÏLANDE
TUNISIE - URUGUAY
VENEZUELA - VIETNAM
ZIMBABWE

Conventions transnationales

www.simonassociés.com

L'actualité juridique et économique des acteurs de la santé et des sciences de la vie par Simon Associés orientée sur les dernières évolutions autour de la e-santé (I), qui poursuit son essor, particulièrement mise en avant depuis le début de la pandémie ainsi que sur les questions de fixation du prix et d'accès au marché des médicaments (II), fidèlement au cœur d'intervention du département Santé et Sciences de la vie.

I. <u>Les dernières évolutions autour de la e-santé</u>	
1) Santé 2022 : l'Institut Montaigne encourage le développement de la filière e-santé	p. 2
2) Le Gouvernement rétropédale sur la demande d'autorisation CNIL du Health Data Hub	p. 3
3) Tentative d'harmonisation européenne de l'évaluation des technologies de la santé	p. 4
4) La mise en service tant attendue du système d'information sur les essais cliniques (CTIS)	p. 5
II. <u>Les questions de fixation du prix et d'accès au marché des médicaments</u>	
1) Fixation du taux des remises dites « exonératoires » de la clause de sauvegarde	p. 6
2) Le mécanisme du prix maximal de vente des médicaments aux hôpitaux sous l'œil de la CJUE	p. 7
3) La réforme de l'accès dérogatoire des médicaments pleinement opérationnelle	p. 8
4) L'Agence européenne des médicaments obtient de nouvelles compétences en matière de gestion de crise sanitaire	p. 9

I. LES DERNIERES EVOLUTIONS AUTOUR DE LA E-SANTE

1) Santé 2022 : l'Institut Montaigne encourage le développement de la filière e-santé

Faisant le bilan de la crise sanitaire, qui a bouleversé notre rapport à la santé, l'Institut Montaigne - think tank - propose des pistes de réflexion et d'actions pour les politiques de santé de demain. Il identifie 4 priorités : impliquer les patients, faire le pari de l'innovation, repenser la gouvernance en santé et repenser les politiques de prévention face aux deux défis majeurs : la santé mentale et le bien-vieillir.

Une préoccupation majeure apparaît en filigrane de ce rapport : l'innovation doit être au cœur de notre système de santé et passer par le développement de la e-santé.

Voici en bref ce qui a retenu notre attention :

- Un parcours de soins plus lisible

L'Institut Montaigne formule tout d'abord des propositions visant à construire un **parcours de soins plus lisible**. Faisant le constat d'un parcours de soins aux multiples interlocuteurs et d'une perte d'information entre ceux-ci, entraînant des erreurs et des coûts, le numérique est perçu comme la véritable colonne vertébrale du parcours de santé de demain. En effet, une meilleure transmission des données entre acteurs est synonyme de meilleure prise en charge et de gain de temps considérable.

L'accent est notamment mis sur la systématisation de l'enseignement de la e-santé dans les cursus médicaux et paramédicaux ; ainsi que sur la sensibilisation des professionnels de santé à l'importance du partage et de la prise d'informations par l'ensemble des acteurs de santé.

- Le pari de l'innovation

S'agissant de l'innovation à proprement parler, le premier chantier identifié **est celui de la**

filière e-santé française qui doit être développée, en mettant les données au cœur du numérique en santé. Celles-ci doivent être à la fois protégées tout en étant utilisables par les acteurs publics et privés du secteur de la santé pour favoriser l'innovation et en tirer tout le potentiel de création de valeur médicale et économique. La France s'apprête d'ailleurs à franchir une nouvelle étape en ce qui concerne son implication dans la définition de la politique européenne relative au partage de données de santé à des fins de recherche. Elle va, à travers le Health Data Hub, prendre la tête d'un consortium candidat à la préfiguration de l'Espace Européen des Données de Santé (dont la création est l'une des priorités affichées par la Commission européenne pour la période 2019-2025).

Il est préconisé que le système de santé soit piloté grâce à la donnée mais aussi de s'emparer de l'outil « Mon Espace Santé » pour créer une culture commune et collective de l'usage des données de santé.

Le deuxième chantier concerne **l'accès à l'innovation thérapeutique**. Le think tank constate le rallongement des délais d'accès au marché des médicaments ces dernières années en France et déplore une complexification et un manque de lisibilité de l'environnement réglementaire. Il rappelle à ce titre son précédent rapport *Médicaments innovants : prévenir pour mieux guérir* (2019) où il faisait déjà ce constat et dont l'une des recommandations phare était de donner une place plus importante à l'évaluation comparative au travers d'une ASMR renouvelée (la Valeur Thérapeutique Relative, VTR).

Cette « VTR » deviendrait le critère d'évaluation unique des médicaments contrairement aux deux critères d'évaluation d'aujourd'hui prenant en compte le SMR et l'ASMR.

C'est également dans ce rapport que l'Institut recommandait une reprise du modèle allemand en France qui se caractérise par la mise à disposition du

médicament concomitante à la négociation sur la prise en charge.

A ce titre, le PLFSS pour 2022 (en accord, pour rappel, avec les mesures annoncées par le CSIS 2021) tente ce rapprochement avec le modèle allemand en mettant en place un mécanisme d'accès direct permettant aux médicaments disposant d'une ASMR comprise entre I et IV de bénéficier (donc innovants), dans une indication donnée, d'une prise en charge dès la publication de l'avis de la Commission de la Transparence et ce pour une durée d'un an, dans certains établissements de santé. L'objectif de ce nouveau mécanisme expérimental étant d'éviter les délais de négociations de prix post-AMM et donc d'accélérer l'accès aux traitements à un prix raisonnable pour les patients français.

Si l'Institut Montaigne salue l'avancée réelle que constituent ces nouvelles modalités, il appelle de ses vœux une grande réforme du système d'évaluation des médicaments pour plus de clarté et une meilleure valorisation de l'innovation.

Pour conclure, il souhaite également faire de l'ONDAM un véritable outil de pilotage au service de l'innovation en santé, en calquant ses objectifs sur les orientations de santé publique pour mieux prendre en compte les enjeux de long terme.

- Une réforme de la gouvernance en santé

Le think tank se penche enfin sur la question de la gouvernance en santé, il y voit deux axes d'amélioration : le renforcement de la territorialisation du système de santé et **la promotion d'une filière santé innovante**.

Sur le second point, si le CSIS 2021 et le Plan innovation santé 2030 ont été largement salués par les acteurs de la santé ; l'État doit maintenant – d'après l'Institut Montaigne - mettre en place un accompagnement stratégique pour accompagner la filière santé française, en s'appuyant notamment sur **un renforcement de la prévention et le développement d'outils de pilotage numérique**.

Pris ensemble, la prévention et le renforcement des outils numériques via une meilleure disponibilité des données devraient constituer une priorité pour le développement de la filière santé française.

2) Le Gouvernement rétropédale sur la demande d'autorisation CNIL du Health Data Hub

Le Health Data Hub – anciennement l'Institut National des données de santé – a retiré début janvier 2022 sa demande d'autorisation auprès de la CNIL ; mettant en suspens le projet de centralisation de données de santé.

Cette demande d'autorisation portait sur le transfert d'un volume important de données vers la Plateforme des données de santé : les données du Système national des données de santé (SNDS) comprenant celles de l'Assurance Maladie, des hôpitaux, de l'Inserm concernant les causes médicales de décès et enfin celles des Maisons départementales des personnes handicapées (MDPH) et de la Caisse nationale de solidarité pour l'autonomie (CNSA) concernant le handicap.

Il faut rappeler que l'hébergement de ce projet est confié aux **services américains de Microsoft Azure**, soumis aux juridictions américaines pour l'application des lois de surveillances (FISA 702 et Cloud Act notamment).

Ce retrait se fait ainsi dans un contexte jurisprudentiel défavorable : l'arrêt Schrems II de la CJUE a invalidé le *Privacy Shield* au motif qu'il n'offrait pas de protection équivalente à la réglementation de l'Union européenne. Cette décision a donc fortement complexifié les transferts de données vers les entités soumises aux lois de surveillance américaines. Le CE avait lui-même tiré les conséquences de cet arrêt : il a, dans une ordonnance du 13 octobre 2020 (n°444937), demandé que des garanties supplémentaires soient

prises en place dans le cadre des relations contractuelles du Health Data Hub et de Microsoft Azure.

La CNIL avait elle-même émis des réserves et fait part de son souhait que l'hébergement de la plateforme et les services liés à sa gestion puissent être réservés à **des entités relevant exclusivement des juridictions de l'Union européenne**.

Ce retrait de la demande d'autorisation CNIL oblige le Gouvernement à trouver une solution viable pour un hébergement au sein de services français, ou à minima européens.

En réponse à ces inquiétudes, le ministère de la santé s'est engagé en novembre 2020 à recourir à une solution technique adéquate, permettant d'éviter d'éventuelles demandes d'accès contrevenant au RGPD et ce, dans un délai compris entre 12 et 18 mois et, en tout état de cause, ne dépassant pas deux ans.

A l'approche des élections présidentielles et dans la mesure où l'engagement du ministère n'est pas encore rempli, le Gouvernement a vraisemblablement préféré mettre en suspens sa demande d'autorisation et éviter une éventuelle déconvenue de la part de la CNIL. Le secrétaire d'Etat au Numérique, Cédric O, a lui-même reconnu la sensibilité du sujet lors de son audition par la commission d'enquête du Sénat sur l'influence des cabinets de conseil le 3 février dernier. Interrogé sur le choix de Microsoft, il a qualifié ce sujet d'« excessivement politique » exigeant « plus de sérénité ».

Cette position du Gouvernement est d'autant plus prudente puisque la CNAM, dans son communiqué de presse du même jour, rappelle que **le ministère ainsi que l'Assurance Maladie garantissent la sécurité et la protection des données personnelles contenues dans Mon espace santé qui sont, elles, hébergées en France**.

3) Tentative d'harmonisation européenne de l'évaluation des technologies de la santé

Un certain nombre de pays de l'UE ont mis en place des procédures d'évaluations des technologies de la santé pour mesurer la valeur ajoutée d'une nouvelle technologie par rapport à celles qui existent déjà.

Le 15 décembre 2021, a été adopté le Règlement (UE) 2021/2282 du Parlement européen et du Conseil concernant l'évaluation des technologies de la santé et modifiant la directive 2011/24/UE. Ce nouveau règlement - qui s'inscrit dans la stratégie pharmaceutique en Europe adoptée fin 2020 - vise à **rendre plus disponibles les technologies de la santé innovantes et à renforcer la qualité et l'efficacité de l'évaluation des technologies de la santé** dans l'Union européenne.

Ce règlement ambitionne de mettre fin aux demandes multiples et divergentes d'informations, de données et d'analyses auxquelles les développeurs de technologies de la santé sont soumis et qui répondent, par ailleurs, à des délais différents. Le but est d'éviter à ces acteurs une charge administrative trop importante et qui pénalise particulièrement les petites entreprises (majoritaires dans le secteur), ce qui contribuerait à entraver et fausser l'accès au marché.

Par conséquent, une obligation est instituée pour les Etats membres de ne pas demander au niveau national les mêmes informations, données et analyses qui seraient déjà transmises par les développeurs de technologies de la santé au niveau de l'UE.

Il existe toutefois **plusieurs exceptions**. En effet, la compétence des États membres en matière de définition de leur politique de santé et de l'organisation et la fourniture de services de santé et de soins médicaux est toutefois ménagée. Tout d'abord les évaluations cliniques communes dont font l'objet les technologies de la santé ne prédéterminent pas les décisions nationales ultérieures en matière de tarification et de remboursement. Les Etats membres sont

également libres de pouvoir effectuer des analyses cliniques complémentaires et demander des informations, données et analyses supplémentaires aux développeurs de technologies de la santé. Ainsi l'obligation précitée ne trouve pas à s'appliquer :

- En cas de demande d'éclaircissements de l'Etat membre sur les informations transmises par les développeurs de technologies de la santé
- En cas de demandes d'informations relevant de programmes d'accès précoce au niveau des Etats membres.

Quelques dispositions notables :

- Un **groupe de coordination des Etats membres** sur l'évaluation des technologies de la santé est institué. De nombreuses missions lui sont confiées (article 3 point 7). En sus, à l'évidence de la mission d'établir des groupes de travail pour l'évaluation clinique, figure notamment celle de l'**identification des technologies de la santé émergentes**. Ce groupe de coordination répond aux principes d'indépendance, impartialité et transparence et sera donc soumis à des obligations de transparence et de déclaration de conflits d'intérêts vis-à-vis du secteur (article 5).
- Seuls certains types de technologies de la santé font l'objet d'une évaluation clinique communes (article 7 point 1) et notamment : les médicaments pour lesquels la demande d'autorisation de mise sur le marché est soumise selon un calendrier spécifique (à compter du 12 janvier 2025)
- La Commission joue le rôle d'intermédiaire s'agissant des obligations des développeurs de technologies de la santé quant à la transmission de leur dossier d'évaluation : elle constate le respect ou non du délai et des exigences auxquelles le dossier doit satisfaire (article 10).
- Le groupe de coordination peut organiser des **consultations scientifiques communes** à la demande des développeurs de

technologies de la santé. Elles seront l'occasion d'une part d'échanger des informations sur une technologie de la santé donnée et d'autre part de faciliter la production de données probantes dans le cadre d'une évaluation clinique commune ultérieure. Ces consultations ne produisent en revanche aucun effet juridique à l'égard des Etats membres, du groupe de coordination et des développeurs de technologies de santé. Elles n'emportent pas non plus de conséquence sur l'évaluation clinique commune susceptible d'être effectuée sur la même technologie de la santé.

Rien d'urgent cependant car ce règlement ne s'appliquera qu'à partir du 12 janvier 2025 ; nous avons le temps d'ici là de surveiller les mesures prises pour le rendre compatible avec le système français.

4) La mise en service tant attendue du système d'information sur les essais cliniques (CTIS)

Le règlement (UE) 536/2014 du Parlement européen et du Conseil relatif aux essais cliniques de médicaments à usage humain adopté il y a déjà près de huit ans, le 16 avril 2014, prévoyait son entrée en application six mois après la publication d'une notice par la Commission européenne jugeant opérationnels deux nouveaux outils dont le règlement prévoit l'instauration : la base de données et le portail de l'Union européenne.

Cette notice **constatant la conformité de ces deux nouveaux outils** a enfin été publié le 31 juillet 2021 au JOUE.

Les responsables européens semblent assumer ce retard pris dans le développement du système d'information qui constitue la pierre angulaire de la nouvelle réglementation. Ils l'expliquent par les difficultés techniques rencontrées et les exigences

en matière de cybersécurité, mais aussi par les nombreux échanges avec des représentants de chaque Etat membre, des industriels, des chercheurs académiques, des comités d'éthique, des professionnels de santé et des patients ; nécessaires à l'élaboration de ce nouveau système.

Le nouveau portail CTIS (Clinical Trial Information System) mis en place par l'Agence européenne des médicaments (EMA) est désormais **le point d'entrée unique pour les promoteurs d'essais cliniques** pour le dépôt de leurs demandes et autorisations dans l'ensemble des 27 Etats membres de l'UE et des 3 membres de l'Espace économique européen (Islande, Liechtenstein et Norvège). Il est par ailleurs composé de trois espaces numériques distincts : l'espace de travail destiné aux promoteurs, celui dédié aux autorités chargées des autorisations et enfin une interface à la portée du grand public qui aura accès aux résultats des essais cliniques menés en Europe.

L'EMA a mis en ligne sur son site une formation¹ (disponible en anglais) pour la prise en main du CTIS.

L'harmonisation des procédures de soumission, d'évaluation et de surveillance des essais cliniques met un terme à l'obligation pour les promoteurs de déposer leur dossier auprès de chaque autorité nationale compétente et des comités d'éthique de chaque Etat membre concerné lorsque l'étude est réalisée à une échelle transnationale.

Sur la période transitoire :

Cette harmonisation est toutefois « progressive » puisque le règlement prévoit une **période transitoire de 3 ans, jusqu'au 31 janvier 2025 !**

Les essais ayant fait l'objet d'une demande d'autorisation avant le 31 janvier 2022 continuent de relever de la directive 2001/20/CE (abrogée par ce règlement) et donc des dispositions nationales

de transposition pendant la durée de la période transitoire.

Pendant l'année suivant l'entrée en application du règlement, jusqu'au 31 janvier 2023, le choix est laissé aux promoteurs de déposer leurs demandes sur le portail national ou le portail unique européen. Si la première option est privilégiée, l'essai sera soumis aux dispositions de la directive 2001/20/CE relatives à la mise en place et à l'avis des comités d'éthique jusqu'au 31 janvier 2025.

A compter du 31 janvier 2025, les essais cliniques encore en cours approuvés au titre de la directive devront avoir été mis en conformité avec le règlement et basculés vers CTIS.

II. LES QUESTIONS DE FIXATION DU PRIX ET D'ACCES AU MARCHÉ DES MÉDICAMENTS

1) Fixation du taux des remises dites « exonératoires » de la clause de sauvegarde

La clause de sauvegarde « médicaments » (créée par la LFSS pour 1999) est un dispositif de régulation financière destiné à limiter les dépenses de l'Assurance Maladie. Ce mécanisme – dénoncé pour son manque d'équité et ne répondant pas à son objectif de régulation - consiste dans le versement d'une contribution à l'Assurance Maladie par les fabricants lorsque leur chiffre d'affaires hors taxes réalisé en France au titre des spécialités remboursables a crû plus vite qu'un taux de progression défini par la LFSS.

Les entreprises redevables de cette contribution peuvent toutefois en être exonérées – illusoirement

¹ <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/clinical-trials/clinical-trials-information-system-ctis-online-modular-training-programme>

en réalité – grâce à un accord avec le CEPS prévoyant un versement, sous forme de remise, de tout ou partie du montant dû au titre de la contribution.

Cette « exonération » est en principe valable si la remise que l'entreprise verse en application de l'accord avec le CEPS est supérieure ou égale à 95% du montant dont elle est redevable au titre de la contribution (article L.138-13 alinéa 2 du code de la sécurité sociale).

Par dérogation à ce principe et avec un objectif évident de réduction des prix, le montant de la remise peut être inférieur à ce taux si l'entreprise redevable de la contribution a accepté, toujours par convention avec le CEPS, une baisse du prix net d'une ou plusieurs spécialités qu'elle exploite.

La diminution du taux de la remise que l'entreprise devra verser est fonction des économies réalisées par l'Assurance Maladie grâce à cette baisse de prix.

L'arrêté du 31 janvier 2022 fixe le barème de ce taux :

Abattement	Borne basse permettant d'être éligible à l'abattement : économies (*) en pourcentage de CA (**)	Borne haute permettant d'être éligible à l'abattement : économies (*) en pourcentage de CA (**)
10 %	> 0 %	0,70 %
15 %	> 0,70 %	3,00 %
20 %	> 3,00 %	(sans objet)

(*) économies = économies réalisées par l'assurance maladie du fait de la baisse du prix net de ces spécialités pour l'année au titre de laquelle la contribution est due.

(**) CA = chiffre d'affaires de l'entreprise calculé selon les modalités définies à l'article L. 138-11 du code de la sécurité sociale.

Ainsi par exemple, si la baisse du prix net d'une spécialité d'une entreprise redevable de la contribution a permis des économies pour l'Assurance Maladie comprises entre 0 et 0,7% du CA de cette entreprise ; celle-ci bénéficiera d'un abattement de 10% sur la remise qu'elle devra verser.

Un bon moyen pour l'Etat d'inciter à la baisse des prix des spécialités pharmaceutiques, tout en maintenant le mécanisme de contribution des plus gros contributeurs aux dépenses de santé.

La mise en pratique de ces remises pose par ailleurs question dans la mesure où celles-ci s'appuient sur la baisse de prix net : il faut rappeler, par exemple, que les médicaments génériques n'ont pas de prix net. Sont-ils exclus de cette remise et de l'abattement de 20% qui peut l'accompagner ? Cela risquerait de rompre l'égalité entre les producteurs de spécialités pharmaceutiques remboursables.

Il nous faudra avoir plus de recul sur ce mécanisme pour en apprécier les effets pragmatiques sur les opérateurs économiques.

2) Le mécanisme du prix maximal de vente des médicaments aux hôpitaux sous l'œil de la CJUE

Le LEEM a saisi le Conseil d'Etat d'un recours pour excès de pouvoir à l'encontre du décret n°2020-1437 du 24 novembre 2020. Celui-ci met en application l'article L.162-16-4-3 du code de la sécurité sociale qui prévoit la procédure permettant au ministre de fixer un **prix maximal de vente aux établissements de santé pour un médicament** ou un autre produit de santé.

Les arguments principaux du requérant tiennent à la contrariété de ce dispositif au droit dérivé de l'Union européenne et en particulier à l'article 4 de la directive 89/05/CEE concernant la transparence

des mesures régissant la fixation des prix des médicaments à usage humain qui pose des exigences notamment procédurales aux mesures nationales de blocage des prix de tous les médicaments ou de certaines catégories de médicaments.

S'interrogeant sur la question de savoir si le dispositif litigieux entre dans le champ d'application de ladite directive, la juridiction suprême a décidé de poser une question préjudicielle à la Cour de Justice de l'Union européenne : la notion de « blocage des prix de tous les médicaments ou de certaines catégories de médicaments » s'applique-t-elle à une mesure dont la finalité est de contrôler les prix de certains médicaments pris individuellement uniquement ?

La **CJUE a déjà statué sur l'interprétation de cette disposition** en adoptant une **conception large de la notion de mesure nationale de blocage des prix** (CJUE, 2 avril 2009, C-352/07, Menarini).

En revanche, malgré cette acception large de la notion de mesure nationale de blocage des prix, la CJUE parle tout au long de son raisonnement d'une mesure de portée générale touchant tous les médicaments ou certaines catégories de médicaments.

L'annulation de ce décret sur le fondement de la directive pose question puisque le Conseil d'Etat, à l'instar du rapporteur public dans ses conclusions, considère que (cons. 13) :

- La mesure litigieuse concerne « *uniquement certains médicaments, pris individuellement* » et non « *tous les médicaments ou [...] certaines catégories de médicaments* » comme l'exige la directive invoquée.

- Les exigences procédurales entourant une mesure nationale de blocage des prix seraient en l'espèce dépourvues de portée ou sans objet, et notamment :

- L'évaluation annuelle des conditions macroéconomiques justifiant le maintien inchangé du blocage ne trouverait pas à s'appliquer ici puisque les conditions posées par l'article du code de la sécurité sociale ne seraient pas de nature macroéconomique mais se fondent sur les prix de vente du médicament concerné par la mesure (considéré seul ou au regard de médicaments comparables).
- La possibilité ouverte par l'article 4 § 2 de la directive au titulaire d'une autorisation de commercialisation d'un médicament de demander, exceptionnellement, à bénéficier d'une dérogation au blocage de prix pour des raisons particulières ne serait pas pertinente en l'espèce dans la mesure où le dispositif national serait justement conçu pour prendre la forme de décisions individuelles.

Le CE semble donc reprendre à son compte les arguments du rapporteur public mais décide tout de même de saisir la CJUE, se demandant si le juge européen qualifiera la mesure attaquée comme une mesure de portée générale.

Affaire à suivre donc !

3) La réforme de l'accès dérogatoire des médicaments pleinement opérationnelle

Le système dérogatoire d'accès et de prise en charge des médicaments a été réformé par la LFSS pour 2021. Après une véritable refonte du paysage réglementaire, deux nouveaux dispositifs sont apparus : l'accès précoce (article L. 5121-12 du code de la santé publique) et l'accès compassionnel (article L. 5121-12-1 du même code).

Ce dernier comprend deux volets :

- L'autorisation d'accès compassionnel nominative (AAC) concernant un médicament non

autorisé et non disponible en France pour un patient nommément désigné.

- Le cadre de prescription compassionnelle (CPC) concernant un médicament disponible en France et disposant d'une AMM mais dont la pratique démontre une prescription hors AMM bien établie sur le territoire français.

Le nouveau décret (n°2022-164 du 11 février 2022) met en application ce dernier volet et permet son entrée en vigueur. Les articles R.5121-76-1 et suivants précisent le cadre réglementaire du CPC :

- Signalements des pratiques de prescription hors AMM

- Demande d'information de l'ANSM au titulaire de l'AMM lorsqu'elle envisage d'élaborer un CPC

- Informations mentionnées dans le CPC établit par l'ANSM (la ou les indications thérapeutiques concernées, la posologie et le mode d'administration, les effets indésirables, le classement du médicament selon l'article R.5121-36 et sa durée de validité)

- Implication de tous les acteurs dans la surveillance de ce dispositif :

o Protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients établi par l'ANSM concernant les données à collecter concernant l'efficacité et la sécurité du médicament

o Rapport périodique de synthèse rédigé par le titulaire de l'AMM ou par l'entreprise assurant son exploitation et mandatée à cet effet par le titulaire

o Obligation pour les prescripteurs et les pharmaciens de participer au recueil des données

Il ne manquait que ce décret sur le CPC pour que cette réforme puisse complètement entrer en vigueur puisque le décret d'application de l'accès précoce et de l'autorisation d'accès compassionnel nominative avait déjà été pris le 30 juin 2021.

4) L'Agence européenne des médicaments obtient de nouvelles compétences en matière de gestion de crise sanitaire

La crise sanitaire due à la pandémie de Covid-19 aura été l'occasion pour les instances européennes de légiférer sur la question au combien d'actualité des pénuries de médicaments et de dispositifs médicaux.

En parallèle des travaux en cours et attendus dans le cadre de la stratégie pharmaceutique pour l'Europe annoncée le 25 novembre 2020, le règlement (UE) 2022/123 du Parlement et du Conseil du 25 janvier 2022 instaure un dispositif de suivi pour la préparation aux crises et la gestion de celles-ci en accordant un rôle renforcé à l'Agence européenne des médicaments (EMA).

Du côté des médicaments, un **groupe de pilotage** est créé au sein de l'EMA pour évaluer les informations relatives **aux urgences de santé publique ou aux événements majeurs** (définis comme un événement susceptible de poser un risque grave pour la santé publique, lié à des médicaments, dans plusieurs Etats membres). Il étudie la nécessité d'une action urgente et coordonnée pour ce qui a trait à la qualité, à la sécurité et l'efficacité des médicaments concernés. Le groupe établit également **une liste des médicaments critiques** : elle concerne les médicaments qui sont nécessaires aux soins d'urgence, aux interventions chirurgicales et aux soins intensifs. Cette liste devra être établie avant le 2 août 2022 et sera mise à jour annuellement. L'EMA communiquera sur son site internet des informations sur les pénuries réelles de médicaments figurant sur cette liste.

Pour alimenter les informations nécessaires en cas d'urgence sanitaire ou d'événement majeur, l'Agence établit une liste des **points de contact uniques pour tous les titulaires d'AMM des médicaments autorisés dans l'Union**, lesquels sont tenus de répondre aux informations demandées par l'Agence.

Pour compléter ce dispositif de suivi, une **plateforme européenne de surveillance des pénuries** est créée pour faciliter la collecte d'informations sur les pénuries réelles ou potentielles des médicaments figurant sur la liste des médicaments critiques.

Du côté des dispositifs médicaux : l'EMA voit également ses compétences étendues pour cette catégorie de produits s'agissant des situations d'urgence de santé publique. Sur le même modèle que le système mis en place pour les médicaments, un **groupe de pilotage sur les pénuries de dispositifs médicaux** est créé, son action est en revanche ici cantonnée aux situations d'urgence de santé publique. La Commission européenne (dans son communiqué de presse du 25 janvier 2022) ainsi que le dispositif du règlement lui-même étaient assez confus sur la question, parlant à la fois des situations d'urgence de santé publique et des événements majeurs indifféremment pour les médicaments et pour les dispositifs médicaux. Mais les événements majeurs ne sont ici pas pris en compte puisqu'ils sont définis à l'article 2 du règlement par référence à un événement « *lié à des médicaments* » et susceptible d'affecter l'offre ou la demande de ceux-ci. Que cette distinction soit volontaire ou qu'elle résulte d'une simple erreur de rédaction, elle créée, comme souvent, une différence de traitement entre les médicaments et les dispositifs médicaux. En effet, cela suppose qu'aucun événement susceptible de poser un risque grave pour la santé publique ne pourrait être lié à un dispositif médical. L'opportunité de cette distinction paraît donc ici fortement douteuse.

Une fois encore sur le même modèle que les dispositions applicables aux médicaments, une liste des dispositifs médicaux critiques devra être établie et mise à jour. Les informations pertinentes sur ces dispositifs médicaux et leurs fabricants seront collectées dans la base de données européenne relative aux dispositifs médicaux (Eudamed).