

Accompagner vos demandes d'accès compassionnel et précoce : la BNDMR vous aide via le SDM-T

Bénédicte Sabin
CO BNDMR

28 Mars 2023



bndmr.fr

Introduction

- ▶ Axe 4 du PNMR 3 : promouvoir l'accès aux traitements dans les MR
- ▶ SDM-T conçu pour
 - Permettre la saisie des données de suivi des médicaments prescrits hors AMM priorisés par les observatoires des traitements pour enrichir les données disponibles en vue de l'établissement d'un CPC par l'ANSM
 - Faciliter et uniformiser le recueil des données de suivi requises par les protocoles d'utilisations (PUT) établis notamment dans le cadre des autorisations d'AP et aussi de CPC
 - Disposer d'informations, notamment d'efficacité, au long cours sur les médicaments indiqués dans les maladies rares et ce, dès les premières administrations, dès l'accès compassionnel ou précoce

Etudes à l'initiative des centres

- Accès compassionnel (ATUn)
- Cadre de prescription compassionnelle (RTU)
- Suivi d'un médicament au sein d'un centre

Etudes/Collectes réalisées par les industriels *(incl. pour répondre aux demandes des autorités)*

- Etudes post-inscription
- Accès précoce
- Accès compassionnel
- Etudes pharmaco-épidémiologiques

SDM-T & accès précoce : Déploiement opérationnel BNDMR

Modèle de PUT-RD à partir de BaMaRa

- ▶ Réunions de travail en continu avec la HAS/ANSM
- ▶ Sollicitation de la CNIL
- ▶ PUT-RD à partir de BaMaRa sera publié sur le site de la BNDMR
- ▶ Finalisation du modèle attendu fin Mars 2023

Modèle de protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD)
Accès précoce – Nom du médicament

La proposition de PUT-RD soumise par le laboratoire doit être rédigée en français selon ce modèle et transmise en pièce jointe lors de la soumission de la demande d'accès précoce sur la plateforme SÉSAME. L'ensemble des éléments proposés sont susceptibles d'être modifiés par la Haute Autorité de santé (HAS) et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) le cas échéant. Le PUT-RD final sera annexé à la décision de la HAS. Se référer au [guide de dépôt](#) pour plus d'information sur les recommandations de la HAS et de l'ANSM sur ce document.
Cette proposition de PUT-RD est susceptible d'être adressée aux associations de patients et autres parties prenantes en vue de recueillir leur contribution pendant l'instruction conformément à l'article R. 5121-69-1.

La demande	
Spécialité	Renseigner le nom de spécialité si déjà déterminé
DCI	Si la DCI n'est pas disponible, renseigner la dénomination provisoire du médicament
Indication	Indication simplifiée revendiquée
Date d'octroi	XXXX/XXXX
Date de mise à disposition du médicament dans le cadre de l'accès précoce	XX/XX/XXXX
Périodicité des rapports de synthèse	À compléter par la HAS
Renseignements administratifs	
Contact laboratoire titulaire ou CRO	Renseigner adresse mail générique + tél
CRPV en charge du suivi de l'accès précoce, le cas échéant	À compléter par la HAS
Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire	Renseigner adresse mail générique + tél

- ▶ **Dates de visites** (instauration et suivi)
- ▶ **Nom du Médicament** : [Thériaque]
- ▶ **Contexte de prescription** : AMM / Hors-AMM [accès précoce / accès compassionnel / cadre de prescription compassionnelle] / Autre

▶ **Instauration**

- Date d'instauration
- *Modifications depuis la DAT*
- *Engagement du prescripteur de l'éligibilité à l'AP*
- Forme pharmaceutique, voie d'administration
- Schéma thérapeutique : si différent du RCP
- Traitements antérieurs (5 max) et concomitants à l'instauration [Thériaque]
- Comorbidités [HPO]
- Taille / poids
- Efficacité (2 max personnalisables)
- Survenue d'événement indésirable (EI) immédiat
- Qualité de vie : SF-12

**Variables discutées avec
la HAS/l'ANSM**

▶ **Suivi(s)**

- Dates de visites
- Traitements concomitants si différents de l'instauration
- Arrêt définitif Oui/non, si oui : fin de traitement, le patient ne remplit plus les critères d'éligibilité, problèmes d'observances, condition médicale, décès...
- Modifications (interruption, changement de posologie et nouvelle poso, changement de médicament, et autre) et raisons
- Efficacité (mêmes items répétés au suivi)
- Survenue d'EI (Oui/non, si oui : nombre, description en HPO, et rappels des obligations de PV)
- Qualité de vie : SF-12

▶ Efficacité

- 2 variables maximum qui seront discutées en amont du dépôt de dossier avec la FSMR et la CO BNDMR

▶ Qualité de vie

- SF-12 version 1 : 12 questions, temps remplissage ~ 2 min
- Anticipation de la démarche
 - ▶ Téléchargement/résumé du SF 12 sur le portail patient de la BNDMR
 - ▶ Mention du SF 12 dans la note d'information patient
 - ▶ Information des FSMR et impression d'un set de questionnaires dans les centres

[SDM](#)[SDM-T](#)

Fiche patient : XXXXXX

SDM- T « NOM 1 »

SDM- T « NOM 2 »

TITRE LONG DU SDM-T

Nom du/des médicament(s) (DCI et nom)

Fiche Instauration

Contexte de prescription du médicament*

N° accès précoce

N° accès compassionnel

N° cadre de prescription compassionnelle

Autre contexte hors AMM*

Date de la visite d'instauration du traitement*

Survenue de modifications majeures (maladie ou biologique) depuis la demande d'accès précoce *

Précisions*

Le patient remplit toujours les critères d'éligibilité à l'accès précoce et tous les prérequis (test/imagerie/contraception) ont été réalisés si applicables, conformément au RCP* ?

Oui

Non

Si le patient ne remplit plus les critères d'éligibilité de l'accès précoce, le prescripteur ne peut initier le traitement de son patient dans le cadre de l'accès précoce mais peut par l'intermédiaire du pharmacien de l'établissement de santé, faire une demande d'accès compassionnel en la justifiant (pour les accès précoces post-AMM seulement).

Date de 1ère administration ou d'instauration de traitement*

JJ/MM/AAAA

Aujourd'hui

Traitements antérieurs pour la même maladie rare

Les soins de supports ne sont pas à lister dans ce tableau

Traitement	Date de début	Date d'arrêt	Dose
			_ _ _ _ [unité : menu déroulant: mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre] [Si unité autre] Précision de l'unité : champ libre

Administration initiale*

Bloc administration

Traitements concomitants en lien avec la même maladie rare et/ou soins de support

Traitement	Date de début	Date d'arrêt	Dose
			_ _ _ _ [unité : menu déroulant: mg, g, mg/kg, mL/kg, ug/kg, autre] [Si unité autre] Précision de l'unité : champ libre

Comorbidités

Taille du patient à l'instauration

cm

Poids du patient à l'instauration

kg

Effacité à l'initiation

Bloc personnalisable

Évaluation de la qualité de vie du patient à l'instauration* (voir description ci-dessous)

Merci d'interroger le patient sur les critères ci-dessous et de reporter son expérience

Ouverture du questionnaire
du patient

Bloc évaluation

Survenue d'événement(s) indésirable(s) immédiat(s) ou d'une situation particulière à déclarer ?*

Oui

Non

Pour les AP pré-AMM : Procéder à la déclaration via la fiche de déclaration du laboratoire que vous trouverez ici : [adresse plateforme si applicable ou page téléchargement fiche déclaration]

Pour les AP post-AMM : Procéder à sa déclaration auprès du CRPV géographique via le système national de déclaration : www.signalement.sante.gouv.fr

Description clinique de l'événement indésirable

Fiche Suivi/Modification/Arrêt du traitement

Suivi #1



Date

JJ/MM/AAAA

Aujourd'hui

Arrêt définitif du médicament*

Oui

Non

Date de l'arrêt

JJ/MM/AAAA

Aujourd'hui

Raison de l'arrêt définitif*



Précision des autres raisons

Décès

Oui

Non

Date du décès :

JJ/MM/AAAA

Aujourd'hui

Raison de du décès



Message d'informations

Autre raison du décès

CIM-10



Nouveau médicament*

Therapie

Raison du changement de médicament

Précision des autres raisons

Posologie à l'arrêt différente de l'instauration*

Oui

Non

Bloc schéma thérapeutique

Modification du traitement*

Oui

Non

Type de modification*

Précision de la modification*

Raison de l'interruption

Message d'informations

Précision des autres raisons

Intervalle d'interruption*

de

JJ/MM/AAAA

Aujourd'hui

à

JJ/MM/AAAA

Aujourd'hui

Administration selon la posologie recommandée du RCP*

Oui

Non

(Résumé des Caractéristiques du Produit)

Poids du patient

valeur

kg

Schéma thérapeutique*

Bloc schéma thérapeutique

Raison du changement de posologie*



Précision des autres raisons

Traitements concomitants différents de ceux déclarés à l'instauration*

Oui

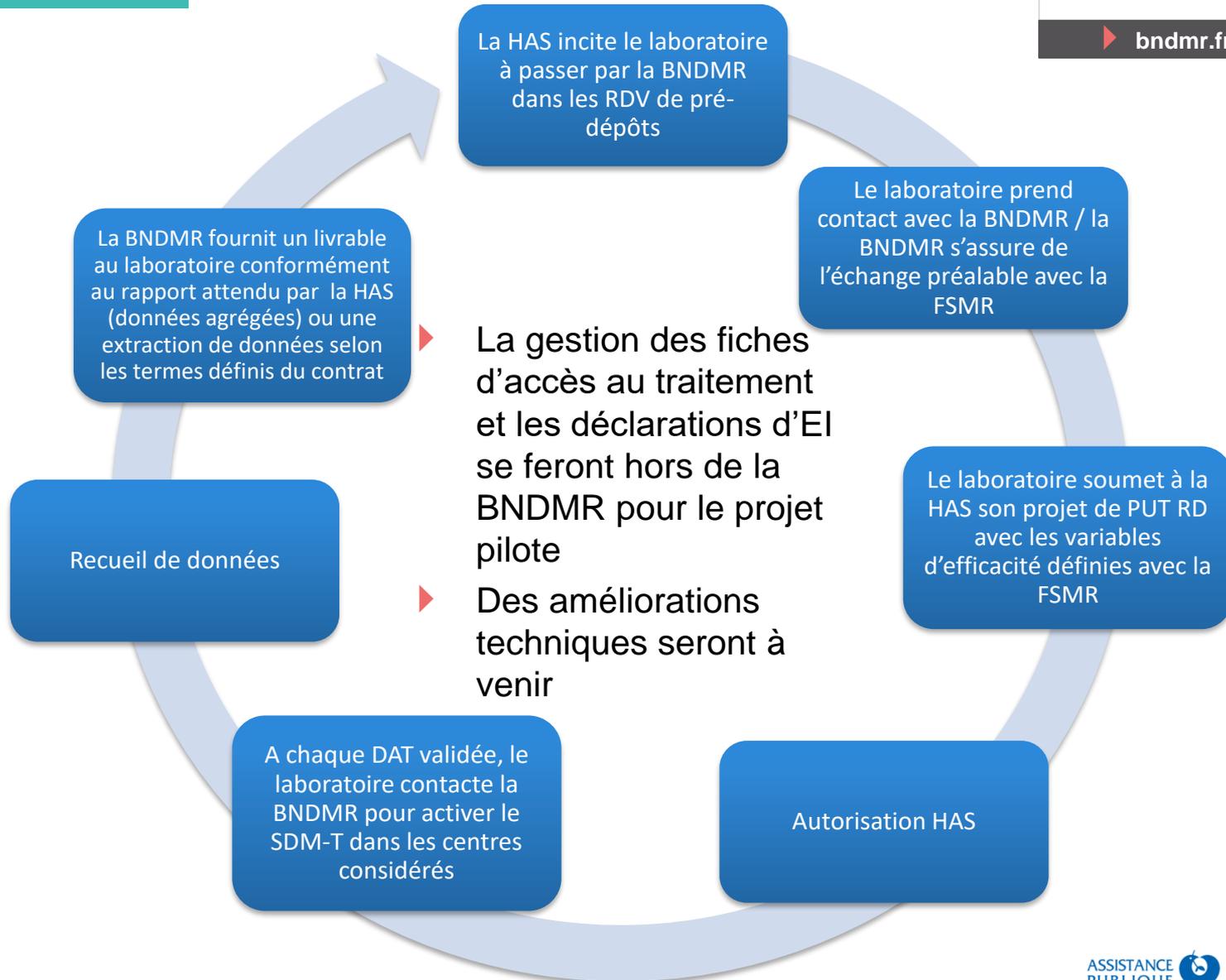
Non

Bloc traitement concomitants

BLOC EFFICACITE SUIVI*

*Bloc évaluation**

Circuit – exemple de l'Accès Précoce



SDM-T : autres applications

- ▶ Les discussions sont également entamées avec l'ANSM pour l'utilisation du SDM-T à deux niveaux :
 - 1^e phase : collecte de données dans le SDM-T pour suivre les médicaments hors AMM à l'initiative des FSMR comme décrit dans l'axe 4 du PNMR en vue d'une demande de CPC
 - 2^e phase : collecte de données dans le SDM-T après autorisation CPC à la charge du laboratoire

- ▶ Demandes d'études par un CRMR, une FSMR, un établissement de santé...
- ▶ La procédure d'accès aux données sera la même que celle déjà mise en place et décrite sur le site internet :
 - Avis favorable du Comité scientifique de la BNDMR
 - Information de la FSMR

Quelques précisions...

Le SDM-T ne sera ...

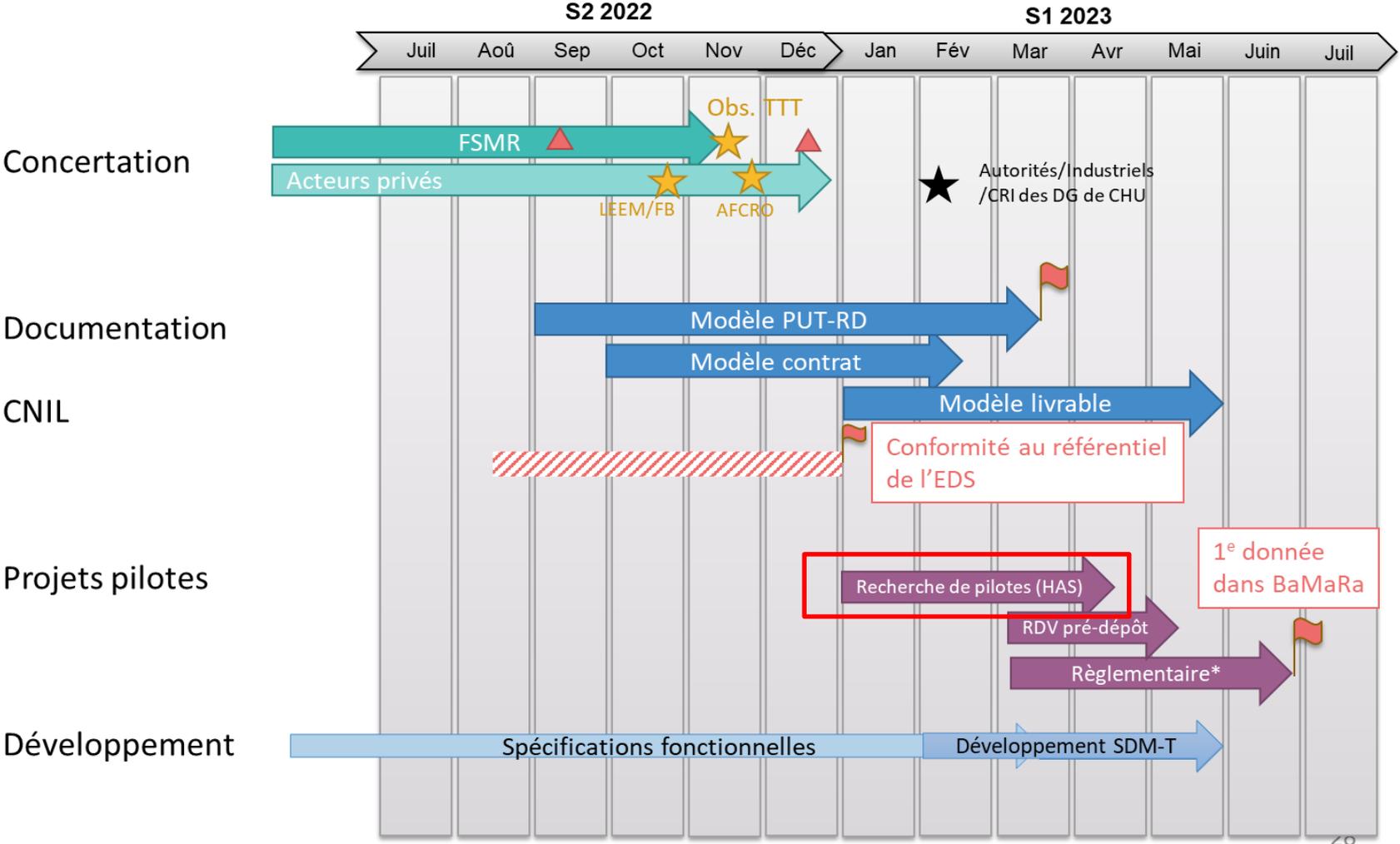
- ❌ ▶ **Pas** un doublon des registres et bases de données existantes sur les modalités d'utilisation du médicament, *mais* un outil supplémentaire si le besoin n'est pas couvert
- ❌ ▶ **Pas** déployé automatiquement dans tous les centres, *mais* seulement dans le cadre d'études ou d'accès précoce/ cadre de prescription compassionnelle dans les centres considérés
- ❌ ▶ **Pas** déployé dans les CRMR/CCMR/CRC et FSMR sans leur accord *mais* seulement après consultation de la FSMR puis, dans le cas des AP/AC, contractualisation de l'industriel/de l'établissement moyennant financement pour le recueil

SDM-T : Prochaines étapes

- ▶ Identification de 5 pilotes potentiels par sollicitation directe des laboratoires
 - Echanges en cours laboratoire/HAS/BNDMR pour identifier le meilleur cas d'usage
 - Choix du/des pilotes début avril

- ▶ Objectifs des pilotes
 - Valider les étapes de développement et les process automatiques sur les données
 - Affiner le circuit de données : Demande d'accès au traitement (DAT) et déclaration d'EI (AP1) non gérés dans BaMaRa aujourd'hui, améliorations à venir
 - Affiner l'articulation avec les CRO dans des projets futurs
 - Cadrage des procédures de data-management et de monitoring pour assurer la complétion de 90% des données
 - Impliquer les FSMR

Rétroplanning



* Préparation du dossier d'AP, actualisation du PUT-RD, contractualisation, PIA ...