Un nouveau dispositif pour permettre et sécuriser l'accès aux traitements dans d'autres indications que celles de leur AMM : les recommandations temporaires d'utilisation (RTU)

Les nouvelles dispositions qui se mettent en place en France pour encadrer les prescriptions de médicaments en dehors du cadre de leur autorisation de mise sur le marché (AMM) sont relayées dans un article du New England Journal of Medicine qui parait aujourd'hui. Le dispositif novateur des Recommandations temporaires d'utilisation (RTU), qui vise à sécuriser des prescriptions hors AMM en objectivant leur intérêt thérapeutique, apparaît comme un modèle susceptible d'être reproduit dans d'autres pays. L'ANSM, qui a la responsabilité de ce dispositif, a rendu publics le 27 septembre 2012 les principes généraux et les éléments d'information concernant les modalités d'élaboration et de mise en œuvre des RTU.

La prescription d'un médicament dans le respect de son autorisation de mise sur le marché (AMM), fondée sur un rapport bénéfice/risque positif, sécurise son utilisation. Toutefois, certains médicaments peuvent être prescrits en dehors du cadre de leur AMM, afin de répondre à un besoin de santé publique non couvert, ou pour assurer l'accès au médicament à certains sous-groupes de patients non pris en compte dans l'AMM.

Ainsi, dans le but d'assurer une équité d'accès et de sécuriser le plus possible l'utilisation des médicaments en dehors de l'AMM, la loi du 29 décembre 2011 a introduit la possibilité

d'encadrer ces prescriptions par des RTU.

Les RTU peuvent s'appliquer à tous les médicaments ayant une AMM en France, elles sont temporaires et ne peuvent excéder 3 ans. Elles peuvent porter sur une indication ou des conditions d'utilisation différentes de celles de l'AMM. Une RTU peut concerner une seule spécialité pharmaceutique ou plusieurs appartenant à un groupe générique ou ayant un mécanisme d'action similaire.

Les RTU sont élaborées par l'ANSM lorsque deux conditions sont réunies : l'existence d'un besoin non couvert par une alternative médicamenteuse autorisée en France dans l'indication concernée et un rapport bénéfice/risque du médicament présumé favorable.

Les RTU sont obligatoirement assorties d'un protocole de suivi des patients qui permettra de collecter des données d'efficacité, de sécurité et de conditions réelles d'utilisation du médicament dans l'indication dérogatoire visée par la RTU, en vue d'améliorer la connaissance sur le médicament et d'inciter le laboratoire à déposer une demande d'extension d'indication.

L'initiative d'engager la procédure d'élaboration d'une RTU relève de la compétence exclusive de l'ANSM qui peut s'autosaisir ou recevoir des signalements notamment par les ministères chargés de la santé et de la sécurité sociale, la HAS, l'UNCAM, l'INCa, des centres de référence/compétence en charge des maladies rares ou encore des associations agréées de patients ou des sociétés savantes.

Pour décider d'engager une procédure de RTU, l'Agence prendra en considération plusieurs critères comme le niveau des preuves scientifiques d'efficacité, le caractère innovant et le profil de sécurité du médicament, le pronostic et la fréquence de la maladie ainsi que l'existence d'essais cliniques avec le médicament en France dans l'indication concernée. Une attention particulière sera portée aux RTU concernant les maladies rares.

Les modalités d'instruction d'une RTU sont détaillées dans le document mis en ligne sur le site de l'ANSM.
Les prescriptions dans le cadre des RTU peuvent donner lieu à remboursement, après avis de la HAS.

L'Agence a déjà reçu des signalements d'utilisation de médicaments prescrits en dehors de leur AMM et susceptibles de faire l'objet de RTU, et va engager leur évaluation.

Consulter

* Décret du 9 mai 2012 relatif aux recommandations temporaires d'utilisation des spécialités pharmaceutiques
* Décret du 9 mai 2012 relatif a la prise en charge dérogatoire par l'assurance maladie des spécialités pharmaceutiques bénéficiant d'une recommandation temporaire d'utilisation ou de certains produits
* Loi du 29 décembre relative au renforcement de la sécurité sanitaire du médicament et des

produits de santé

Lire aussi

* France's New Framework for Regulating Off-Label Drug Use Joseph Emmerich, M.D., Ph.D., Nathalie Dumarcet, M.D., and Annie Lorence, Pharm.D. N Engl J Med 2012; 367:1279-1281

* Recommandations temporaires d'utilisation (RTU) : principes et éléments d'information sur les modalités d'élaboration et de mise en œuvre par l'ANSM (27/09/2012) (211 ko)