

Innovation thérapeutique en France : impact des déterminants médico-économiques sur la durée des accès précoces initiés entre 2021 et 2024

Jade CHATELET, Aurélie SCHMIDT, Nicolas PAGES, Marie-Ange RASENDRA
Heva, Lyon France

DSVR 2026
16 juin - Paris, France

Poster n°56

Introduction

- L'accès au marché des médicaments en France constitue un processus long et complexe, susceptible de retarder la mise à disposition des traitements pour les patients.
- La **réforme de 2021** a instauré deux dispositifs dérogatoires afin d'accélérer l'accès à certains traitements innovants : l'**accès précoce** (AP) et l'**accès compassionnel** (AC)¹.
- L'accès précoce permet de rendre disponible, de manière anticipée, des médicaments destinés à des patients atteints de maladies graves, en situation d'impasse thérapeutique. Ce dispositif **réduit significativement les délais** d'accès, avec une mise à disposition en moyenne de **97 jours**, contre environ **523 jours** après l'AMM en droit commun².
- Cependant, après cinq ans, le dispositif ne permet pas de raccourcir les étapes ultérieures d'évaluation et de négociation de prix en vue d'un remboursement. En pratique, la durée totale des AP reste très variable, s'étendant de quelques mois à plus de trois ans selon les médicaments.

Objectifs

- Analyser les déterminants** - cliniques, réglementaires, économiques et médico-économiques - **susceptibles d'influencer la durée des accès précoces initiés en France entre 2021 et 2024**.
- Comprendre dans quelle mesure certains critères cliniques et médico-économiques impactent le temps passé dans le dispositif.

Méthode

Design de l'étude

- Étude observationnelle, rétrospective et descriptive.

Sources de données : Sources documentaires institutionnelles publiques

- Site de la HAS³ (avis et transcriptions), Comité Économique des Produits de Santé⁴ (CEPS), ministère de la Santé⁵, Légifrance⁶ (pour les prix publiés au Journal Officiel (JO)), ANSM⁷, base de données publiques des médicaments⁸ et Vidal⁹.

Période d'étude

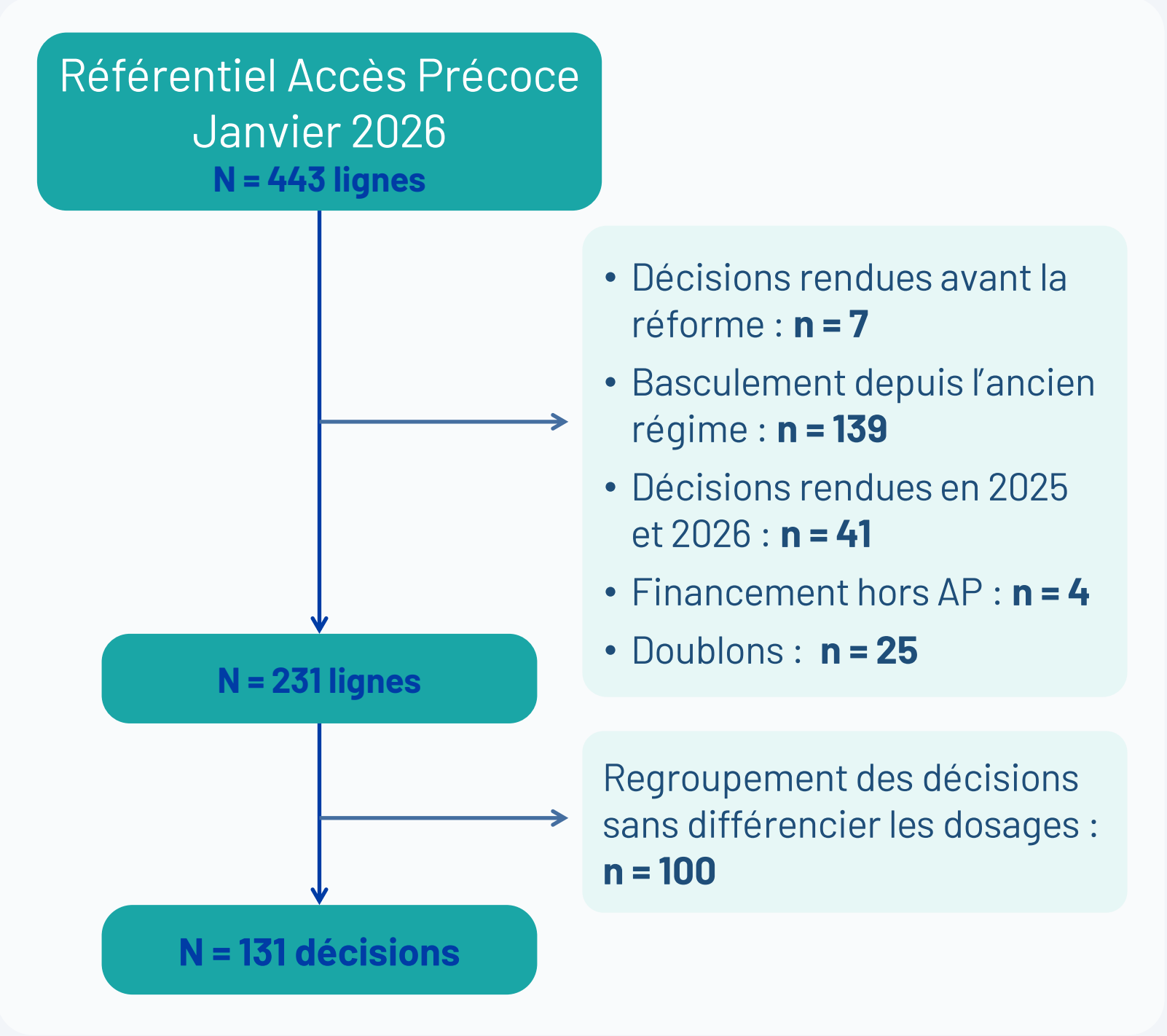
- AP ayant reçu un **avis favorable de la HAS** entre le **1^{er} juillet 2021** (entrée en vigueur de la réforme) et le **31 décembre 2024**.

Variables étudiées

- Variables **issues des avis** : aire thérapeutique, type d'AP - AP1 ou AP2 -, SMR et ASMR revendiqués et obtenus, indemnités maximales
- Variables **calculées** : durée de négociation avec le CEPS, écart entre indemnité initiale et prix final.

Méthodologie d'extraction

- Les avis de la CT et les prix ont été récupérés automatiquement via les API de la HAS et de Légifrance.
- Un modèle de langage (LLM - DevStral) a permis d'extraire les informations textuelles d'intérêt : SMR et ASMR revendiqués et obtenus pour chaque molécule.
- L'unité d'analyse était l'accès précoce individuel, définit par un couple médicament-indication.



Conclusion

Malgré l'accès rapide aux traitements innovants permis par la réforme, la durée des accès précoces reste variable et globalement longue (556 jours en moyenne). Elle est principalement liée à la phase de négociation de prix, qui représente près des trois quarts du temps passé en AP.

Les résultats suggèrent que les déterminants médico-économiques jouent un rôle structurant : la présence d'un avis CEESP est associée à des durées plus longues et à des écarts de prix plus limités, traduisant un encadrement économique plus strict.

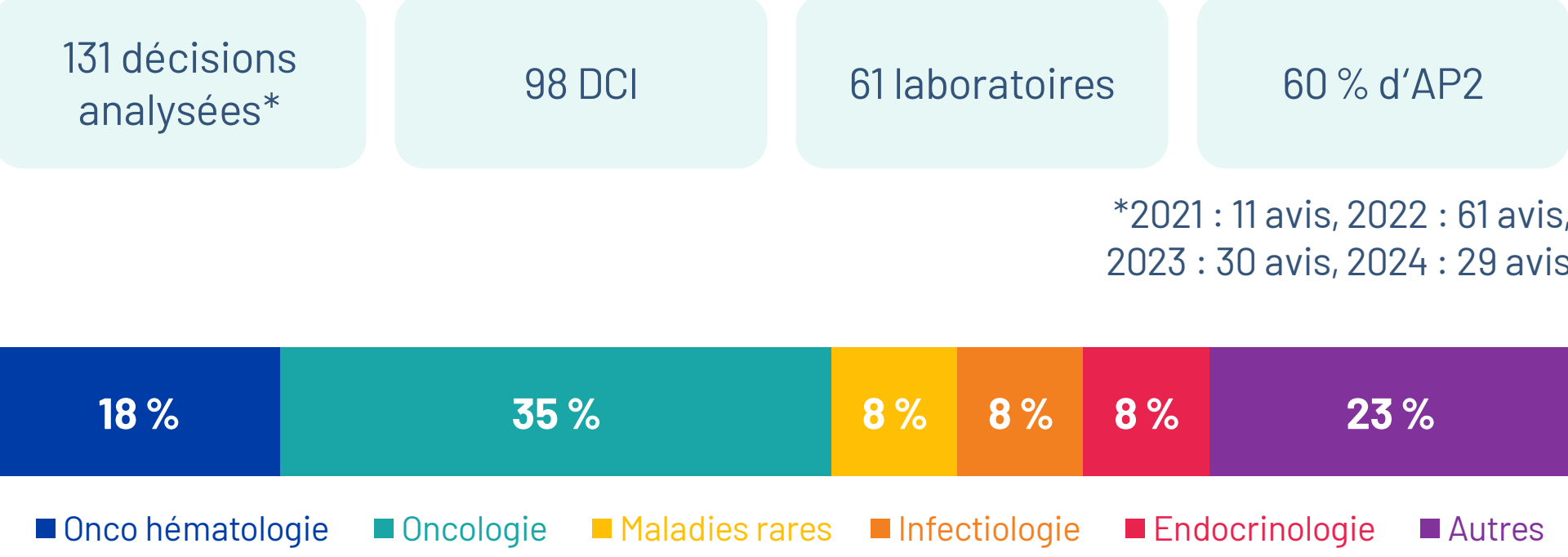
Par ailleurs, les caractéristiques cliniques influencent également les durées, avec des accès prolongés pour les médicaments apportant un bénéfice clinique plus important (ASMR élevé) ou répondant à des besoins médicaux non couverts.

Ainsi, bien que le dispositif d'accès précoce permette un accès initial très rapide (97 jours contre 523 jours en droit commun), il ne permet pas d'accélérer la mise à disposition pérenne, la durée totale des accès restant similaire, voire supérieure, à celle observée en droit commun, en raison notamment des délais de négociation économique.

Ces résultats soulignent l'enjeu d'optimiser la coordination entre accès précoce et remboursement afin de réduire les délais et de sécuriser un accès durable aux innovations.

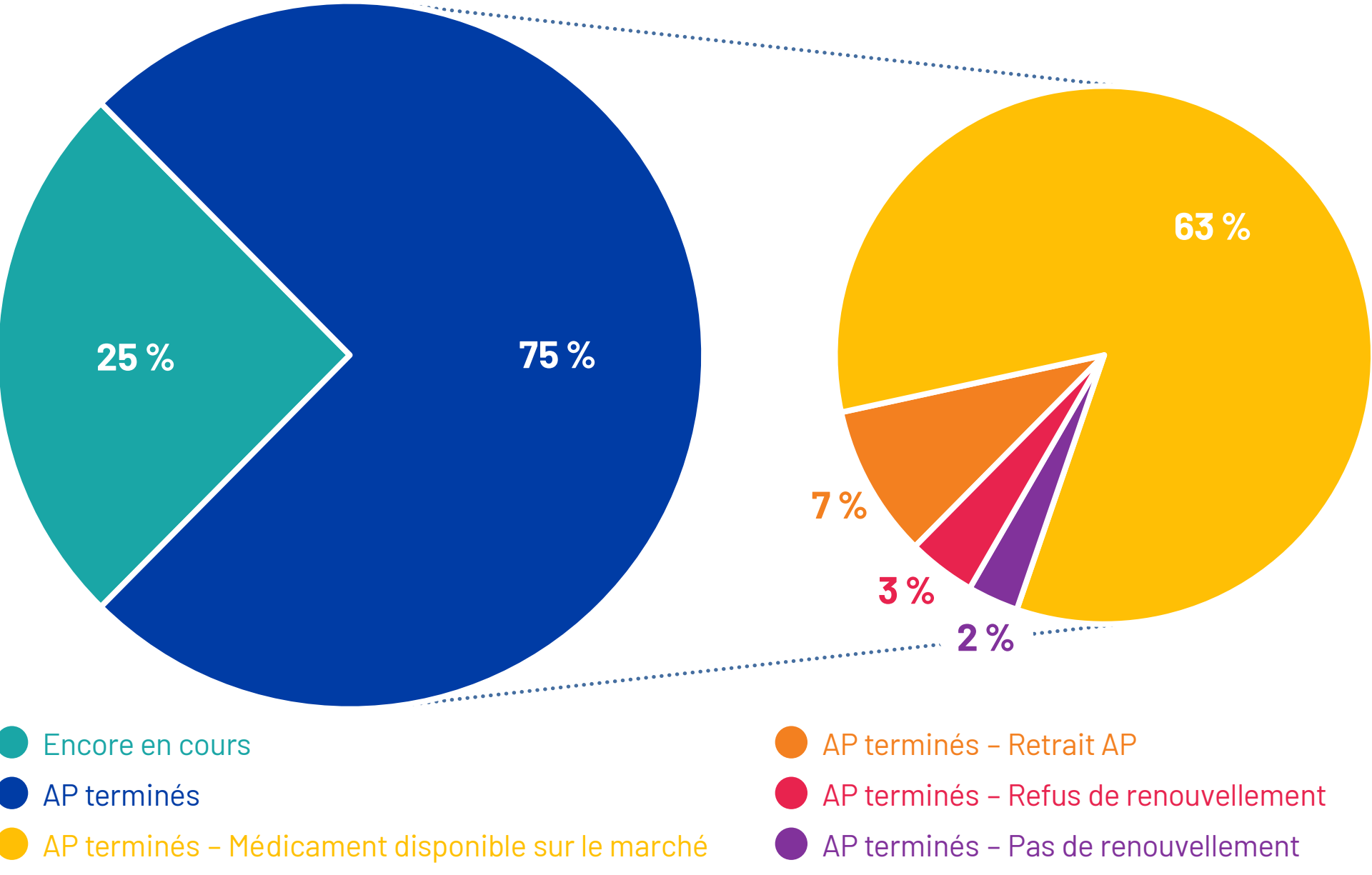
Résultats

Caractéristiques des Accès Précoces

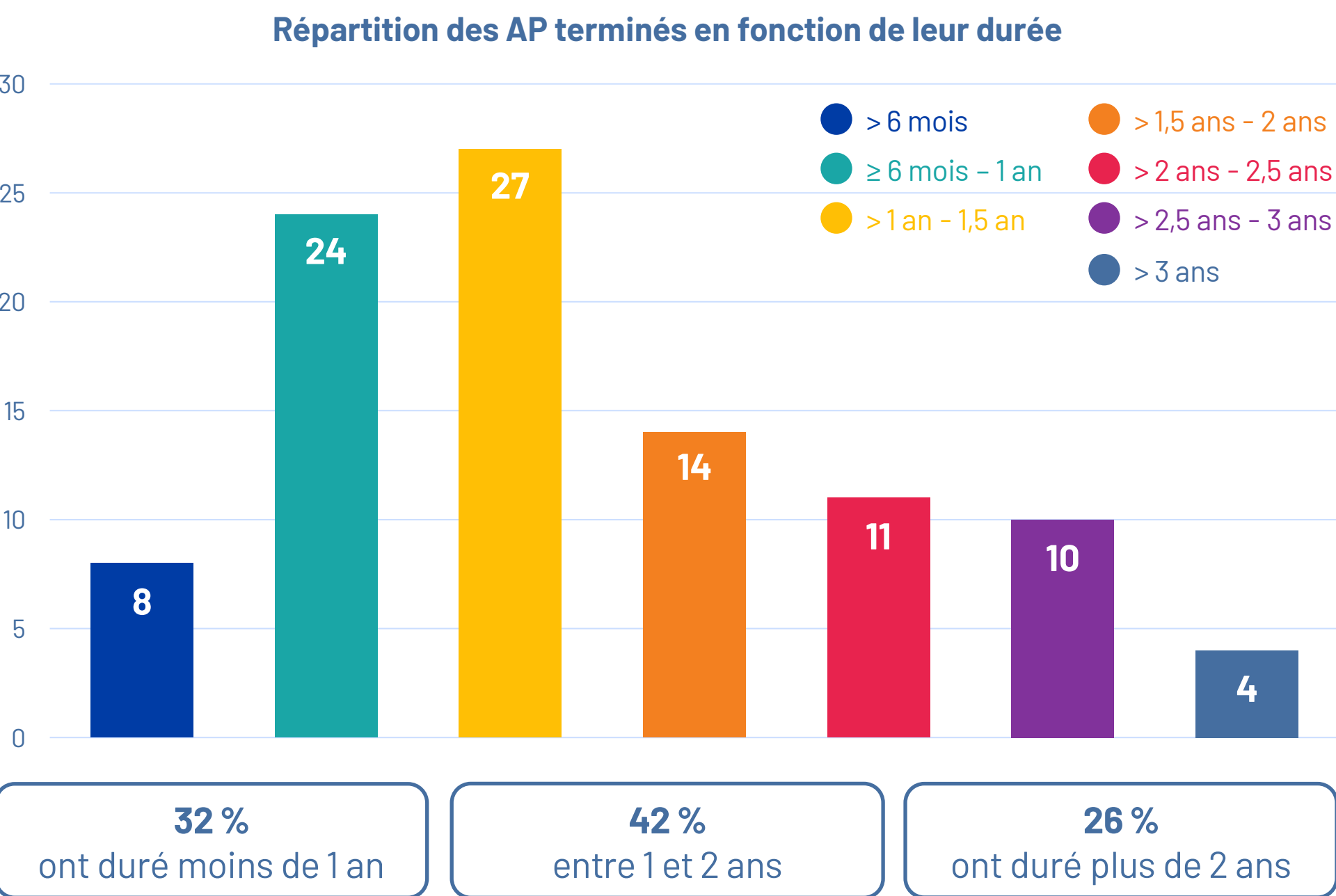


Accès précoces en cours et terminés

Sur les 131 AP étudiés, 98 étaient terminés (75 %) à la date de clôture de l'étude : 75 % l'étaient pour avis favorables au remboursement suivi d'une disponibilité sur le marché pour les patients, 7 % pour retrait d'AP, 3 % pour refus de renouvellement, et 2 % pour absence de renouvellement.



AP terminés (n = 98)



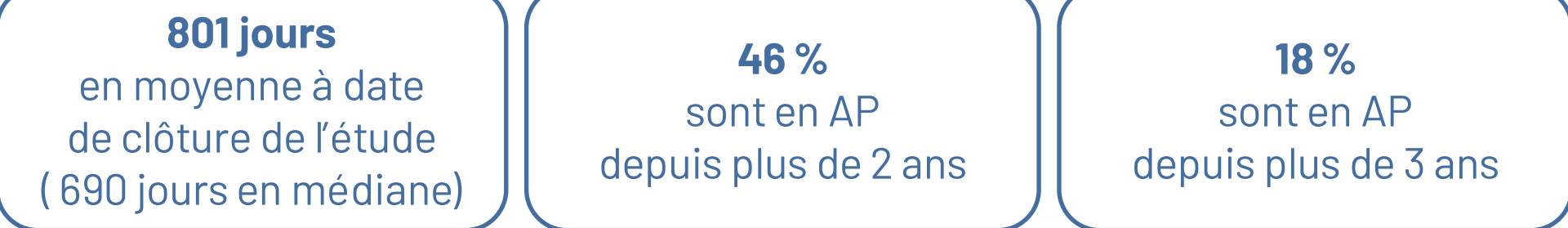
Décomposition de la durée totale moyenne parmi les AP terminés (n = 98)

La durée totale moyenne des AP terminés était de 556 jours - répartie entre deux phases dont les délais réglementaires théoriques sont de 90 jours chacune

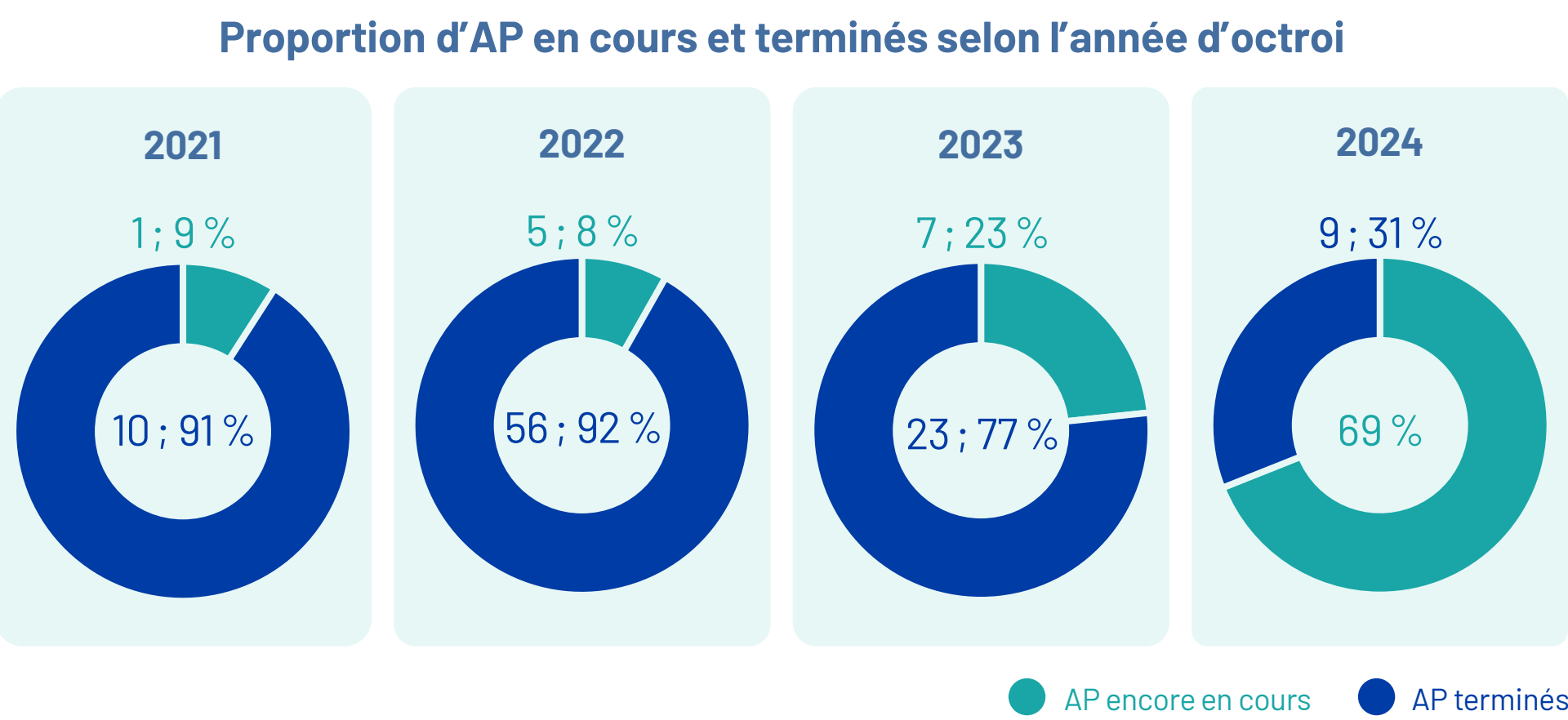


76 % de la durée des AP correspond à la phase de négociation entre les industriels et le CEPS

AP encore en cours (à date de clôture de l'étude) (n = 33)



Ces AP étaient majoritairement octroyés en 2024 (60,6 %) La durée minimale était de 459 jours, avec un maximum de 1 609 jours



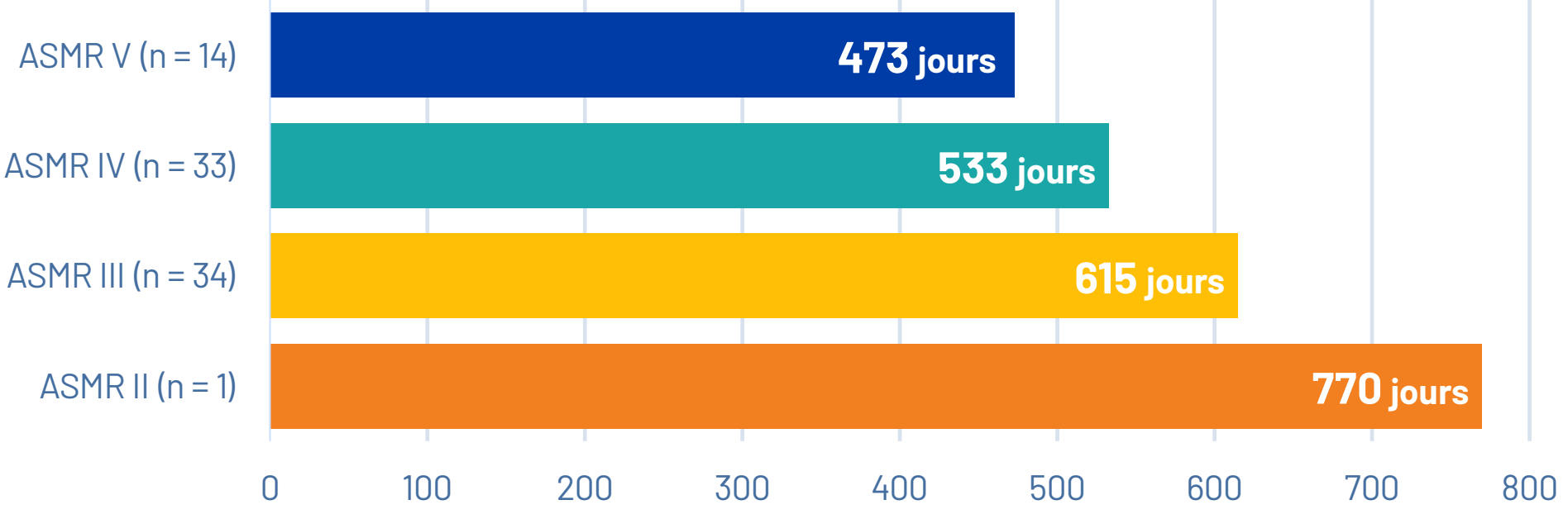
Références

Réforme AP : HAS¹ : Haute Autorité de Santé - Accès précoce à un médicament, Baromètre du LEEM² : Baromètre 360° sur l'attractivité de la France pour l'industrie pharmaceutique - Rapport complet, Site de la HAS³ : Haute Autorité de Santé - HAS - Professionnels, CEPS⁴ : Comité économique des produits de santé - CEPS - Ministère de la Santé, de la Famille, de l'Autonomie et des Personnes handicapées, Site du ministère de la santé⁵ : Autorisation d'accès précoce, autorisation d'accès compassionnel et cadre de prescription compassionnelle - Ministère de la Santé, de la Famille, de l'Autonomie et des Personnes handicapées, Autorisations d'accès précoce (ex-ATU) : montants des indemnités maximales - Ministère de la Santé, de la Famille, de l'Autonomie et des Personnes handicapées, Légifrance⁶ : Légifrance - Le service public de la diffusion du droit, ANSM⁷ : Accueil - ANSM, Base de données publiques des médicaments⁸ : Base de Données Publique des Médicaments, Vidal⁹ : VIDAL, Éclairer vos décisions médicales - VIDAL.

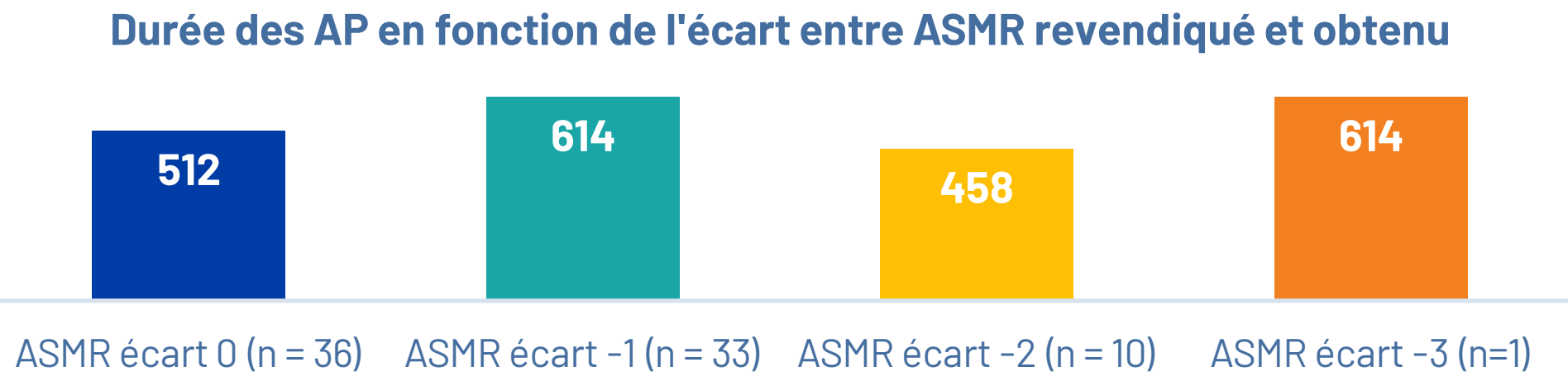
Déterminants et durées associées

Durée AP selon l'ASMR obtenu

Pour les AP terminés et dont les médicaments étaient disponibles sur le marché (n = 82), 1 médicament (1 %) avait obtenu un ASMR II, 42 % un ASMR III, 40 % un ASMR IV et 17 % un ASMR V.



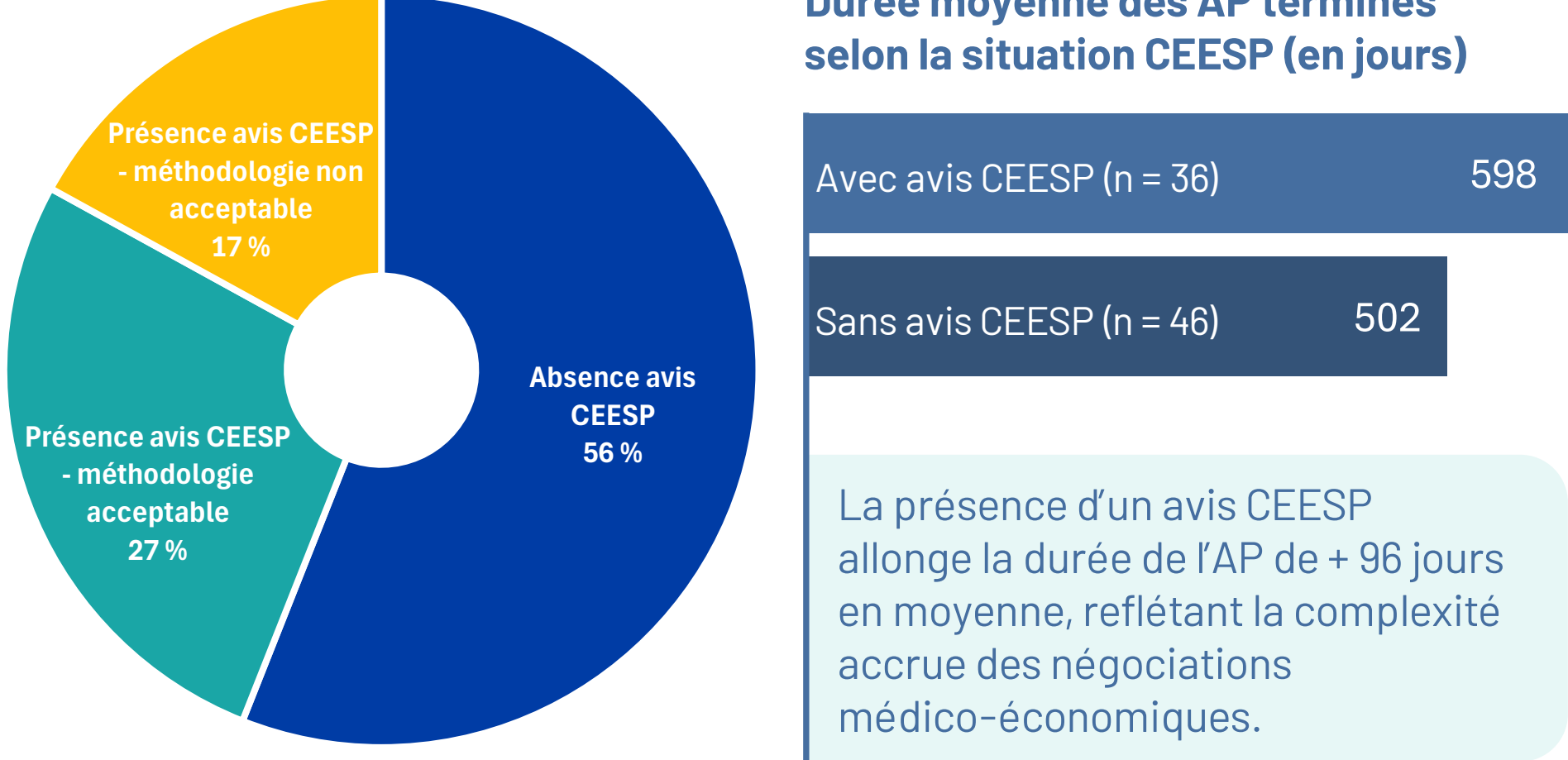
Parallèlement, l'écart entre l'ASMR revendiqué et l'ASMR obtenu n'impactait pas la durée des AP. En effet, les laboratoires obtenant l'ASMR revendiqué avaient des AP avec une durée similaire à ceux n'ayant pas obtenu le l'ASMR revendiqué.



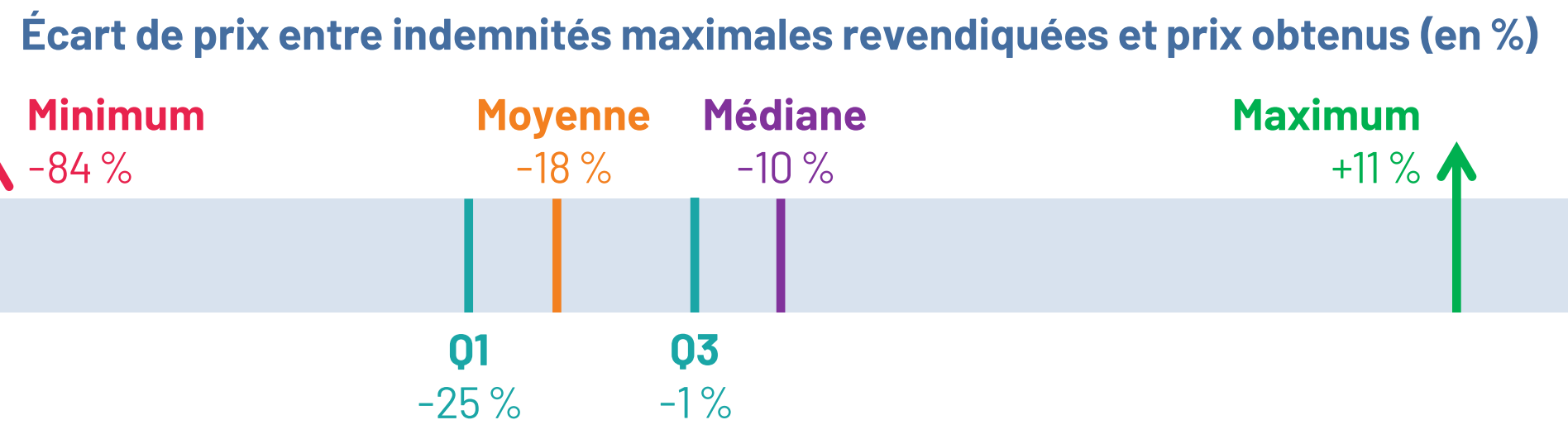
Durée des AP et avis CEESP

Parmi ces 82 AP terminés et disponibles sur le marché, 36 ont fait l'objet d'un dépôt de dossier CEESP par les laboratoires.

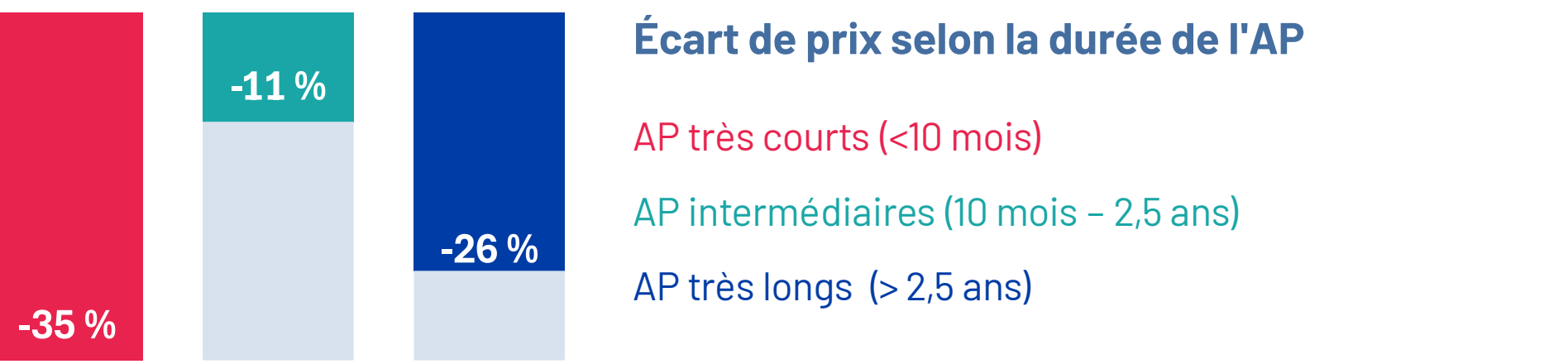
Parmi ces 36 dossiers examinés par la CEESP, 14 reposaient sur une méthodologie jugée non acceptable par la commission, notamment en raison de réserves majeures, tandis que 22 présentaient une méthodologie considérée comme acceptable.



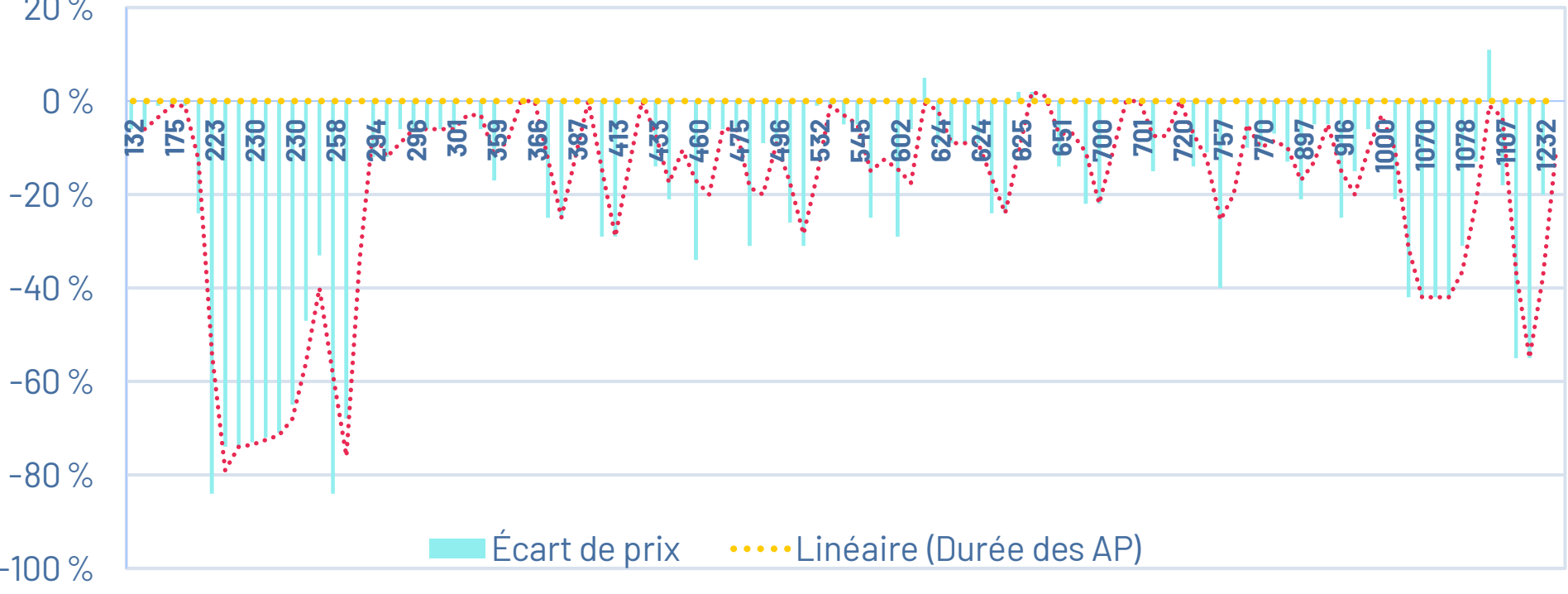
Indemnités revendiquées, prix obtenus et durées des AP



L'écart de prix entre l'indemnité maximale revendiquée par les laboratoires et le prix obtenu semblait avoir un impact sur la durée des AP concernés.



Écart de prix (l'indemnité maximale - prix obtenu) en fonction de la durée de l'AP



Impact de l'avis CEESP sur l'écart de prix (indemnité maximale → prix JO)

Situation	Moyenne	Médiane
Sans avis CEESP - total	-22 %	-13 %
Avec avis CEESP - total	-10 %	-6 %
Avec CEESP - méthodologie acceptable	-12 %	-9 %
Avec CEESP - méthodologie non acceptable	-7 %	-3 %

La validité ou non du modèle CEESP ne semble pas jouer en faveur d'une diminution de l'écart : les médicaments avec une méthodologie validée perdaient en moyenne plus que ceux avec des méthodologies non validées (-12 % vs -7 %)