Usage compassionnel

Qu’est-ce que l’usage compassionnel ?

Le terme « usage compassionnel » fait référence à des programmes spéciaux mis en place pour mettre des médicaments non autorisés à la disposition de patients. Il peut s’agir en particulier d’une manière de mettre à disposition un médicament prometteur mais pas encore autorisé pour des patients présentant les caractéristiques suivantes :

- Ne pouvant pas actuellement être traités de manière satisfaisante par des médicaments autorisés.
- Souffrant d’une maladie pour laquelle aucun médicament n’a encore été autorisé.
- Ne pouvant pas intégrer un essai clinique en cours.

Tous les médicaments sont autorisés pour un usage spécifique. Lorsqu’ils sont prescrits pour une utilisation différente, on appelle cela un usage « hors indication ». Cet article traite de l’usage compassionnel.

Quels médicaments peuvent être mis à disposition via un usage compassionnel ?

Les programmes d’usage compassionnel peuvent être mis en place uniquement pour les médicaments devant aider les patients atteints de maladies constituant un danger de mort, de longue durée ou gravement invalidantes.

Dans les programmes d’usage compassionnel, les médicaments ont généralement été soumis à un développement clinique précoce

incluant des études de toxicologie et de premiers essais sur des sujets humains. Des questions peuvent être encore en suspens concernant le profil d'innocuité du médicament et quelques incertitudes quant au dosage optimal et au schéma posologique.

Comment fonctionnent les programmes d'usage compassionnel ?

Les programmes d'usage compassionnel sont coordonnés et implémentés au niveau national, chaque État décidant indépendamment de quelle manière et à quel moment ouvrir ces programmes, en fonction de la législation et des règles nationales.

Les docteurs souhaitant obtenir un médicament prometteur pour les patients gravement malades doivent contacter l'autorité nationale compétente dans leur pays et suivre la procédure correspondante. L'autorité nationale tient un registre des patients traités dans le cadre de ses programmes d'usage compassionnel et des systèmes sont en place pour enregistrer tous les effets secondaires rapportés par les patients ou par leurs médecins.

Comment un patient peut-il intégrer un programme d'usage compassionnel ?

Pour intégrer un programme d'usage compassionnel, les patients doivent en parler avec leur docteur. Les médecins peuvent tout d'abord conseiller le patient concernant un éventuel essai clinique adapté dans le pays qu'il pourrait intégrer. En effet, les médicaments qui ne sont pas encore autorisés sont généralement tout d'abord mis à la disposition des patients via des essais cliniques. Les médecins peuvent également conseiller le patient sur le mode de fonctionnement des programmes d'usage compassionnel dans leur pays.

Le cas échéant, le docteur peut s'adresser à l'autorité nationale responsable des programmes d'usage compassionnel dans le pays pour vérifier si un programme adéquat est

disponible.

Quel est le rôle de l’Agence européenne des médicaments dans l’usage compassionnel ?

Le Comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l’Agence européenne des médicaments (EMA) peut fournir des recommandations à tous les États membres de l’UE sur l’administration, la distribution et l’utilisation de certains médicaments dans un usage compassionnel. Il identifie également quels patients pourraient bénéficier de programmes d’usage compassionnel.

Le CHMP peut fournir ces recommandations à la demande d’un État membre. Il peut également communiquer ces recommandations lorsqu’il prend connaissance qu’un certain nombre de programmes d’usage compassionnel concernant un médicament spécifique sont mis en place dans des États membres.

Les recommandations du CHMP visent à normaliser les programmes d’usage compassionnel dans l’UE et peuvent également contribuer à éclaircir les conditions de programmes d’usage compassionnel existants. Néanmoins, les recommandations du CHMP n’ont aucune implication légale et ne sont mises en place que par les États membres souhaitant les suivre.

L’EMA publie sur son site Web une liste d’avis adoptés par le CHMP sur l’usage compassionnel des médicaments. Ce registre inclut également des informations sur les recommandations de l’Agence, telles que la manière dont le médicament devrait être utilisé et les patients concernés.

Existe-t-il des méthodes autres que

l’usage compassionnel pour obtenir des médicaments avant autorisation ?

Les docteurs peuvent également obtenir un médicament prometteur pour un patient en demandant au fabricant de leur en procurer pour un usage réservé à un patient sous leur responsabilité immédiate. Ce traitement est souvent qualifié comme étant pour un « patient désigné nommément » et ne doit pas être confondu avec les programmes d’usage compassionnel. Dans ce cas, le docteur responsable du traitement contactera le fabricant directement. Si les fabricants enregistrent effectivement ce qu’ils fournissent, il n’existe pas de registre central des patients recevant un traitement de cette manière.

Parfois les patients peuvent intégrer des « programmes d’accès étendu ». Une société qui fabrique un médicament prometteur peut choisir d’exécuter un de ces programmes pour permettre un accès précoce audit médicament et pour élargir son usage à des patients qui pourraient en tirer un bénéfice. Par exemple, des patients qui ont été traités avec le médicament pendant un essai clinique et qui souhaitent poursuivre le traitement pourraient être en mesure de le faire via un programme d’accès étendu. Ces programmes sont souvent autorisés par les autorités nationales de la même manière que les essais cliniques et les patients sont suivis de la même façon que les patients prenant part à un essai clinique.

La FDA utilise les termes « accès étendu » et « usage compassionnel » indifféremment. Ce n’est pas le cas en Europe.

Ce texte a largement été adapté du document de questions et réponses sur l’usage compassionnel des médicaments dans l’Union européenne, des lignes directrices sur l’usage compassionnel des médicaments tel que prévu à l’article 83 du

règlement (CE) no 726/2004 et du site Web de l’EMA.

A2-5.14.2-V1.0