

# Présentation du SDM-T

Camille Thomassin

*Haute Autorité de Santé, Cellule de  
coordination des données en vie réelle*

Bénédicte Sabin

*CO BNDMR*



[bndmr.fr](http://bndmr.fr)



- ▶ **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 priorités 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

# Intérêt du SDM-T pour l'accès précoce : Perspective de la HAS

## Les étapes du développement d'un médicament

### Les possibilités d'accès précoce



« Pour un nouveau médicament ou une nouvelle indication, les accès précoces représentent la première opportunité de collecte de données observationnelles/en vie réelle en France pour documenter son utilisation et alimenter les futures étapes d'évaluation par la commission de la transparence en vue de l'inscription sur les listes des médicaments remboursables. »

**Dans sa doctrine la HAS porte une attention particulière aux points suivants :**

- *La qualité et l'exhaustivité des données ;*
- *L'implication du patient dans le dispositif ;*
- *La simplification de la collecte sur le terrain par les cliniciens, les pharmaciens et le patient ;*
- *La possible réutilisation des données à des fins de recherche, notamment dans le cadre d'études post-inscription et après obtention des autorisations réglementaires nécessaires.*

# 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	XXXXXXXX
Date de mise à disposition du médicament dans le cadre de l'accès précoce	XXXXXXXX
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 obligation 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

# Affichage minimal 1/2

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

## Fiche patient : XXXXXX

SDM- T « NOM 1 »

TITRE LONG DU SDM-T  
Nom du/des médicament(s) (DCI et nom)

### Fiche Initiation

Contexte de prescription du médicament\*

Indication

Date d'initiation\*

#### Administration initiale

Voie d'administration\*

Administration selon la posologie recommandée du RCP  
(Résumé des Caractéristiques du Produit)

Traitements antérieurs pour la même maladie rare

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

Traitements concomitants en lien avec la même maladie rare

Traitement	Date de début	Date d'arrêt	+
<input type="text"/>	<input type="text"/>	<input type="text"/>	
<input type="text"/>	<input type="text"/>	<input type="text"/>	

# Affichage minimal 2/2

Comorbidités

Taille du patient à l'initiation  cm

Poids du patient à l'initiation  kg

**Efficacité à l'initiation**

*2 items personnalisables*

**Evaluation de la qualité de vie du patient**  
*Le questionnaire ci-dessous s'adresse au patient*

[Ouverture du questionnaire du patient](#)

**Fiche Suivi/modification**

Suivi #1 [+](#)

Date

*2 items personnalisables*

Évènement(s) indésirable(s)\*

Arrêt définitif\*

Modification du traitement

**Evaluation de la qualité de vie du patient**  
*Le questionnaire ci-dessous s'adresse au patient*

[Ouverture du questionnaire du patient](#)

# Protocole d'utilisation temporaire et de recueil de données (PUT-RD)

« L'autorisation d'accès précoce est subordonnée au respect, par l'entreprise qui assure l'exploitation du médicament, d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données, défini par la Haute Autorité de santé et annexé à la décision d'autorisation. »

## → Capitaliser sur les données préexistantes pour optimiser et simplifier les collectes de données

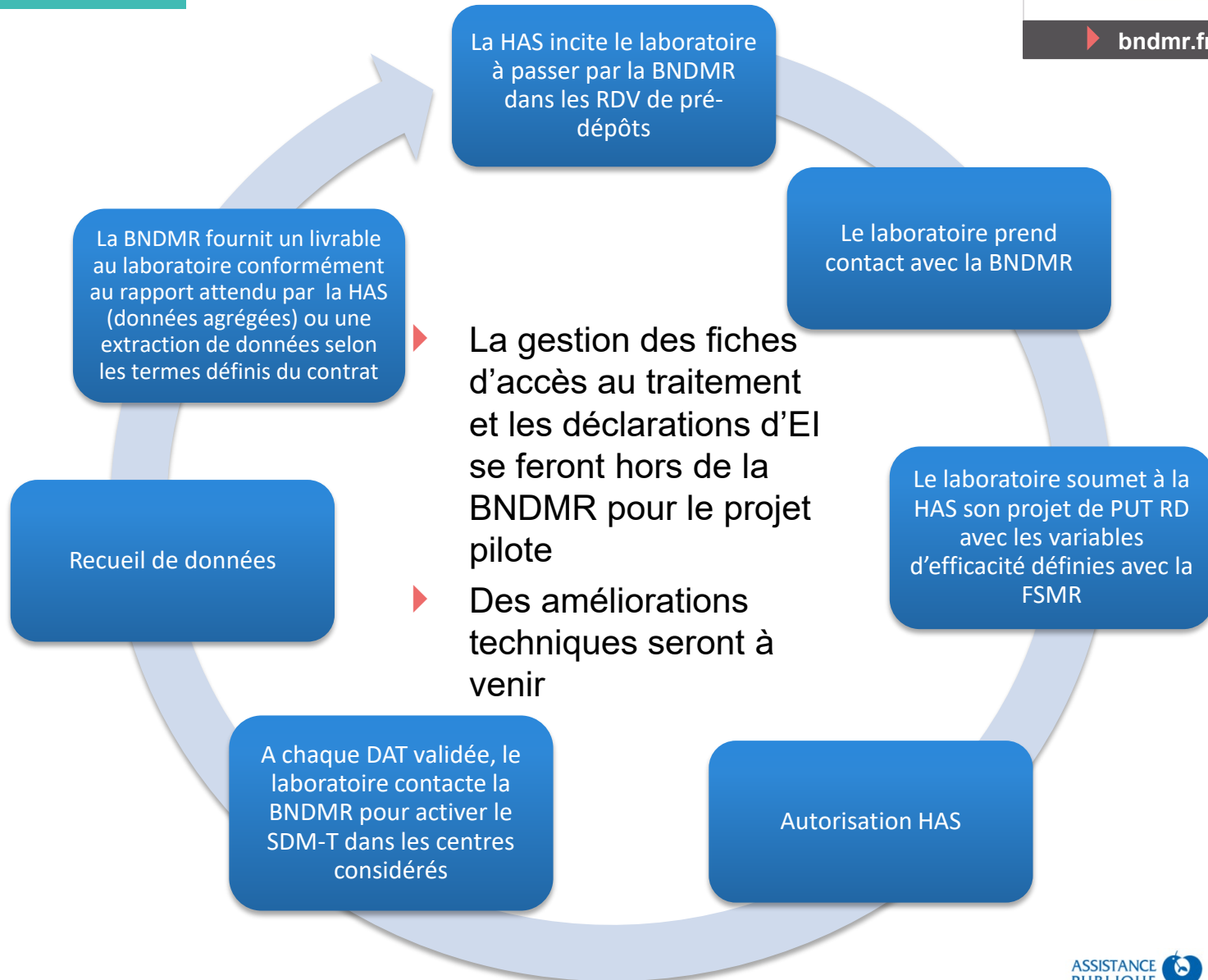
- Intérêt majeur du SDM-T dans le champs des maladies rares avec prescription par des centres experts, dès lors qu'il n'existe pas de registre maladie ou que celui-ci n'est pas encore adapté pour cette finalité
- Minimiser les doublons de saisie par les centres tout au long de l'accès précoce!
- Des PUT-RD développés par les laboratoires avec l'appui des filières et de la BNDMR, donc une meilleure adéquation de la collecte de données aux spécificités de chaque pathologie
- Outil développé en étroite collaboration avec la HAS et l'ANSM pour répondre aux exigences du PUT-RD sur les variables à collecter

### Au final:

- ✓ une validation plus facile des PUT-RD par la HAS;
- ✓ des données issues de l'accès précoce plus complètes et plus qualitatives, pour une contribution plus pertinente à l'évaluation des produits de santé par la commission de la transparence

La HAS a engagé une réflexion pour identifier un « pilote » pour un accès précoce dans une maladie rare.

# 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<sup>e</sup> 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<sup>e</sup> phase : collecte de données dans le SDM-T après autorisation CPC à la charge du laboratoire
  
- ▶ Travaux d'évaluation de la faisabilité d'une interopérabilité entre eSaturne et BaMaRa pour le recueil dans les AAC en cours



- ▶ 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 *le cas échéant*

# 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

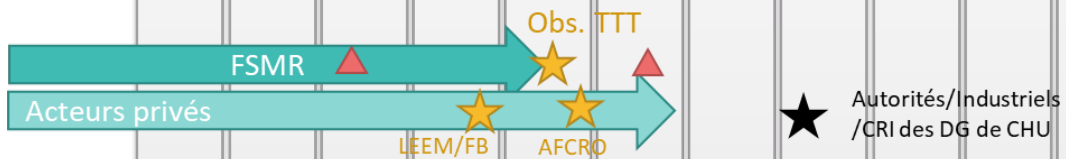
# Rétroplanning

S2 2022

S1 2023

Juil Aoû Sep Oct Nov Déc Jan Fév Mar Avr Mai Juin Juil

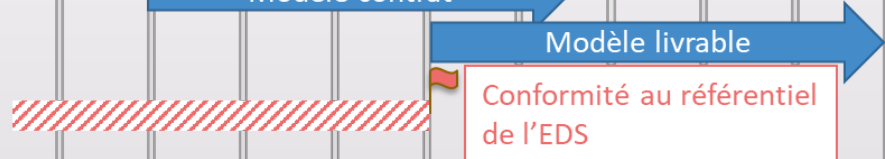
Concertation



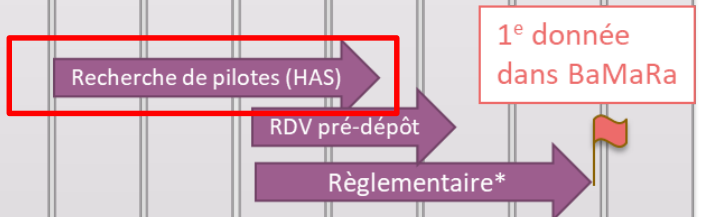
Documentation



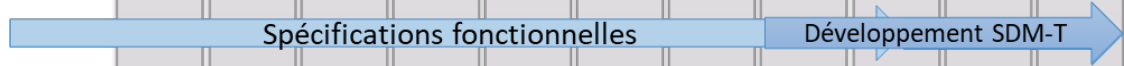
CNIL



Projets pilotes



Développement



20

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