

Déclaration de position d'EMD Serono sur l'accès précoce aux médicaments expérimentaux

Pourquoi est-ce important ?

Les patients atteints d'une maladie ou affection potentiellement mortelle, chronique ou lourdement invalidante vivent avec l'espoir que demain leur apportera un nouveau médicament capable de prolonger et d'améliorer leur vie. EMD Serono **s'engage à développer de nouveaux médicaments pour les patients** atteints de ce type de maladie ou d'affection **de la manière la plus rapide et la plus sûre qui soit.**

Pour EMD Serono, la meilleure manière de remplir cet engagement consiste à réaliser des essais cliniques afin d'évaluer l'innocuité et l'efficacité des médicaments expérimentaux. Une fois l'innocuité et l'efficacité prouvées, cela nous permet d'obtenir une autorisation de mise sur le marché délivrée par Santé Canada et d'offrir aux patients un large accès à ces nouveaux médicaments.

EMD Serono estime que les patients qui souhaitent accéder aux médicaments expérimentaux doivent être encouragés à participer aux essais cliniques, dont l'objectif est d'obtenir l'autorisation pour de nouveaux médicaments efficaces et bien tolérés pour le plus grand nombre de patients. Au cours de l'essai clinique, de nouvelles données peuvent être générées indiquant un avantage clinique important pour certains patients. Plus l'avantage est important pour ces patients, plus il est urgent de rendre le médicament plus largement accessible.

Bien que de nombreux patients puissent accéder à un médicament expérimental dans le cadre de ses essais cliniques, EMD Serono a conscience que certains patients ne sont pas admissibles ou en mesure de participer à un essai clinique, car tous ne sont pas ouverts au recrutement. Ces patients peuvent également souhaiter accéder au médicament expérimental testé avant que sa commercialisation ne soit autorisée.

L'accès précoce est un dispositif qui permet aux patients atteints de maladies ou affections potentiellement mortelles, chroniques ou lourdement invalidantes d'accéder de manière éthique, conforme et contrôlée à un médicament expérimental non autorisé en dehors des essais cliniques lorsqu'il n'existe aucune thérapie alternative satisfaisante.

Ces mécanismes possèdent différentes appellations, dont celle de Programme d'accès spécial. Toutefois, EMD Serono les englobe tous sous le terme générique d'« **accès précoce** » (*Early Access*).

Les mécanismes d'accès précoce fonctionnent en dehors de l'essai clinique et ne sont donc généralement pas destinés aux participants aux essais cliniques qui pourraient dans ce cas continuer à bénéficier du médicament expérimental après avoir participé à un essai.

EMD Serono encourage les patients à consulter leur médecin afin de définir la meilleure solution en fonction de leurs besoins individuels.

Déclaration de position d'EMD Serono

EMD Serono envisagera de permettre à des patients d'accéder à un médicament expérimental en dehors d'un essai clinique uniquement dans le cadre des lois et règlements fédéraux et provinciaux en vigueur en s'appuyant sur les 5 principes suivants :

- Principe n° 1 : le patient est atteint d'une maladie ou affection potentiellement mortelle, chronique ou lourdement invalidante. Pour bénéficier d'un accès précoce au médicament, le patient doit être atteint d'une maladie ou affection potentiellement mortelle, chronique ou lourdement invalidante. Le patient doit par ailleurs avoir épuisé toutes les options thérapeutiques disponibles généralement utilisées pour soigner la maladie ou ne doit plus parvenir à tolérer ces traitements. EMD Serono peut également appliquer d'autres critères et demander certains documents, parmi lesquels le consentement éclairé du patient et une attestation du médecin traitant du patient concernant l'éligibilité du patient à l'accès précoce si les lois et règlements fédéraux et provinciaux l'exigent.
- Principe n° 2 : le médicament expérimental doit être en développement clinique actif. Le médicament expérimental doit être en développement clinique actif pour qu'EMD Serono soutienne l'accès précoce à ce médicament. Si le développement clinique d'un médicament expérimental est interrompu pour quelque raison que ce soit, ce médicament ne sera pas, en règle générale, proposé en accès précoce. En fonction des lois et règlements applicables, des critères supplémentaires devront parfois être remplis pour que le médicament expérimental puisse être fourni.
- Principe n° 3 : le patient ne remplit pas les conditions pour participer à un essai clinique, ou ne peut pas y participer pour quelque raison. Pour bénéficier d'un accès précoce à un médicament expérimental, un patient ne doit généralement pas remplir les critères pour participer à un essai clinique. Comme expliqué ci-dessus, EMD Serono peut demander une attestation du médecin du patient concernant son éligibilité à l'accès précoce si les lois et règlements locaux l'exigent.
- Principe n° 4 : les bénéfices potentiels pour le patient doivent être supérieurs aux risques encourus. Les bénéfices potentiels pour le patient souhaitant bénéficier d'un accès précoce doivent généralement être supérieurs aux risques encourus combinés du médicament expérimental et de l'issue de la maladie elle-même. Afin de soutenir l'utilisation du médicament expérimental pour le traitement médical du patient, il convient de fournir des preuves d'efficacité suffisantes attestant que l'individu peut en retirer un bénéfice clinique important. Pour les thérapies moléculaires ciblées, il convient de fournir une analyse biologique de la maladie associée à des données cliniques humaines suffisantes pour justifier que les bénéfices potentiels pour le patient justifient les risques encourus liés à l'utilisation du traitement et que ces risques potentiels ne sont pas déraisonnables dans le contexte de la maladie à traiter. De plus, il convient de fournir suffisamment de preuves pour prouver que le médicament expérimental aura un profil d'innocuité acceptable pour le patient ou la population de patients ciblés.

- Principe n° 5 : l'accès précoce ne doit pas mettre en péril le programme de développement clinique en cours. Le processus d'essai clinique doit être mené à son terme afin de démontrer qu'un médicament expérimental est sans danger et efficace pour l'indication thérapeutique proposée. Ceci est nécessaire pour obtenir l'autorisation de mise sur le marché accordée par Santé Canada et rendre le nouveau médicament accessible à la population de patients la plus large possible. Ainsi, l'autorisation d'accès à un médicament expérimental dans le cadre d'un programme d'accès précoce ne doit pas retarder, interférer ni compromettre l'achèvement des essais cliniques destinés à faire autoriser le médicament par Santé Canada. EMD Serono prendra par exemple en compte l'existence de réserves suffisantes du médicament expérimental pour les essais cliniques en cours et prévus, ainsi que l'accès commercial futur au médicament après son autorisation. Si un accès précoce a été autorisé par EMD Serono, celui-ci pourra néanmoins être interrompu dans certains cas, comme la découverte de nouvelles conclusions ou des stocks de médicament expérimental limités.

La décision d'accorder aux patients un accès précoce à des médicaments expérimentaux s'appuie sur un examen minutieux des demandes. EMD Serono s'engage à étudier toutes les demandes de manière juste et équitable. Afin de juger si l'accès à un médicament expérimental est la meilleure option thérapeutique possible pour un patient, la demande d'accès précoce doit généralement provenir du médecin traitant du patient. EMD Serono pourra demander des informations plus détaillées afin d'évaluer pleinement une demande. L'autorisation de Santé Canada est requise avant qu'EMD Serono puisse accorder l'accès à un médicament expérimental. Selon la situation, le médecin requérant pourra choisir de déposer une demande auprès de Santé Canada et d'EMD Serono de manière simultanée ou consécutive. Le médecin requérant doit s'engager à respecter les obligations réglementaires applicables, comme l'obtention du consentement du patient, la surveillance du patient et les rapports de pharmacovigilance.

Chaque demande sera soigneusement examinée par EMD Serono. Rien ne garantit que l'accès précoce à un médicament expérimental sera autorisé. Certaines circonstances, non mentionnées ci-dessus, peuvent s'opposer à un accès précoce. De ce fait, EMD Serono décidera d'autoriser l'accès précoce à un médicament expérimental au cas par cas. Ses décisions sont irrévocables.

Le développement de médicaments innovants, sans danger et efficaces contre des maladies ou affections potentiellement mortelles, chroniques ou lourdement invalidantes représente un défi urgent et unique qui requiert une attention spéciale. EMD Serono continuera à œuvrer pour les patients, les groupes de défense des patients, Santé Canada, les professionnels de santé, le monde universitaire et les législateurs afin de veiller à ce qu'il y ait des approches réglementaires adaptées et ciblées pour accélérer le développement et la mise à disposition de nouveaux médicaments innovants pour les patients.

Déposer une demande d'accès précoce

Les médecins qui souhaitent faire une demande d'accès précoce à des médicaments



expérimentaux doivent envoyer leur demande à earlyaccess@emdserono.com. Les médecins peuvent déposer leur demande auprès d'EMD Serono avant ou en même temps que celle déposée auprès de Santé Canada.

Nous consultons régulièrement cette messagerie et nous efforcerons d'accuser réception de chaque demande dans les 3 jours ouvrés suivant sa réception.