

## SKYCLARYS : le point au 4 octobre 2023 - Le Conseil d'Administration de l'AFAF -

Voici les informations dont nous disposons actuellement

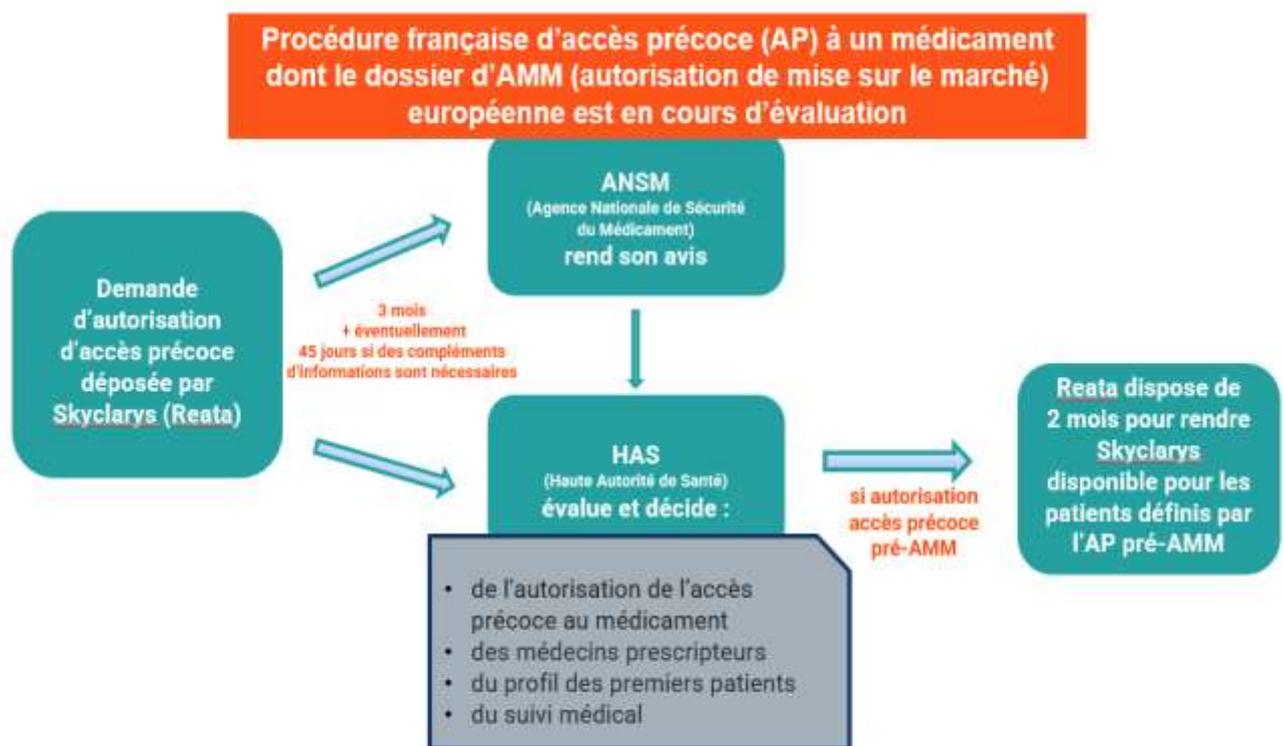
Le 3 juillet 2023, la société Reata Pharmaceuticals a déposé en France un **dossier d'accès précoce pour le SKYCLARYS (omaveloxolone)** auprès de la Haute Autorité de Santé (HAS) et de l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé (ANSM).



**SKYCLARYS**<sup>®</sup>  
(omaveloxolone) 50 mg  
capsules

Dès validation du dossier complet, ces agences ont trois mois au maximum pour statuer sur cette demande, donc retour espéré en octobre.

Reata Pharmaceuticals dispose alors de deux mois pour rendre la molécule disponible auprès des patients éligibles pour les premières prescriptions.



Ensuite la mise à disposition du médicament pour l'ensemble de la population AF se fera alors en deux phases : **d'abord des prescriptions via la procédure d'Accès Précoce à la molécule (AP1), puis une deuxième phase d'Accès Précoce (AP2) qui se mettra en place après l'obtention de l'Autorisation de Mise sur le Marché européen (AMM) de la molécule.**

- **Phase 1 (AP1) : premières prescriptions par la « procédure d'accès précoce à la molécule »** (voir sur le site de la HAS).

Dans cette phase courte, les agences de santé définissent le cadre de prescription et la surveillance suivant des critères définis dans un protocole d'utilisation thérapeutique (PUT) et de recueil des données (RD).

Le recueil de données concernant l'accès précoce de Skyclarys (SDM-T) sera réalisé par la Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR), dans le cadre d'un projet pilote avec REATA. Ces données seront transmises aux agences réglementaires.

Le Centre de Référence Maladies Rares (CRMR) Neurogène est très investi sur ce dossier, et, en attente de l'aval des agences, réfléchit à divers points (prescriptions, suivis, délais d'accès aux consultations).

- **Phase 2 (AP2) : l'obtention de l'AMM européenne pour l'omaveloxolone est espérée au cours du premier semestre 2024.** L'accès précoce (AP2) restera en place parallèlement au déroulement des processus de remboursement et de prise en charge par l'assurance maladie dans le cadre du droit commun.
- Par ailleurs, Reata Pharmaceuticals vient d'être racheté par le laboratoire américain BIOGEN qui devrait assurer la mise à disposition d'omaveloxolone sur le marché français.
- L'AFAP est associée depuis le début à ce dossier et a été consultée en septembre par la HAS.
- Vous serez régulièrement informés de l'avancement du dossier.

## **L'autorisation d'accès précoce (AAP) aux médicaments innovants**

*Voir sur le site de la HAS : [procédure accès précoce](#)*

En France, depuis le 1<sup>er</sup> juillet 2021, il existe un dispositif exceptionnel dans les maladies rares : l'Autorisation d'Accès Précoce (AAP) à un médicament innovant, un dispositif dérogatoire exceptionnel qui permet la mise à disposition et la prise en charge financière d'un médicament (dans une ou plusieurs indications) avant son remboursement par l'Assurance maladie dans le cadre du droit commun.

- **Objectif : accélérer l'accès à ce médicament pour les patients en impasse thérapeutique.**

Une autorisation d'accès précoce peut être accordée sur demande du laboratoire pour un traitement qui remplit chacune des conditions suivantes :

- Lorsqu'il ne bénéficie pas encore d'une autorisation de mise sur le marché, l'efficacité et la sécurité de ce médicament sont fortement présumées au vu des résultats d'essais thérapeutiques
- Il est indiqué dans une maladie grave, rare et invalidante
- Il n'existe pas de traitement approprié
- La mise en œuvre du traitement ne peut être différée
- Ce médicament est présumé innovant