

Dossier Skyclarys - Le point au 30/11/2023

Le 21 novembre 2023, la HAS et l'ANSM ont donc donné leur accord pour la prescription du Skyclarys via un dispositif exceptionnel qu'est l'**autorisation d'accès précoce** (AAP ⁽¹⁾) à une molécule **avant** l'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM).

Les molécules prescrites en accès précoce relèvent de la catégorie des médicaments **soumis à prescription hospitalière, réservée aux spécialistes en neurologie ou en neuropédiatrie** et nécessitant une **surveillance particulière** pendant le traitement (attention aux ventes sur Internet).

Le Laboratoire (Reata, maintenant Biogen), le Centre de Référence Neurogénétique, et la Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR) ont maintenant un gros travail **d'organisation** (modalités de distribution, critères d'inclusion, suivi, etc.) et de **logistique** (acheminement du médicament...).

Voici quelques précisions sur les grandes lignes des étapes suivantes connues au 30 novembre :

- **1^{ère} étape : Prescription via accès précoce (pré AMM)**
 - Le Laboratoire a l'obligation de rendre disponible le traitement à partir de Février 2024
 - Les modalités de distribution sont en cours de définition
 - Un bilan cardiologique datant de moins d'un an sera nécessaire (ECG, échographie, consultation) lors des prescriptions
 - Les données de suivis des patients seront transmises aux agences de santé (HAS et ANSM) via la BNDMR

- **2^e étape : Autorisation de Mise sur le Marché espérée mi 2024**
 - Une AMM européenne pour le Skyclarys fait l'objet d'une demande du labo à l'Agence du Médicament Européenne (EMA)
 - Cette AMM européenne permettra l'obtention d'une AMM en France (procédure centralisée au sein de l'Union européenne)

- **3^e étape : De l'AMM vers la décision de remboursement et de prix ⁽²⁾**
 - Négociations entre le Laboratoire et l'Assurance Maladie pour le prix et le remboursement

Concernant l'Essai pédiatrique (moins de 16 ans), Reata a déjà soumis un plan d'essai pédiatrique auprès des autorités américaines ⁽³⁾. Nous espérons que cet essai démarre rapidement, et soit d'une durée courte. Pour l'Europe, Reata a soumis à l'EMA une demande d'avis scientifique.

Nous espérons pouvoir vous fournir d'autres précisions mi-décembre !

Pour aller plus loin :

1. AAP : https://www.has-sante.fr/jcms/r_1500918/fr/acces-precoce-a-un-medicament
2. De l'AMM vers la décision de remboursement et de prix (source LEEM) : <https://www.calameo.com/read/0020492849f0c1767f35b?page=1>
3. Essai pédiatrique : <https://www.clinicaltrials.gov/study/NCT06054893?cond=Friedreich%20Ataxia&intr=Omaveloxolone&rank=1>.