

**UNIVERSITE TOULOUSE III PAUL SABATIER
FACULTE DES SCIENCES PHARMACEUTIQUES**

ANNEE : 2017

THESE 2017 TOU3 2012

THESE

POUR LE DIPLOME D'ÉTAT DE DOCTEUR EN PHARMACIE

Présentée et soutenue publiquement
par

Chloé PHULPIN

**USAGE COMPASSIONNEL DU MÉDICAMENT
EXEMPLES DE LA FRANCE ET DU ROYAUME-UNI, LIMITES ET
PERSPECTIVES**

07 Avril 2017

Directeur de thèse : Professeur Gérard CAMPISTRON

JURY

Président : Professeur Gérard CAMPISTRON
1er assesseur : Docteur Laure NADAL
2ème assesseur : Docteur Marion TEMPIER LOPEZ

Résumé :

Au cours de l'année 2015, l'Agence Européenne du Médicament a accordé quatre-vingt-treize recommandations positives à la mise sur le marché de nouveaux médicaments, dont trente-neuf d'entre eux étaient des médicaments innovants composés d'une nouvelle substance active.

Cependant, plusieurs années peuvent s'écouler entre le moment où un traitement expérimental innovant est développé, et le moment où il est prescrit à des patients. Comment s'assurer alors que les patients puissent avoir accès le plus rapidement possible à ces nouveaux traitements innovants ? C'est là toute la notion d'usage compassionnel du médicament, processus qui consiste à mettre un médicament sans autorisation de mise sur le marché à la disposition de patients atteints de pathologies invalidantes, chroniques, graves, voire létales, ne pouvant pas être pris en charge de manière satisfaisante par un médicament autorisé.

Cette thèse s'attache à faire l'état des lieux de cette notion d'usage compassionnel. La première partie permet de définir ce qu'est l'usage compassionnel, de voir dans quel contexte est née cette notion, et d'explorer quels sont les répercussions en termes de nombres de patients traités.

La seconde partie décrit les réglementations en place au sein de l'Union Européenne, et explore deux modèles d'implémentation de l'usage compassionnel du médicament : le modèle historique des Autorisations Temporaires d'Utilisation en France, et le modèle plus récent du Early Access to Medicines Scheme au Royaume-Uni.

La dernière partie explore les limites de l'usage compassionnel, en termes de mise en place, mais aussi d'éthique. Les rôles à jouer par les différents acteurs de l'usage compassionnel sont examinés, notamment ceux des associations de patients et de l'industrie pharmaceutique.

Titre et résumé en anglais / Title and summary in English :**Compassionate use of drugs. The examples of France and of the United Kingdom, limitations and perspectives.**

In 2015, ninety-three medicines for human use were recommended for marketing authorisation by the European Medicine Agency, of which thirty-nine were new active substances.

However, there could be several years between the moment the new experimental drug is developed, and the moment it is available for prescription. How can we then make sure that patients can access quickly these new innovative treatments? This is where the notion of compassionate use of drugs comes into place. Compassionate use is a process that allows non-authorised drugs to be made available for patients suffering from life-threatening, long-lasting or seriously debilitating illnesses, which cannot be treated satisfactorily with any currently authorised medicine.

This thesis will explore the notion of compassionate use, through its definition, when and why this process has been developed, and what is the impact in terms of number of treated patients.

The second part of this thesis will describe the regulatory framework in place in the European Union for compassionate use, and will focus on two examples: the historic example of the Temporary Use Authorisation in France, and the more recent example of the United Kingdom, with its Early Access to Medicines Scheme.

The last part will explore the limitations of compassionate use, in terms of set up and implementation, but also the ethical aspects of it. The various roles that the actors of compassionate use have to play will be reviewed, with an emphasis on patients' groups and the pharmaceutical industry.

Discipline administrative : Pharmacie**Mots-clés :** Usage compassionnel ; Accès précoce aux médicaments ; Autorisation temporaire d'utilisation ; ATU ; Early Access to Medicines Scheme ; EAMS ; Europe ; France ; Royaume-Uni**Intitulé et adresse de l'UFR :**

Faculté des Sciences pharmaceutiques, Toulouse III

35 Chemin des Maraîchers

31062 Toulouse

Directeur de thèse : M. CAMPISTRON Gérard