

[AMM, ATU, RTU, PGR... de quoi parle-t-on ?]

Le suivi du développement des produits de santé oblige les acteurs associatifs à se familiariser avec certains acronymes couramment employés par les acteurs du monde pharmaceutique. Dans le contexte de la mise à disposition d'un nouveau médicament, il est fréquent d'entendre parler d'AMM, d'ATU (de cohorte et nominative), de PGR, voire de RTU. Que se cache-t-il derrière ces acronymes barbares ? Petit lexique indispensable.

① Qu'est-ce que l'AMM ?

Pour être commercialisé, un médicament doit obtenir préalablement une autorisation de mise sur le marché (AMM). L'AMM est demandée par un laboratoire pharmaceutique, pour son médicament, sur la base d'un dossier comportant des données de qualité pharmaceutique, d'efficacité et de sécurité, pour un usage particulier (son « indication »).

Ces données sont issues des expérimentations conduites chez l'animal et d'essais cliniques menés chez l'homme, selon des normes fixées et harmonisées au niveau international.

Pour obtenir une AMM, l'évaluation des bénéfices du médicament doit être jugée favorable au regard de ses risques pour la santé du patient (c'est le « rapport bénéfice/risque »). Ce rapport bénéfice/risque doit être au moins équivalent à celui des produits déjà commercialisés pour le même usage.

Parfois, après la commercialisation, il arrive que le laboratoire pharmaceutique identifie de nouvelles indications thérapeutiques pour son médicament. Il doit alors déposer une nouvelle demande d'AMM pour que celles-ci soient incluses, le cas échéant.

② Les étapes de l'obtention de l'AMM

Toutes les informations collectées lors du développement du médicament (mécanisme biochimique, données de toxicologie obtenues chez l'animal, essais cliniques, etc.) sont présentées dans le dossier d'AMM qui est déposé par la laboratoire pharmaceutique qui propose le produit.

▪ **Lorsque le produit est innovant, ou s'il est destiné à plusieurs pays de l'Union européenne**, ce dossier est déposé auprès de l'Agence européenne du médicament (EMA, European Medicines Agency). Un État « rapporteur » du dossier est choisi, dont l'agence de sécurité des médicaments (en France, l'ANSM, Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé) est chargée de préparer sa présentation au Committee for Medical Products of Human use (CHMP). Celui-ci examine le dossier et, le cas échéant, recommande l'attribution de l'AMM. Celle-ci est alors accordée par la Commission européenne.

▪ **Lorsqu'une demande d'AMM est limitée à la France**, l'ANSM évalue le produit qui reçoit, en cas d'avis favorable, une AMM de portée nationale.

③ Les documents d'accompagnement de l'AMM

Une AMM est accompagnée de certains documents indispensables :

- le Résumé des caractéristiques du produit (RCP), sorte de fiche d'identité du médicament et de son usage (voir notre fiche « Lire un RCP ») ;
- la notice pour le patient qui présente l'essentiel des informations du RCP dans un vocabulaire plus accessible ;
- l'étiquetage, qui comprend notamment des informations nécessaires pour identifier le médicament (nom du médicament et de la substance active, dosage, forme pharmaceutique, date de péremption, conditions de conservation, pictogrammes relatifs à la conduite automobile, etc.)

Qu'est-ce qu'une ATU ?

Exceptionnellement, certains médicaments peuvent faire l'objet d'une Autorisation temporaire d'utilisation (ATU) ce qui les rend disponibles avant leur AMM, pour une durée limitée. C'est par exemple le cas des médicaments destinés à traiter des maladies graves ou rares, en l'absence d'autre traitement approprié, lorsque la mise en œuvre du traitement ne peut être différée.

Il peut s'agir d'une ATU dite « de cohorte », destinée à tous les patients qui remplissent un certain nombre de critères, ou une ATU « nominative » qui est attribuée à un patient donné après examen de sa situation particulière.





4 Quelle est la durée de l'AMM ?

Il n'y pas de durée fixe pour les AMM. Une AMM peut être suspendue ou retirée à tout moment si :

- des effets indésirables inacceptables apparaissent au long terme ;
- le médicament n'a pas la composition qualitative et quantitative déclarée ;
- les conditions prévues lors de la demande de mise sur le marché ne sont pas ou plus remplies ;
- l'étiquetage ou la notice du médicament ne sont pas conformes aux prescriptions générales ou spécifiques prévues.

Qu'est-ce qu'une RTU ?

Une Recommandation temporaire d'utilisation (RTU) est établie par l'ANSM pour des médicaments qui disposent d'une AMM et qui sont prescrits en dehors du cadre de cette autorisation (prescription « hors indications » ou « hors AMM »). La RTU précise notamment la posologie, la durée de traitement et la population cible pour cet usage hors AMM.

La RTU est assortie de l'obligation pour le laboratoire qui produit le médicament de mettre en place un suivi des patients traités via la RTU afin de mesurer l'efficacité et la sécurité de cette utilisation hors AMM.

Ainsi, à terme, l'ANSM peut suivre le rapport bénéfice/risque de ce nouvel usage. Lorsque ce rapport est favorable, le laboratoire pourra demander une révision de son AMM incluant cette nouvelle indication.

5 Après l'AMM, le médicament reste sous surveillance

Une fois commercialisé, le médicament reste sous surveillance des autorités sanitaires. Ainsi, le rapport bénéfices/risques du produit est évalué en permanence pour prendre la mesure des effets indésirables connus ou nouvellement identifiés.

Pour certains médicaments, depuis 2005, des plans de gestion des risques (PGR) sont mis en place. Ils permettent de mieux connaître leur sécurité d'emploi, dès leur mise sur le marché, en les étudiant en situation réelle de consommation. Des essais cliniques « en vie réelle » (dits « de phase IV ») peuvent également être exigés à la suite d'une AMM, en particulier lorsque celle-ci a été attribuée en réaction à une situation particulière nécessitant une certaine urgence de la mise à disposition.

Parfois, une AMM n'est pas suivie de commercialisation

Après l'obtention de l'AMM, le laboratoire pharmaceutique va négocier, pays par pays, les conditions de mise à disposition de son médicament, et en particulier son prix. Il arrive qu'un accord ne soit pas trouvé entre le laboratoire et les autorités administratives. Dans ce cas, le laboratoire peut décider de ne pas commercialiser son médicament dans le pays en question.



6 Pour aller plus loin

« Comprendre l'évaluation des médicaments », Haute autorité de santé, 2019

https://www.has-sante.fr/jcms/c_412115/fr/comprendre-l-evaluation-des-medicaments

« L'AMM et le parcours du médicament », ANSM

[https://www.ansm.sante.fr/Activites/Autorisations-de-Mise-sur-le-Marche-AMM/L-AMM-et-le-parcours-du-medicament/\(offset\)/3](https://www.ansm.sante.fr/Activites/Autorisations-de-Mise-sur-le-Marche-AMM/L-AMM-et-le-parcours-du-medicament/(offset)/3)

« Qu'est-ce qu'une autorisation temporaire d'utilisation ? », ANSM

[https://www.ansm.sante.fr/Activites/Autorisations-temporaires-d-utilisation-ATU/Qu-est-ce-qu'une-autorisation-temporaire-d-utilisation/\(offset\)/1](https://www.ansm.sante.fr/Activites/Autorisations-temporaires-d-utilisation-ATU/Qu-est-ce-qu'une-autorisation-temporaire-d-utilisation/(offset)/1)

« Les Recommandations temporaires d'utilisation », ANSM

[https://www.ansm.sante.fr/Activites/Recommandations-Temporaires-d-Utilisation-RTU/Les-Recommandations-Temporaires-d-Utilisation-Principes-generaux/\(offset\)/0](https://www.ansm.sante.fr/Activites/Recommandations-Temporaires-d-Utilisation-RTU/Les-Recommandations-Temporaires-d-Utilisation-Principes-generaux/(offset)/0)

