

COMMENT AMÉLIORER L'ÉVALUATION DES MÉDICAMENTS ?

Orateurs : **Lionel COLLET**, Président de la Haute Autorité de Santé - HAS | France, **Christophe DURAND**, Président de Bristol Myers Squibb France | France, **Thierry HULOT**, Président du LEEM | France, **Christelle RATIGNIER-CARBONNEIL**, Vice-Chair à l'Agence européenne des médicaments - EMA et Directrice générale de l'ANSM | France

Débat animé par **Antoine MIALHE**, Associé chez FTI Consulting | Belgique

L'évolution de l'évaluation des médicaments nécessaire face à l'augmentation des innovations de ruptures et de la médecine personnalisée

L'innovation thérapeutique est en plein essor, avec une augmentation significative du nombre de traitements disponibles. Cependant, l'introduction de ces innovations sur le marché dépend d'une évaluation approfondie qui tient compte du niveau de risque pour les patients et des aspects financiers, et qui évalue la qualité, l'efficacité et l'efficacité des médicaments. L'augmentation des innovations de rupture, et notamment de la médecine personnalisée, ayant vocation à s'adapter aux spécificités du patient, nécessite d'adapter l'évaluation du rapport bénéfice/risque en fonction des situations, des populations et des pathologies pour permettre un accès le plus sécurisé possible à ces traitements. En ce sens, l'évaluation des médicaments traitant des pathologies rares, avec des populations cibles d'échantillon réduit, a déjà commencé à évoluer vers d'autres types d'études, que l'étude randomisée (comparaisons indirectes).

Le contrat de performance : un levier pour faire face aux coûts importants des médicaments innovateurs ?

Un tiers des produits n'arrivent pas sur le marché français alors qu'ils sont disponibles au niveau européen, et ce notamment à cause du prix de remboursement. Pourtant, certains traitements ont un impact bénéfique sur la société, également financier, qui va bien au-delà du coût de mise à disposition du médicament. Par ailleurs, l'absence de connaissance de l'efficacité en situation réelle de certains médicaments innovateurs ayant reçu une autorisation de mise sur le marché (AMM) peut être un frein, face à leur prix important. Les contrats de performance permettent de lever ces freins et de faciliter le recours à ces traitements, en mettant en place un système de paiement à la performance. Ces contrats ne font toutefois pas l'unanimité car il est difficile, dans certains cas, d'évaluer un produit à partir d'un seul critère, la performance.

L'Autorisation d'Accès Précoce (AAP) : un accès plus rapide aux produits restant exceptionnel

Lorsque les données d'un médicament innovant ne sont pas suffisantes pour bénéficier d'une AMM, le produit peut bénéficier d'une AAP. Dans ce cas, un pari est pris entre l'industriel et la puissance publique sur l'impact bénéfique présumé du médicament. Conformément aux attentes des industriels, la Loi de Financement de Sécurité Sociale de 2021 a introduit des critères d'éligibilité clairs et un temps d'accès au marché des médicaments réduit.

Cependant, le nombre de molécules arrivant sur le marché français par le biais de ces AAP est loin du nombre de molécules validées dans le recueil officiel des médicaments (Pharmacopée). Ces procédures sont donc exceptionnelles et cantonnées aux produits les plus innovants.

Le besoin de solution face à une amélioration du service médical (ASMR) rendue parfois non quantifiable pour les AAP

Dans certains cas d'AAP, le manque de données concernant le progrès thérapeutique implique une évaluation de l'amélioration du service rendu (ASMR) au niveau 5, à savoir, l'inexistence d'un progrès thérapeutique. Si environ 80 % des accès précoces se traduisent ensuite par des Améliorations du Service Médical Rendu (ASMR) de niveau 1 à 4, confirmant ainsi le degré d'innovation présumé du médicament, certains laboratoires sont réticents à commercialiser leurs produits, en raison d'un classement automatique initial en niveau 5. Un Projet de Loi de Financement de la Sécurité Sociale (PLFSS) 2024 pragmatique est nécessaire, face à ces ASMR non quantifiables, pour permettre aux AAP de perdurer dans le temps, moyennant la mise en place de contrôles.

Des délais d'accès aux médicaments en voie d'amélioration

Les délais entre l'autorisation de diffusion d'un médicament au niveau européen et l'accès effectif aux patients en France est en moyenne de 500 jours. La HAS a fait de gros progrès en termes de délais, notamment grâce à une véritable refonte du process. Bien qu'un médicament puisse être commercialisé dès l'obtention de son AAM, son remboursement dépend de la publication du Journal Officiel, indiquant son prix et son taux de remboursement, dont le délai de publication peut être facilement réduit.

La nécessité d'inclure davantage les patients dans l'évaluation des médicaments

Le processus d'évaluation ne donne pas assez d'importance aux patients. Leurs interventions ne doivent pas être cantonnées uniquement aux cas de demande urgente d'un médicament mais être incluses dans le process d'évaluation. Les associations de patients peuvent avoir un poids important dans la prise de décision d'une autorisation d'un médicament car elles bénéficient d'un regard critique sur les produits.