



importantes quand il n'existe pas d'alternative thérapeutique. Il faut prendre ce sujet en considération.

La question de la « jurisprudence » est aussi importante pour certaines classes thérapeutiques très innovantes actuellement en développement, comme la thérapie génique. Si une nouvelle classe se développe et obtient un prix significatif, tous les médicaments de la même classe suivent et demandent le même niveau. Plus ces innovations s'industrialiseront, et plus leurs coûts pourront être revus à la baisse, mais, en tout état de cause, il convient d'être vigilant à ce sujet.

En tant qu'association de malades, nous ne souhaitons évidemment pas un plafonnement de la solidarité nationale.

Enfin, nous espérons beaucoup de la stratégie nationale de santé, notamment le fait que l'accès aux innovations en santé doivent être disponibles pour l'ensemble de la population. Nous devons collectivement être imaginatifs pour éviter les éventuels blocages. ♦

Needs for more R&D in the field of rare diseases

LIENS D'INTÉRÊT

L'auteur déclare n'avoir aucun lien d'intérêt concernant les données publiées dans cet article.



m/s
médecine/sciences
médecine/sciences 2018 ; 34
(hors série n° 1) : 49-50

L'évaluation des produits de santé pour les maladies rares par la Haute Autorité de Santé

Chantal Bélorgey

► La Haute Autorité de Santé est la seule autorité publique indépendante de santé en France. S'agissant des produits de santé, sa principale mission est de donner un avis au Comité Économique des Produits de Santé (CEPS) (il s'agit bien d'un avis) et un avis au ministère sur le remboursement des médicaments.

Nous avons la chance en France de disposer d'un dispositif d'accès rapide aux autorisations temporaires d'utilisation (ATU). C'est un point important dans notre débat. Il est faux de dire que les médicaments ne sont pas accessibles. Ils le sont, et de façon très précoce. Quand je travaillais à l'ANSM, j'avais en tête que les médicaments orphelins étaient disponibles plus de 30 mois avant leur AMM. Cette mise à disposition est, en outre, prise en charge à 100 %. De plus, notre système de santé permet la prise en charge de tous les patients une fois la décision de remboursement prise. Accès précoce et diffusion large nous distinguent bien des autres pays.

Je rappelle en outre qu'il n'y a pas en France de seuils dans ce domaine. Il importe de le souligner. La HAS ne fixe pas les prix ni ne les négocie. En revanche, la HAS peut s'étonner des niveaux de prix actuellement pratiqués. Je le dis en tant que citoyenne. Nous payons tous collectivement les médicaments, et ce sujet mérite un débat public.

La HAS évalue les médicaments et dispositifs médicaux, selon des critères bien connus de tous :

- le service médical rendu (SMR), qui permet d'évaluer la pertinence du remboursement ;
- l'amélioration du service médical rendu (ASMR), qui intègre une dimension relative pour caractériser le progrès thérapeutique ;



Directrice de l'évaluation médicale, économique et de santé publique, Haute Autorité de Santé, 5, avenue du Stade de France, 93210 Saint-Denis, France.
c.belorgey@has-sante.fr

- l'évaluation de la population qui devrait recevoir le produit ;
- la liste des comparateurs ;
- l'évaluation médico-économique et l'évaluation d'impact budgétaire, le cas échéant.

La HAS s'attache à être équitable, c'est-à-dire à mener son évaluation de façon identique pour tous. L'évaluation tient cependant compte du contexte, de la gravité de la maladie, de la présence ou non d'alternative, des stratégies thérapeutiques. Elle sait faire face également aux situations de grande incertitude, de plus en plus fréquentes, notamment en cancérologie. Certaines AMM sont très précoces, et nous ne disposons pas toujours de toutes les données en termes de sécurité ou d'efficacité à moyen ou long terme. Il existe parfois des incertitudes importantes sur la durée des

traitements. Nous constatons également que certains médicaments orphelins concernent des populations qui s'élargissent rapidement au gré d'extensions d'AMM.

Nous pouvons nous adapter à ces situations. Nous avons accepté des entorses à nos procédures très cadrées, notamment avec des évaluations conditionnelles dans des contextes de maladies graves et de besoin thérapeutique. Cela nous conduit à prendre « des paris » sur les données parfois limitées dont nous disposons au moment de la décision, mais à poser des conditions afin de lever les incertitudes initiales : poursuite de la recherche, réalisation d'études en vie réelle et de stratégie thérapeutique, et réévaluation précoce. Je pense que les réévaluations doivent alors intervenir avant le délai réglementaire de cinq ans. La réévaluation doit en outre porter sur les produits, mais également les classes et les traitements par pathologie.

Enfin, la VTR est la valeur thérapeutique relative. C'est une proposition de nouveau critère, issu d'un excellent rapport sur l'évaluation des médicaments. Il permettrait de combiner le SMR et l'ASMR, et de disposer d'emblée d'une évaluation comparative. Cette réflexion est

lancée depuis deux ans, et la décision de l'inscrire dans la réglementation viendra de la ministre. À ma connaissance, les travaux sur ce sujet n'ont pas commencé. L'idée n'est donc pas encore d'actualité. En revanche, l'arrivée des ATMP est un sujet concret. Ces nouveaux produits sont appelés à bousculer le système, et nous devons nous y préparer.

Dans les situations d'incertitude qui se multiplient, il nous paraît indispensable de disposer d'une implication des patients dans le choix des « paris », et que la qualité de vie et les préférences des patients soient aussi prises en compte dans l'évaluation. ♦

Health technology assessment in the field of rare diseases at Haute Autorité de Santé in France

LIENS D'INTÉRÊT

L'auteur déclare n'avoir aucun lien d'intérêt concernant les données publiées dans cet article.

L'évaluation des produits de santé par le CEPS

Maurice-Pierre Planel



médecine/sciences 2018 ; 34
(hors série n° 1) : 50-51

► L'évaluation des produits de santé pour décider de leur remboursement est un exercice compliqué. Le payeur trouve le prix trop élevé, le fabricant le trouve trop faible, et le patient considère que la décision est trop tardive. Ce n'est pas agréable tous les jours, mais nous savons que c'est ainsi. Il est parfois reproché au CEPS des négociations opaques, un reproche très contestable. En effet, le système est complexe. Cette complexité est une première source de difficulté de compréhension, y compris pour les connaisseurs du secteur. Pour répondre la demande de plus grande visibilité, le CEPS peut rappeler qu'il travaille sur des critères fixés par la loi. Ils peuvent être discutés, mais ils sont posés par la loi. Pour fixer le prix d'un médicament, le premier critère est l'ASMR, c'est-à-dire la valeur thérapeutique du produit. Elle est relative, et se compare à ce qui existe déjà. Pour les maladies rares, la HAS peut tenir compte du fait que le produit constitue une première stratégie thérapeutique.

La deuxième valeur est la population touchée par la pathologie en question. J'ai travaillé dernièrement sur un produit qui concerne 10 personnes en France, que le laboratoire connaît individuellement. Ce qui n'a d'ailleurs rien d'anormal.



Président du CEPS, Comité économique des produits de santé, Ministère de la Santé et des Solidarités, 14, avenue Duquesne, 75350 Paris SP 07, France. maurice-pierre.planel@sante.gouv.fr

La HAS nous indique dans son avis la valeur thérapeutique du produit, et la population concernée. Cette dernière peut ainsi varier de quelques individus à des millions de personnes. Le dernier élément que nous apporte la HAS, ce sont les comparateurs, c'est-à-dire les traitements préexistants qui ont servi d'étalon.

Nous convertissons ces données en chiffres. Si le traitement est pris une fois, la situation n'est ainsi par la même que s'il doit être suivi sur toute la vie. Dans cette dernière hypothèse, nous expliquons à l'industriel que la valeur n'est pas répartie sur quelques semaines, mais