

pens  **ns**
patients

Manifeste

**Mettre l'intérêt du patient
au cœur de l'évaluation
des produits de santé**

Septembre 2022

Cette année célèbre les 20 ans de la loi du 4 mars 2002 qui a posé les fondements de la démocratie sanitaire en France. Reposant sur deux piliers, elle a renforcé les droits des patients dans leurs interactions avec les professionnels de santé et permis aux usagers d'investir davantage les instances de santé. Cependant, à l'heure où celles-ci mènent de plus en plus d'initiatives visant à intégrer l'expérience patient dans leurs prises de décisions, une ligne directrice mérite d'être consolidée : l'intérêt du patient dans l'évaluation des produits de santé. Cet enjeu est d'autant plus crucial que la chronicisation des maladies pose un nouveau défi à notre système de santé en termes de financement et d'organisation des soins.

Malgré quatre décennies de baisse de mortalité et morbidité grâce à la prévention et aux progrès thérapeutiques, les maladies cardionéurovasculaires restent en effet à l'origine d'environ 140 000 morts par an. Elles constituent également l'une des principales causes de consommation de soins avec plus de 15 millions de personnes traitées en France pour maladie, risque cardiovasculaire ou diabète¹.

Néanmoins, des signes d'espoir émergent face à ces maladies chroniques avec la volonté du président de la République de donner un nouvel élan aux politiques de prévention en santé dans notre pays. Mieux évaluer les facteurs de risque tels que l'environnement hygiéno-diététique et les prédispositions génétiques permettra de faciliter la prise en charge des malades, sans oublier les nouveaux traitements qui pourraient améliorer leur qualité de vie. C'est en ce sens que nous, représentants d'associations du champ cardio-neurovasculaire, lançons le groupe « *Pensons Patients* ». Son objectif est clair : replacer l'intérêt du patient au cœur de l'évaluation des produits de santé

1. CNAM, 2021. Rapport et propositions charges et produits de l'assurance maladie pour 2022

PROPOSITIONS

Renforcer le poids de la perspective patient dans les méthodes d'évaluation

- Prendre davantage en compte la perspective patient dans les protocoles d'essais cliniques
- Accorder plus de poids dans les critères d'Amélioration de Service Médical Rendu et d'Amélioration de Service Attendu à l'amélioration de la qualité de vie des malades et à la prévention d'événements à risque pour leur santé
- Rendre systématique l'intervention de patients ou représentants de patients concernés par la maladie lors des séances d'évaluations des produits de santé
- Fixer davantage l'évaluation des produits de santé sur la mesure de l'efficacité en vie réelle

Eriger une nouvelle perception de l'évaluation

- Renforcer l'agilité de la Haute Autorité de Santé pour mieux accompagner l'accès aux nouveaux produits de santé, sur la base de critères scientifiques et du fardeau de la maladie
- Passer d'une posture de prudence, « le médicament a un risque d'inefficacité pour le malade », à une posture de confiance en l'innovation, « le médicament risque d'être utile pour le malade »
- Formaliser la prise en compte de critères médico-économiques dans l'évaluation de tous les produits de santé
- Valoriser dans l'évaluation les nouveaux produits de santé n'ayant pas de traitement comparable dans le système de santé afin de faciliter leur accès pour les malades
- Percevoir les produits de santé comme un investissement pour la santé publique et non comme un coût

Favoriser la collaboration entre les associations et les entreprises pharmaceutiques

- Accroître les opportunités de collaboration entre les industriels et les associations en amont du cycle de vie du médicament pour renforcer le niveau de compétences des patients
- Valoriser les dossiers d'évaluation déposés par les industriels ayant donné lieu à un travail commun avec les associations de patients

Une considération croissante de l'expérience patient au sein de la Haute Autorité de Santé

L'expérience patient vise à solliciter la contribution du patient ou celle de son entourage comme source d'information en recueillant notamment sa perception sur sa qualité de vie avec la maladie afin de prendre en compte toutes les composantes au-delà des seules valeurs scientifiques. La plus-value de ces informations est ainsi évidente : prendre en compte l'expérience patient permet de mettre à disposition des malades des produits de santé qui seront plus adaptés à leurs besoins et maximisent le niveau d'observance thérapeutique.

La Haute Autorité de Santé a renforcé ces dernières années l'intégration de l'expérience patient dans ses activités. De la publication en 2020 d'une recommandation « **Soutenir et encourager l'engagement des usagers dans les secteurs social, médico-social et sanitaire** »² à la nouvelle certification des établissements de santé en 2021³ qui tient davantage compte de la perspective patient, des progrès notables sont à souligner.

Dans le nouveau dispositif d'accès précoce des médicaments de juillet 2021, la Haute Autorité de Santé porte une attention particulière à l'implication des données de patients dans le dossier du médicament de l'industriel. En termes de données d'efficacité, il est également recommandé aux entreprises de réutiliser les PROMs présents dans les es-

sais cliniques⁴. Les PROMs (Patient-reported outcomes measures) évaluent les résultats des soins à travers la perception du patient. Les autorités de santé reconnaissent la place des PROMs pour apprécier le bénéfice d'une technologie de santé. En témoigne la Haute Autorité de Santé qui attend explicitement dans ses doctrines d'évaluation des données sur la qualité de vie et les PROMs, l'absence de celles-ci pouvant même impacter négativement l'évaluation finale.

La plus-value de ces informations est ainsi évidente : prendre en compte l'expérience patient permet de mettre à disposition des malades des produits de santé avec une efficacité démontrée qui répondent davantage à leurs besoins thérapeutiques

Tout l'enjeu est donc de poursuivre et concrétiser cette dynamique au cœur de l'évaluation des produits de santé. Cette étape revêt un caractère essentiel pour les patients car elle a un impact majeur sur l'accessibilité des nouveaux traitements, pouvant aboutir ou non à une perte de chance pour les malades dans le cas où il n'y a pas d'alternative thérapeutique.

2. Haute Autorité de Santé, 2020. « Soutenir et encourager l'engagement des usagers dans les secteurs social, médico-social et sanitaire ».

3. Haute Autorité de Santé, 2021. « Certification des établissements de santé pour la qualité des soins ».

4. Atelier de GIENS, 2022. Autorisation d'accès précoces : point sur l'utilisation des données en vie réelle.

Dès lors, la question qui se pose est dans quelle mesure la voix du patient est-elle présente lors de l'évaluation des produits de santé ? Tout d'abord, les associations de patients et d'usagers peuvent contribuer à cette évaluation en remplissant un questionnaire (contribution patient) de la Haute Autorité de Santé qui permet aux associations de s'exprimer sur la pathologie et sur les attentes par rapport à la maladie (son fardeau, sa qualité de vie) et possiblement aux traitements nouveaux. Des personnes qualifiées adhérentes d'une association de malades et d'usagers siègent également parmi les commissions de la Haute Autorité de Santé, comme c'est le cas dans la Commission de la Transparence (CT) et la Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDIMTS).

Ces commissions ont la charge d'évaluer si le produit de santé en question a suffisamment d'intérêt pour être pris en charge par la solidarité nationale (Service Médical Rendu pour les médicaments, Service Attendu pour les dispositifs médicaux) et le progrès qu'il apporte par rapport aux traitements déjà disponibles sur le marché (Amélioration du Service Médical Rendu pour les médicaments, Amélioration du Service Attendu pour les dispositifs médicaux). Ce dernier critère est particulièrement important car il sert de référence pour fixer le prix qui sera négocié entre les industriels et le Comité Economique des Produits de Santé (CEPS).

Un risque de dévoiement des principes de l'évaluation au détriment des malades

L'approche choisie par les commissions d'évaluation est ainsi cruciale car une évaluation imprégnée d'une dimension stricte et restrictive peut avoir un impact majeur sur les négociations de prix entre les industriels et le CEPS. Celles-ci risquent en effet d'être plus âpres et plus longues, retardant in fine l'accès aux traitements pour les patients. D'autant plus qu'en France, les délais d'accès au marché pour les médicaments hors accès précoce sont plus importants qu'en Espagne et en Italie, avec une moyenne de 865 jours contre respectivement 388 jours et 372 jours⁵. Une propension à tirer les prix à la baisse peut même empêcher toute mise à disposition du produit pour le patient. Les prix fixés étant trop bas pour les industriels au regard de ceux des autres pays européens, ces derniers préfèrent parfois ne pas mettre le médicament sur le marché français à cause de risque d'exporta-

L'évaluation dans notre pays tend à faire prédominer le principe de précaution pour les nouveaux traitements alors même que l'incertitude est partie intégrante de l'innovation et qu'elle a déjà été évaluée lors de l'octroi de l'autorisation de mise sur le marché par l'Agence Européenne des Médicaments

tion parallèle et de perte de chiffre d'affaires très significatif au niveau européen. Le grand perdant dans tout ça ? Le malade bien sûr, mais aussi toute la société dans son ensemble.

Malheureusement, de nombreux cas démontrent que cette tendance restrictive dans l'évaluation semble se reproduire à maintes reprises pour des nouveaux traitements. En principe, les logiques qui guident l'évaluation dans notre pays doivent être façonnées de manière à garantir le meilleur accès possible pour les patients aux nouveaux traitements en tenant compte du fardeau de la maladie. En pratique, force est de constater que ce n'est pas le cas avec 1 médicament sur 3 autorisé ces dernières années en Europe qui n'est pas accessible en France⁶. L'évaluation dans notre pays tend à faire prédominer le principe de précaution pour les nouveaux traitements alors même que l'incertitude est partie intégrante de l'innovation et qu'elle a déjà été évaluée lors de l'octroi de l'autorisation de mise sur le marché par l'Agence Européenne des Médicaments (EMA).

En outre, les nouveaux produits de santé semblent faire face à l'intégration par les commissions d'évaluation d'une considération économique qui ne dit pas son nom. En effet, comment expliquer que 95% des médicaments évalués en France en 2020 obtiennent une

5. CNAM, 2022. Rapport Charges et produits pour 2023

6. Leem, Bilan économique 2020.

ASMR V⁷, soit une absence de progrès thérapeutique ? Est-ce à dire que l'innovation n'irrigue plus le secteur de la santé ou bien que l'évaluation se veut particulièrement stricte afin de limiter les coûts de la collectivité pour la santé publique ?

La tendance est plutôt à la deuxième option, l'innovation en santé ne fléchissant pas avec 92 nouveaux médicaments approuvés par l'Agence européenne du médicament (EMA) en 2021 contre 80 en 2014⁸. En outre, la France ne se situe qu'à la 9ème place en termes de mise à disposition des médicaments approuvés par l'Union Européenne avec 105 des 160 médicaments approuvés entre 2017 et 2020, loin derrière les 147 médicaments à disposition des patients allemands⁹. Ainsi, et pour plus de clarté, il serait préférable d'officialiser la prise en compte de critères médico-économiques dans l'évaluation de tous les médicaments, au-delà des médicaments revendiquant une ASMR I à III comme c'est le cas actuellement.

Enfin, un constat interpelle après une analyse des séances d'évaluation des produits de santé : la voix des patients peut être significativement renforcée lors des débats. La discussion étant scientifique et très technique, les représentants d'usagers interviennent relativement peu en comparaison aux autres membres des commissions et les contributions des associations ne sont pas suffisamment prises en compte dans les échanges. Dès lors, comment s'assurer que l'intérêt du patient constitue véritablement le socle de l'évaluation des nouveaux traitements ?

7. CEPS, Rapport d'activité 2020.

8. Le Quotidien du Pharmacien, 2015. Le bilan 2014 de l'Agence européenne du médicament.

9. EFPIA Patients W.A.I.T Indicator 2021 Survey.

Le défi de notre système de santé : mieux évaluer pour mieux soigner

Pour remédier à ces contraintes d'accès pour les malades, de nouveaux dispositifs sont déployés, tel l'accès direct mis en place par la loi de financement de la sécurité sociale pour 2022. Néanmoins, un statu quo des méthodes d'évaluation ne garantirait pas pour autant un meilleur accès aux nouveaux traitements par les patients. En effet, l'accès direct est réservé aux médicaments ayant obtenu un ASMR I à IV et ne concernerait en l'état actuel que 5% des nouveaux médicaments¹⁰. Soit beaucoup trop peu pour véritablement changer la vie des malades.

Une partie de cette problématique de l'évaluation réside également dans la stratégie menée depuis plusieurs années par les pouvoirs publics d'amélioration de la pertinence des soins. Elle vise à éviter le recours aux traitements inadéquats pour les patients et à limiter l'augmentation des dépenses de santé pour la collectivité.

Cependant, cet objectif de pertinence des soins ne saurait induire une moindre accessibilité aux traitements efficaces pour les malades. La diminution des coûts pour la santé publique ne passe pas par une entrave aux produits innovants et plus coûteux à court terme. Elle passe plutôt par l'accès pour les patients à des traitements qui améliorent leur qualité de vie, réduisent leurs nombres d'hospitalisations, de consultations médicales

L'accès direct est réservé aux médicaments ayant obtenu un ASMR I à IV et ne concernerait en l'état actuel que 5% des nouveaux médicaments. Soit beaucoup trop peu pour véritablement changer la vie des malades.

ou encore d'arrêts maladie. C'est en encourageant l'innovation, et non en la limitant, que nous parviendrons à répondre aux objectifs médico-économiques de notre système de santé.

Face à ce constat, nous, représentants d'associations de malades, proposons des actions pour mieux défendre l'intérêt du patient dans l'évaluation des produits de santé.

Comment assurer l'accès à des nouveaux traitements pour un maximum de patients ? Comment mieux préserver l'intérêt du patient dans les évaluations des produits de santé ? En d'autres termes, comment faciliter l'accès aux nouveaux traitements par le prisme de la perspective patient ?

pensons patients

Isabelle Florentin, représentante de France AVC

Philippe Thébault, président de l'Alliance du Cœur

Jean-François Thébaut, vice-président de la Fédération française des diabétiques

Maggy Surace, présidente de HTaPFrance

Anne-Sophie Joly, présidente du Collectif National des Associations d'Obèses

sous la coordination de





pens  ns
patients