

### Domaines d'intervention de la HAS

- Évaluation du service médical et de l'amélioration du service médical rendu par les médicaments, les dispositifs médicaux et les actes professionnels pris en charge par l'Assurance Maladie ;
- Évaluation économique et de santé publique ;
- Élaboration de recommandations professionnelles et de guides de prise en charge des affections de longue durée ;
- Certification des établissements de santé ;
- Évaluation des pratiques professionnelles et accréditation des médecins et des équipes médicales des disciplines porteuses de risques ;
- Amélioration de la qualité de l'information médicale : certification de la visite médicale, des sites e-santé, et des logiciels d'aide à la prescription.

## LE MÉDICAMENT, ENFANT GÂTÉ OU BOUC ÉMISSAIRE DU SYSTÈME DE SANTÉ ?

*Les 18 et 19 décembre derniers, se sont tenues les deuxièmes Rencontres nationales de la HAS. Un événement majeur pour l'institution qui a réuni à la Cité des Sciences et de l'Industrie 1 500 professionnels de santé autour de débats sur les différents enjeux de la qualité en santé. Retour sur l'une des trois séances plénières de ces Rencontres.*

En France, le médicament occupe une place de choix dans le système de santé. Avec plus de vingt milliards d'euros par an, il représente une part importante des remboursements versés chaque année par l'Assurance Maladie. Les Français sont très attachés aux traitements prescrits par les médecins, au point que sept consultations sur dix s'achèvent par une ordonnance. Avant d'arriver sur le marché, tout produit de santé, lorsqu'il est soumis à une prescription obligatoire, doit franchir un certain nombre d'étapes. Le but est à la fois d'assurer la fiabilité du produit en termes d'efficacité thérapeutique et de sécurité d'usage, de proposer aux professionnels et aux patients une information claire et rigoureuse sur son action, et de s'assurer que son usage correspond à la meilleure allocation possible des ressources financières ou collectives. Après l'obtention de l'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM), le dossier du médicament est examiné par une instance de la HAS, la

Commission de la transparence. Sa mission : évaluer, en fonction du service médical rendu, si le produit peut être ou non admis au remboursement par l'Assurance Maladie. Outre ce type d'avis, pris en totale indépendance et sur des critères strictement scientifiques, la Haute Autorité de Santé est chargée, depuis la loi de financement de la Sécurité Sociale de 2008, de développer une expertise médico-économique sur les prestations et produits de santé. Il s'agit là d'apprécier et de comparer les différentes stratégies thérapeutiques en termes d'efficacité et de service rendu à la collectivité. Depuis le 1<sup>er</sup> juillet 2008, c'est une commission interdisciplinaire spécialisée, dirigée par le Professeur Lise Rochemaux qui mène ces travaux au sein de la HAS.

### Le rôle de l'évaluation économique dans la priorisation des actions de santé

*Variable selon les pays, la politique de fixation des prix du médicament est essentielle pour organiser et hiérarchiser le marché selon plusieurs critères : valeur ajoutée thérapeutique du produit, confort du patient, gain pour la société. La notion de progrès thérapeutique est particulièrement importante lorsqu'il s'agit d'établir le prix de l'innovation. En France, on considère que plus un médicament est innovant, plus son prix doit être élevé. Mais, une fois sur le marché, il apparaît nécessaire de pouvoir comparer entre elles différentes stratégies thérapeutiques. L'évaluation médico-économique vise donc à rechercher quelle est la valeur ajoutée d'un nouveau produit par rapport à des stratégies de soins existantes. Afin de documenter cette dimension, la HAS s'est dotée d'une commission inter-disciplinaire spécialisée, la Commission évaluation économique et santé publique (CEESP), dont la mission est d'orienter et de valider les travaux menés en la matière. Son objectif est de compléter l'évaluation du bénéfice médical individuel par la prise en compte d'une dimension plus collective, incluant à la fois les aspects économiques, organisationnels, sociaux et éthiques. La notion de "préférences individuelles" des patients doit également être prise en compte, de même que celle de la "qualité de vie".*

Retrouvez sur le site  
[www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr) :

- Les synthèses et publications des deuxièmes Rencontres nationales
- Le document "Projet de la HAS 2009-2011"
- Les dernières lettres d'information de la HAS
- Le manuel de certification des établissements de santé V2010.

“ L’innovation dans le domaine du médicament a bénéficié d’importants progrès acquis ces dernières années en matière de circuit de décision. ”

### Un fort niveau de consommation

Le médicament est fortement ancré dans le colloque singulier tenu entre le médecin et son patient. Les patients tendent à considérer que la prescription est un “dû” à l’issue de la consultation et qu’elle établit la reconnaissance par le médecin d’un état pathologique chez eux. Sans être un “enfant gâté” du système de santé, le médicament représente sans conteste une valeur positive pour les Français, qui lui attribuent en général d’importantes qualités curatives. Mais, revers de la médaille, le médicament est également “montré du doigt” pour les dépenses qu’il génère. Alors que le déficit chronique de la branche maladie s’accroît d’année en année, le rythme d’augmentation du poste médicaments, particulièrement élevé au début des années 2000, constitue un motif de préoccupation pour les pouvoirs publics. Chaque année, ils tentent de réguler les dépenses du médicament, en procédant à des baisses de prix ou de remboursement. La communication se polarise autour du concept de “dérapiage” des prescriptions, et les médecins se voient reprocher de trop prescrire dans certaines classes thérapeutiques. Les industriels sont mis à contribution, via une taxe indexée sur les dépenses de promotion qu’ils consacrent à leurs produits. “Il est évident que la France peut être considérée comme un pays de surconsommation et de surprescription”, estime Gilles Bouvenot, membre du Collège de la Haute Autorité de Santé et Président de la Commission de la transparence. On constate notamment un fort engouement pour la nouveauté, même quand elle n’est pas synonyme de progrès médical.” Pour Christian Lajoux, président du LEEM (Les Entreprises du Médicament), “il

### Spécificité des dispositifs médicaux : quelles conséquences pour l’évaluation ?

*L’évaluation médicale des dispositifs médicaux est une démarche récente, et elle doit tenir compte des spécificités de ce secteur. Ces produits ont en effet souvent une durée de vie courte, ils peuvent concerner un faible nombre de patients, et il est difficile de comparer leur efficacité entre eux. L’évaluation passe d’abord par une phase d’accoutumance des industriels du secteur, des usagers professionnels et des patients. En termes de méthodologie, il apparaît préférable de se baser sur des essais randomisés plutôt que sur des cohortes. Si, contrairement au médicament, la réalisation d’essais en double aveugle est souvent difficile, il existe d’autres moyens de s’assurer du niveau de preuve des essais conduits, par exemple en réalisant en aveugle l’évaluation du critère principal d’efficacité. Le marquage CE impose désormais aux constructeurs d’intégrer l’évaluation dans la conception de leurs produits. Cette mesure devrait permettre à la Commission de la HAS en charge de l’évaluation des dispositifs médicaux, de disposer de données plus nombreuses et mieux adaptées qu’aujourd’hui. Renforcer l’évaluation clinique des dispositifs médicaux est une nécessité, pour assurer leur prise en charge par l’Assurance Maladie et leur bon usage par les professionnels de santé.*

*faut sortir de cette vision manichéenne, et changer de focale sur le médicament : il représente d’abord et avant tout une solution pour répondre aux enjeux de santé publique.”*

### L’innovation favorisée

Alors qu’elle a longtemps été handicapée par de lourdes procédures administratives, l’innovation dans le domaine du médicament a bénéficié d’importants progrès acquis ces dernières années en matière de circuit de décision. Aujourd’hui, il faut moins de 90 jours pour qu’un produit disposant d’une AMM soit évalué par la Commission de la transparence. “Seuls 3 % des nouveaux médicaments qui ont demandé le remboursement n’ont pas obtenu d’avis favorable en 2007 et 2008, ce qui montre que la nouveauté est reconnue et rapidement accessible”, précise Gilles Bouvenot. Après la Commission de la transparence de la HAS, le dossier est transmis au Comité économique des produits de santé, qui va fixer le prix à

l’issue d’une négociation avec le laboratoire. “Le médicament n’est ni un enfant gâté, ni un bouc émissaire, estime Noël Renaudin, président du Comité économique des produits de santé, la vérité est très éloignée de ces deux fantasmes. En réalité, je dirais que le médicament bénéficie en France d’une position équilibrée.” La fixation du prix obéit à une règle en théorie simple, mais qui n’est pas pour autant aisée à appliquer : plus un nouveau produit est admis comme innovant, et plus il bénéficiera d’un écart de prix favorable par rapport à ses “concurrents”. “Même si nous disposons de toutes les informations nécessaires de la part de la Commission de la transparence, il n’existe pas d’équation idéale entre taux d’innovation et niveau de prix, admet Noël Renaudin. Notamment parce que la fixation du prix dépend aussi de considérations économiques.”

## OPTIMISER L’USAGE DU MÉDICAMENT, UN ENJEU DE SANTÉ PUBLIQUE

### Des prescriptions parfois mal adaptées

Outre son poids économique, le médicament suscite la controverse en termes de qualité de la prescription. “Il est difficile, pour les

parlementaires, d’établir chaque année un objectif de dépenses adéquat en matière de médicament”, témoigne Yves Bur, député du Bas-Rhin. Nous ne sommes pas vraiment

en mesure de savoir dans quels volumes peuvent se situer les surconsommations. Ce qui est certain, c’est qu’au vu des chiffres d’affaire des laboratoires, le

secteur n'est pas à plaindre." "Il n'y a pas assez d'informations fiables sur le médicament à destination des patients et des professionnels de santé, observe Pierre Chirac, responsable de rubrique à la revue Prescrire. La vraie question est de savoir si oui ou non, un nouveau produit représente un réel progrès thérapeutique. En réalité, il s'agit souvent de fausses innovations, dont la balance bénéfique/risque est moins favorable que les traitements antérieurs, et cela peut engendrer une perte de chance pour les patients." Pour certaines pathologies, on constate au contraire une sous-prescription. "Dans le cas du diabète, par exemple, 75 % seulement des malades à risque cardio-vasculaire prennent des statines, alors que 90 % à 100 % d'entre eux devraient en bénéficier, analyse Jean-Marc Aubert, directeur délégué à la gestion et à l'organisation des soins à la CNAMTS. En raison du coût important des nouveautés, on hésite parfois à favoriser la prescription, car elle peut s'étendre à des catégories de malades qui pourraient être aussi bien traités avec des médicaments plus anciens et moins chers." Certains traitements ont été par ailleurs pris en charge tardivement, par exemple les soins de podologie pour les diabétiques, remboursés depuis 2007 à la suite d'une recommandation émise par la Haute Autorité de Santé.

### **Pour des stratégies thérapeutiques globales et comparatives**

En réalité, la problématique du médicament doit s'intégrer dans l'évaluation plus globale des stratégies thérapeutiques. "Le médicament n'est pas le seul sujet de préoccupation en matière de stratégie thérapeutique, indique Gilles Bouvenot. À la HAS, nous développons une approche transversale, grâce à notre fonction de veille scientifique, aux alertes formulées par nos partenaires, et aux travaux d'évaluation menés en interne." S'il est utile de valoriser

l'innovation, elle ne peut constituer le seul critère d'admission d'un produit sur le marché. "Si nous refusions certains produits sous prétexte qu'ils ne sont pas assez innovants, il est évident qu'il n'y aurait plus d'investissement dans la recherche, rappelle Noël Renaudin. Nous devons prendre en compte la dimension économique du médicament, l'attractivité du territoire pour les industriels." Autre argument en faveur de la nouveauté, il est rare que tous les effets d'un médicament soient connus au moment de sa mise sur le marché. Diffusé auprès d'une large cible de patients, un médicament révèle des propriétés qui n'étaient pas évaluées par les études pré-AMM. Enfin, les médecins mettent en avant l'importance de la diversité, car les effets des produits sont variables, plus ou moins efficaces selon les types de patients. "Les conditions de développement du médicament sont satisfaisantes en France, estime Christian Lajoux. C'est un élément qui explique, selon moi, le haut niveau de qualité des soins. Il faut cesser de faire un

fond de commerce des dysfonctionnements du médicament, et apprécier les évolutions du marché en tendance. Je souligne que la consommation est certes élevée en France, mais qu'elle se ralentit d'année en année, et se rapproche des consommations observées dans les pays comparables." Aujourd'hui, les autorités sanitaires renforcent les dispositifs de surveillance et de suivi des médicaments, en négociant avec les industriels des programmes de gestion du risque, et en promouvant des études "post-AMM". Le principe est d'évaluer les produits tout au long de leur vie, afin de mieux appréhender la balance bénéfique/risque, les effets indésirables ou les atouts thérapeutiques inconnus lors de la mise sur le marché. Ces travaux permettent également de comparer les avantages respectifs des stratégies thérapeutiques possibles, à l'intérieur d'une même classe ou de classes différentes.

### **Études post-inscription des médicaments : bilan et évolution**

*L'intérêt des études post-inscription sur des médicaments est de vérifier leurs conditions d'usage en "vie réelle", une fois qu'ils sont diffusés auprès de larges cibles de patients, et au regard du libellé de l'AMM. C'est la Commission de la transparence qui fait office de guichet unique pour ces études, elle travaille avec l'appui d'un groupe de travail "Intérêt de santé publique". Elle exprime également la demande d'une étude post-AMM, à l'occasion de l'avis lors de la demande de remboursement. Le principe de l'étude figure alors dans la convention signée entre le laboratoire et l'État, par l'intermédiaire du Comité économique des produits de santé. Le coût et la réalisation de l'étude sont à la charge de l'industriel. En août 2008, on comptait 134 demandes d'études, portant sur 105 spécialités et impliquant 45 laboratoires. Souhaitées par la Direction Générale de la Santé (DGS), ces études visent notamment à analyser les conditions de prescription et d'utilisation, ainsi que le bénéfice pour le patient, mais elles peuvent également se pencher sur la tolérance en vie réelle et l'impact sur le système de soins. Les résultats des études peuvent avoir certaines conséquences, par exemple une baisse de prix, s'ils montrent que les conditions d'inscription d'un produit ne sont plus ou pas respectées. Le travail du groupe "Intérêt de santé publique", actuellement limité au champ des médicaments, va bientôt être élargi aux dispositifs médicaux et aux actes professionnels. Le groupe pourra être saisi par les Commissions correspondantes, ainsi que par la Commission d'évaluation économique et de santé publique.*

“ Sensibiliser les Français aux enjeux d'une prescription adaptée aux vrais besoins de santé, c'est l'une des clés du débat sur la santé et la solidarité. ”

“ L'évaluation médico-économique va permettre de tirer les enseignements sur le médicament “en vie réelle”, et sera utile aux décideurs et aux payeurs au moment de réévaluer un produit. ”

## AMÉLIORER L'INFORMATION DES PATIENTS ET LA FORMATION DES PROFESSIONNELS

### Des patients en quête d'information

Comme le montre le sondage HAS/IPSOS Santé réalisé en 2008, les usagers du système de santé formulent des attentes fortes en matière de médicament. 64 % considèrent qu'ils peuvent accéder facilement aux nouveaux produits, mais 29 % seulement déclarent connaître en général leur prix. Près d'un Français sur deux admet ne pas s'en préoccuper, un chiffre qui s'explique sans aucun doute par les taux élevés de remboursement de l'Assurance Maladie et des assurances complémentaires. Pour ceux qui s'y intéressent, 73 % estiment que les prix des produits non remboursés sont excessifs, et 53 % ont la même opinion pour les produits remboursés. Côté prescriptions, on notera que seulement 9 % jugent que les médecins leur prescrivent trop de médicaments. Enfin, 93 % expriment des inquiétudes sur l'évolution des remboursements de médicaments dans les années à venir. *“Ce sondage montre l'urgence de réformer le financement de l'Assurance Maladie, affirme Yves Bur, pour faire face au poids de la dette et aux enjeux futurs de la solidarité, en particulier l'augmentation du nombre de malades chroniques, qui sont 8 millions aujourd'hui et seront près de 12 millions en 2015. Je pense qu'il n'est plus acceptable de promouvoir des médicaments chers si plusieurs études démontrent leur absence d'efficacité.”* Tout en concédant que le modèle de recherche des laboratoires doit être adapté aux contraintes financières, Christian Lajoux tient à souligner que *“15 millions de Français ne consomment jamais de médicaments, et 40 millions ont*

*une consommation modérée.”* Sensibiliser les Français aux enjeux d'une prescription adaptée aux vrais besoins de santé, c'est l'une des clés du débat sur la santé et la solidarité.

### Encourager le regard critique des professionnels de santé

Outre l'information des patients, les professionnels de santé doivent également être mieux formés aux règles de bonne prescription. *“Il existe actuellement une vraie vague de fond, chez les médecins, pour résister aux messages de promotion excessifs diffusés par les laboratoires, considère Gilles Bouvenot. Il faut les y encourager, dès la formation initiale, dans le cadre de la formation continue, et développer notamment le principe de la lecture critique des informations qui leur parviennent. À la HAS, nous nous engageons dans cette voie, à travers la diffusion d'outils comme les fiches de bon usage du médicament.”* Les avis de la Commission de la transparence font systématiquement l'objet de synthèses tenant en moins de deux pages. *“Nous voulons que nos avis soient lisibles, compris, et qu'ils aient un large impact sur l'usage du médicament.”* Réguler la dépense, rechercher l'efficacité entre qualité de la prise en charge et allocation optimale des ressources financières, c'est aussi la préoccupation de l'Assurance Maladie, par exemple avec son réseau de délégués, des “visiteurs médicaux” qui rappellent aux médecins les recommandations de prescription ou promeuvent la prescription de génériques. *“Grâce à la HAS, nous appuyons sur des travaux indépendants et validés par l'expertise, précise Jean-Marc Aubert. Cette démarche de sensibilisation est*

*d'autant plus essentielle qu'il n'y a pas, en France, de dispositif de régulation financière, contrairement à d'autres pays.”*

### Développer l'approche médico-économique

Améliorer la formation et l'information des patients et des professionnels implique de disposer de données fiables et actualisées sur le médicament. C'est pourquoi le législateur a chargé la Haute Autorité de Santé de mener des études de type médico-économique. L'objectif est de placer l'efficacité au cœur des décisions publiques, mais aussi d'inciter les professionnels à intégrer cette notion d'efficacité dans chacune de leurs décisions thérapeutiques. *“Cette évaluation est totalement indépendante de l'évaluation médico-technique assurée par la Commission de la transparence, tient à préciser Gilles Bouvenot. Elle vise notamment à comparer entre elles les différentes stratégies thérapeutiques en matière d'efficacité.”* Lorsqu'un médicament est évalué par la Commission de la transparence, la notion de coût pour la collectivité ne doit pas intervenir, et c'est la valeur médicale intrinsèque du produit qui est appréciée. En revanche, elle doit l'être lorsque le produit arrive sur le marché : si deux thérapeutiques offrent le même niveau d'efficacité, il est normal de promouvoir la moins chère. L'évaluation médico-économique va permettre de tirer les enseignements sur le médicament “en vie réelle”, et sera utile aux décideurs et aux payeurs au moment de réévaluer un produit.

Rendez-vous aux **Rencontres HAS 2009** les 10 et 11 décembre 2009

Cité des Sciences et de l'Industrie, Paris la Villette

HAS

[www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr)

2 avenue du Stade de France 93218 Saint-Denis-La-Plaine CEDEX  
Tél. : +33 (0)1 55 93 70 00 Fax : +33 (0)1 55 93 74 00