

# GOUVERNANCE NATIONALE DES PRODUITS DE SANTE

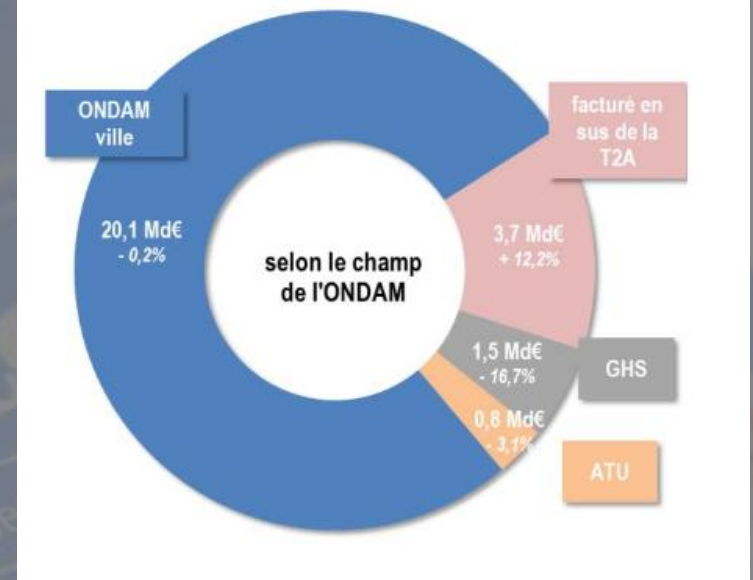
## ROLE DES AGENCES



Virginie NERICH  
MCU-PH

[v1nerich@chu-besancon.fr](mailto:v1nerich@chu-besancon.fr)

# CONTEXTE



En 2017



~ 2 800 substances actives entrant dans composition des spécialités pharmaceutiques  
> 8 000 produits\* ®, chacun pouvant avoir plusieurs présentations (↑ avec génériques)



\* Produit = tout médicament spécialisé contenant  $\geq 1$  substances de base, et vendu sous une même dénomination (quels que soient les associations, dosages, formes d'administration ou modèles divers sous lesquels il est vendu)

# AVANT – APRES



Inspection générale  
des affaires sociales  
RM2011-001P

Enquête sur le MEDIATOR®

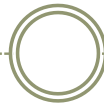
SYNTHÈSE

Dr. Anne-Carole Bensadon, Etienne Marie et Dr. Aquilino Morelle  
Membres de l'Inspection générale des affaires sociales

- Janvier 2011 -

les assises du  
**médicament**

# *Rappel des faits*



**1976** → Benfluorex initialement autorisé comme adjuvant au régime alimentaire chez les diabétiques en surpoids, prescrit comme coupe-faim aux personnes en surpoids

**1990** → 1<sup>ères</sup> alertes → interdiction du benfluorex dans préparations en **1995** ; médicament retiré en Suisse en 1998 ...

**2007** → AFSSAPS recommande de ne pas prescrire le benfluorex comme coupe-faim

**2008** → Dr Frachon alerte sur les risques cardiaques (valvulopathies)  
Lien confirmé par CNAM sur la base d'une étude sur 1 M de diabétiques

**Novembre 2009** → Benfluorex retiré du marché

*~ 5 M personnes auraient consommé du benfluorex depuis 1976  
1 500 – 2 000 décès*

**Septembre 2011** → Mise en examen ...



# Décrets, arrêtés, circulaires

## TEXTES GÉNÉRAUX

### **LOI n° 2011-2012 du 29 décembre 2011 relative au renforcement de la sécurité sanitaire du médicament et des produits de santé (1)**

- 1/ Transparence des liens d'intérêts
- 2/ Gouvernance des produits de santé
- 3/ Médicament à usage humain (AMM, prescription/délivrance, ATU, pec hors AMM, pharmacovigilance, informations et publicité)
- 4/ Dispositifs médicaux
- 5/ Dispositions diverses



# Décrets, arrêtés, circulaires

## TEXTES GÉNÉRAUX

### **LOI n° 2011-2012 du 29 décembre 2011 relative au renforcement de la sécurité sanitaire du médicament et des produits de santé (1)**

1/ Transparence des liens d'intérêts

**2/ Gouvernance des produits de santé**

3/ Médicament à usage humain (AMM, prescription/délivrance, ATU, pec hors AMM, pharmacovigilance, informations et publicité)

4/ Dispositifs médicaux

5/ Dispositions diverses



= Cadre de la politique de santé en France. Définie par Gouvernement, fondée sur l'analyse dressée par Haut Conseil de la SP sur l'état de santé de la population, ses principaux déterminants, ainsi que sur les stratégies d'action envisageables

# LA STRATÉGIE NATIONALE DE SANTÉ

## UN CADRE DE COHÉRENCE POUR 5 ANS

Décembre 2017

PRÉVENTION

ACCÈS AUX SOINS

INNOVATION

PRIORITÉS PRÉVENTION  
SERVICE SANITAIRE

PLAN D'ACCÈS AUX SOINS

100 % SANTÉ,  
ZÉRO RESTE À CHARGE

HEALTHDATA HUB

Travailler à la refonte du système de santé en profondeur



**GRAND ÂGE  
ET AUTONOMIE**

Un projet pour 2020



**MA SANTÉ 2022**

Un engagement  
collectif





= Cadre de la politique de santé en France. Définie par Gouvernement, fondée sur l'analyse dressée par Haut Conseil de la SP sur l'état de santé de la population, ses principaux déterminants, ainsi que sur les stratégies d'action envisageables

Pour relever ce défi de l'accès aux traitements innovants (médicaments, dispositifs médicaux, biotechnologies) pour tous, des efforts constants ont été menés. Il s'agit notamment du développement et du renforcement des autorisations temporaires d'utilisation et de l'introduction de mécanismes de régulation économique, qui ont permis le financement et l'accès rapide aux derniers traitements tels que ceux de l'hépatite C.

**Soutenir  
la recherche  
et l'innovation**

**Dans les prochaines années, il sera donc nécessaire de :**

- **Assurer** l'accès des patients aux traitements les plus innovants tout en maintenant la soutenabilité des dépenses pour l'assurance maladie
- **Renforcer** le suivi en vie réelle de l'efficacité thérapeutique des nouveaux traitements
- **Renforcer** le rôle de la France et plus précisément de l'Agence nationale de la sécurité du médicament dans la délivrance d'autorisations européennes d'accès au marché

**GARANTIR L'ACCES AUX  
TRAITEMENTS INNOVANTS**



# **LOI n° 2017-1836 du 30 décembre 2017 de financement de la sécurité sociale pour 2018**

NOR: CPAX1725580L

## **► Chapitre II : Promouvoir l'innovation en santé**



**Arrêté du 3 août 2018 relatif à l'expérimentation pour l'incitation à la prescription hospitalière de médicaments biologiques similaires délivrés en ville**

NOR : SSAS1821431A



## Axe 1

Mettre en place une politique de promotion de la santé, incluant la prévention, dans tous les milieux

## Axe 2

Lutter contre les inégalités sociales et territoriales d'accès à la santé

## Axe 3

Garantir la qualité, la sécurité et la pertinence des prises en charge à chaque étape du parcours de santé

## Axe 4

Innover pour transformer notre système de santé en réaffirmant la place des usagers



**Développer  
une culture  
de la qualité et  
de la pertinence**



**PROMOUVOIR LE BON USAGE  
DES MÉDICAMENTS ET LE  
DÉVELOPPEMENT GÉNÉRALISÉ DES  
GÉNÉRIQUES ET BIOSIMILAIRES**

### Dans les prochaines années, il sera donc nécessaire de :

- **Franchir** une nouvelle étape avec un accompagnement renforcé des prescripteurs grâce au développement et à la mise à disposition d'outils numériques, avec pour objectif d'atteindre « 1 médicament sur 2 prescrit dans le répertoire » en 2020.
- **Promouvoir** les médicaments biosimilaires qui présentent la même efficacité, la même qualité et la même sécurité que le médicament biologique de référence, avec pour objectif d'atteindre 80 % de pénétration des biosimilaires sur leur marché de référence d'ici 2022.
- **Lutter contre** la polymédication et la iatrogénie, en particulier chez la personne âgée»
- **Améliorer** la pertinence de l'usage des produits de santé en établissement comme en ville

## AUJOURD'HUI UN SYSTÈME DEVENU INADAPTÉ

... qui ne répond pas aux attentes des patients

- Problèmes d'accès aux soins dans certains territoires : difficulté à obtenir un rendez-vous en ville dans les 48h en cas de besoin, difficulté à trouver un médecin traitant
- Vieillesse de la population et développement des pathologies chroniques entraînent un besoin de coordination entre professionnels, insuffisante aujourd'hui : le patient doit faire le lien lui-même entre tous les médecins et organiser les rendez-vous et les examens
- Difficultés à obtenir l'information

- Course à l'activité et importance des charges administratives
- Insuffisante reconnaissance de la qualité des soins et des bonnes pratiques
- Manque de temps pour soigner
- Non reconnaissance des efforts et de l'implication individuelle et collective
- Peu d'évolutions possibles, manque de perspectives dans les carrières
- Difficultés pour passer d'un exercice salarié à un exercice libéral ou pour combiner les deux

... qui nourrit le mécontentement des professionnels de santé

... qui est historiquement marqué par de profondes rigidités d'organisation

- Exercice isolé des professionnels de ville
- Cloisonnement entre la ville et l'hôpital, entre le médico-social et le sanitaire, entre le public et le privé
- Manque d'outils et de structures de coordination pour assurer le bon suivi des patients dans les différents territoires

- Volonté de continuer à garantir l'accès aux innovations thérapeutiques qui ont un coût de plus en plus élevé
- Croissance du nombre de pathologies chroniques qui implique une augmentation des dépenses de l'Assurance Maladie
- Maîtrise des dépenses organisée par une régulation à la baisse des tarifs des prestations versées aux établissements de santé
- Fréquence des actes inutiles, des prescriptions redondantes ou des parcours de soin désorganisés
- Absence de valorisation des bonnes pratiques de suivi et de gestion des parcours

... qui est confronté à des tensions financières croissantes

MA SANTÉ 2022  
UN ENGAGEMENT COLLECTIF

→ Engager une transformation profonde du système de santé



### 5 chantiers prioritaires

Qualité des soins  
& pertinence des actes

Organisation territoriale

Modes de financement  
et de régulation

Ressources humaines  
et formation

Numérique

OBJECTIF : DÉCLOISONNER

# ACTEURS ?



Ministère des Solidarités  
et de la Santé



# CYCLE DE VIE DU MEDICAMENT

## ACCÈS AU MARCHÉ

### RECHERCHE ET DÉVELOPPEMENT

1

#### Recherche fondamentale

Découverte d'une molécule d'intérêt thérapeutique

2

#### Évaluation préclinique

Évaluation des effets et de la toxicité de la molécule sur des modèles animaux, cellulaires et Informatiques

3

#### Évaluation clinique

Évaluation de la sécurité et de l'efficacité chez l'homme (essais cliniques) chez des personnes volontaires

##### PHASE 1

- Volontaires sains
- Devenir de la molécule dans l'organisme humain et évaluation de sa toxicité

##### PHASE 2

- Patients volontaires en petit nombre
- Détermination de la bonne dose et évaluation des effets indésirables

##### PHASE 3

- Patients volontaires en plus grand nombre
- Évaluation de l'efficacité et de la tolérance en comparaison aux traitements existants ou au placebo

4

#### Autorisation de mise sur le marché

Évaluation de la qualité pharmaceutique et du rapport bénéfice/risque par les agences du médicament européenne et française (efficacité/effets indésirables)

5

#### Évaluation par la HAS en vue du remboursement et de la fixation du prix

- › Évaluation du service médical rendu (SMR) et de l'amélioration du service médical rendu (ASMR) par la commission de la transparence (CT) de la HAS en vue du remboursement
- › Pour les médicaments se revendiquant Innovants et pouvant avoir un impact significatif sur les dépenses de l'Assurance maladie, évaluation de l'efficience par la commission évaluation économique et santé publique (CEESP) de la HAS
- › Fixation du taux de remboursement par l'Union nationale des caisses d'assurance maladie (Uncam)
- › Négociation du prix entre le comité économique des produits de santé (CEPS) et le laboratoire

## VEILLE SANITAIRE ET SUIVI

6

#### Pharmacovigilance

Suivi de la tolérance en condition réelle d'utilisation

7

#### Réévaluation

Réévaluation du SMR tous les 5 ans par la HAS (CT)



[Actualités](#)[Grands dossiers](#)[Ministère](#)[Métiers et concours](#)[Professionnels](#)[Études et statistiques](#)[Affaires sociales](#)[Prévention en santé](#)[Santé et environnement](#)[Soins et maladies](#)[Système de santé et médico-social](#)

## Actualités

25 mai 2017

JOURNAL OFFICIEL DE LA RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

Texte 18 sur 103

# Décrets, arrêtés, circulaires

## TEXTES GÉNÉRAUX

### MINISTÈRE DES SOLIDARITÉS ET DE LA SANTÉ

Décret n° 2017-1076 du 24 mai 2017  
relatif aux attributions du ministre des solidarités et de la santé

**Agnès Buzyn**

Ministre des Solidarités et de la Santé



**Christelle Dubos**

Secrétaire d'État auprès de  
la ministre des Solidarités et  
de la Santé



**Adrien Taquet**

Secrétaire d'État auprès de  
la ministre des Solidarités et  
de la Santé

16.07.19

Investigations autour des cas  
d'agénésie transverse des membres  
supérieurs (...)



10.07.19

Médicaments homéopathiques :  
Agnès BUZYN suivra l'avis de  
déremboursement rendu (...)



# Ministère des Solidarités et de la Santé



Préparation + mise en œuvre de la politique du  
Gouvernement dans les domaines\* : **solidarité, cohés<sup>o</sup>**  
**sociale, SP et organisat<sup>o</sup> système de santé, protect<sup>o</sup> sociale**  
± conjointement avec d'autres ministères



\* : Famille, enfance, personnes âgées, dépendance

# Ministère des Solidarités et de la Santé



Responsable de l'organisation de la prévention et des soins

+ Politique de protect° de la santé contre divers risques

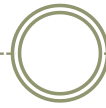
+ Recherche + promot° de l'innovat° dans domaine de la S

Règles relatives aux régimes + gest° des organismes de SS  
(+ organismes complémentaires) en matière : AV, prestations  
familiales et AM et maternité, AT, MP

○ Préparation + exécution de la LFSS

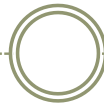
Compétences : lutte contre toxicomanie, professions  
(para)médicales, de fonction publique hospitalière, sociales

# Ministère des Solidarités et de la Santé



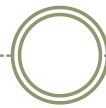
- Autorité sur
  - Direction Générale de la Santé (DGS)
  - Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS)
  - Inspection Générale des Affaires Sociales (IGAS)
  - DG de la cohésion sociale
  - Direction de la SS
  - Direction de la Recherche, des Etudes, de l'Evaluation et des Statistiques (DREES)
  - DG de la prévention des risques lorsque celle-ci exerce ses compétences en matière de radioprotection, etc.
- ± conjointement avec d'autres ministères

# Direction Générale de la Santé (DGS)



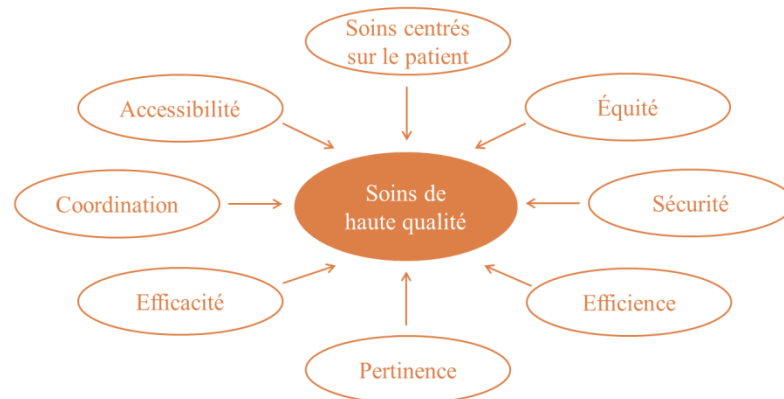
- Préparation + mise en œuvre de la Politique de SP
- Objectifs
  - Préserver et améliorer l'état de santé des citoyens
    - En proposant objectifs/priorités de la Politique de SP
    - En élaborant plans de SP + programmes nation<sup>x</sup> de S
  - Protéger la population des menaces sanitaires (veille et sécurité sanitaires)
    - En garantissant la capacité du système de santé à détecter, analyser et gérer alertes + situations sanitaires exceptionnelles

# Direction Générale de la Santé (DGS)



## ■ Objectifs

- Garantir la qualité, la sécurité et l'égalité dans l'accès à au système de santé



- Mobiliser et coordonner les partenaires

- En assurant la tutelle des agences sanitaires, en participant au pilotage des ARS, France/Europe, France/Monde

# Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS)

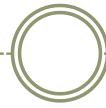


- Se place en situation de pilotage stratégique
- Un objectif majeur
  - Penser et construire l'offre de soins\* de demain en concertation étroite avec décideurs institutionnels, interlocuteurs professionnels, représentants des patients et des usagers de la santé

*\* Offre de soins réunit toutes les organisations, institutions ressources intervenant en matière de santé, de recherche ou de formation*



# Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS)



- 4 axes
  - Promouvoir une approche globale, décroisée, équilibrée de l'OS délivrés en ville et à l'hôpital
  - Définir la réponse sanitaire la plus adaptée aux besoins de prise en charge
    - Coordination des acteurs → améliorer les parcours de santé des patients
  - Renforcer performance, qualité et sécurité de l'OS
  - Développer l'information sur les droits en matière de santé et mieux prendre en compte la place des usagers au sein de l'OS

# Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS)



**INSTRUCTION N° DGOS/PF4/2019/11** du 16 janvier 2019 relative aux programmes de recherche sur les soins et l'offre de soins pour l'année 2019

**NOR** : SSAH1901619J

Classement thématique : Etablissements de santé

**Validée par le CNP le 11 janvier 2019 - Visa CNP 2019-04**

BO : oui

Déposée sur le site [circulaire.gouv.fr](http://circulaire.gouv.fr) : oui

**Catégorie** : Directives adressées par la ministre aux services chargés de leur application, sous réserve, le cas échéant, de l'examen particulier des situations individuelles.

**Résumé** : La présente instruction lance la campagne 2019 des appels à projets de recherche sur les soins et l'offre de soins. Ces appels à projets s'inscrivent dans les cinq programmes ministériels de recherche appliquée en santé couvrant les champs de la recherche translationnelle, clinique, médico-économique, organisationnelle et paramédicale. Les projets de recherche sélectionnés dans ce cadre ont pour objectif l'amélioration des prises en charge des patients et celle de la performance du système de soins.

**Mots-clés** : PRT – PHRC – PRME – PREPS – PHRIP – recherche appliquée en santé – recherche translationnelle – recherche clinique – recherche médico-économique – recherche organisationnelle – recherche paramédicale – innovation en santé – parcours de santé – performance du système de soins – soins primaires – psychiatrie – pédopsychiatrie – prévention en santé

**Annexes** :

Annexe I : Continuum de la recherche en santé

Annexe II : Format de lettre d'intention

Annexe III : Programme de recherche translationnelle

Annexe IV : Programme hospitalier de recherche clinique

Annexe V : Programme de recherche médico-économique

Annexe VI : Programme de recherche sur la performance du système de soins

Annexe VII : Programme hospitalier de recherche infirmière et paramédicale

**Diffusion** : Les établissements de santé, les groupements de coopération sanitaire, les maisons et les centres de santé doivent être destinataires de cette instruction, par l'intermédiaire des agences régionales de santé.

# Inspection Générale des Affaires Sociales (IGAS)



- Contrôle, audite ou évalue des structures et des politiques, conseille les pouvoirs publics et apporte son concours à des projets
  - A la demande des ministres ou sur la base de son programme d'activités
- Domaines d'intervention – champ social

Cohésion Sociale .....

Protection Sociale .....

Santé .....

Appui au Management .....

Travail, Emploi, Formation .....

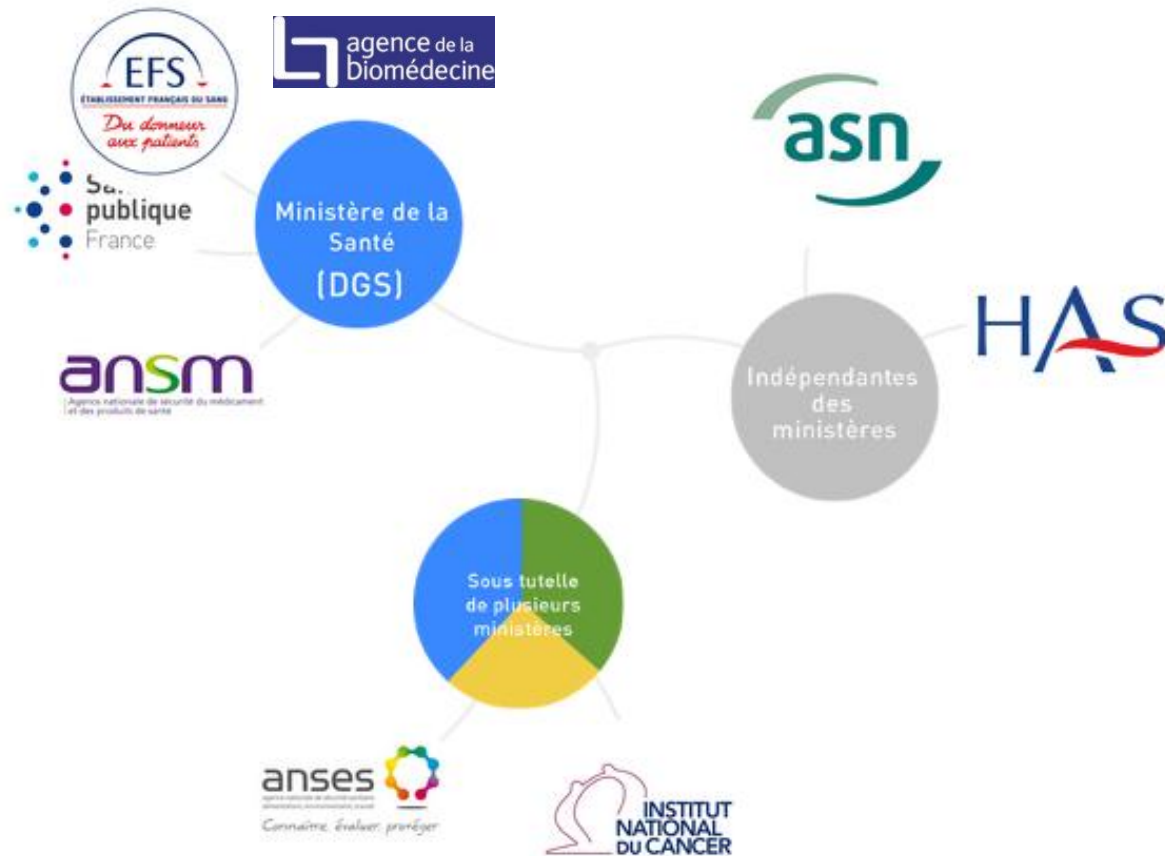
Missions Permanentes .....

Missions interministérielles .....

# Agences Sanitaires



- Sous tutelle du Ministère chargé de la Santé





# Décrets, arrêtés, circulaires

## TEXTES GÉNÉRAUX

### **LOI n° 2011-2012 du 29 décembre 2011 relative au renforcement de la sécurité sanitaire du médicament et des produits de santé (1)**

- 1/ Transparence des liens d'intérêts
- 2/ Gouvernance des produits de santé
- 3/ Médicament à usage humain (AMM, prescription/délivrance, ATU, pec hors AMM, pharmacovigilance, informations et publicité)
- 4/ Dispositifs médicaux
- 5/ Dispositions diverses

# Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des Produits de Santé (ANSM)

[Glossaire](#) | [Abonnement](#) | [Agenda](#) | [Newsletter](#) 



Agence nationale de sécurité du médicament  
et des produits de santé



Cliquez ici pour effectuer une recherche... 

[L'ANSM](#) | [S'informer](#) | [Décisions](#) | [Activités](#) | [Dossiers](#) | [Publications](#) | [Services](#) | [Déclarer un effet indésirable](#) | [Produits de santé](#)

**Vous souhaitez déclarer un effet indésirable**



 ..... Newsletter mensuelle [Abonnez vous](#)

### Actualité

14/08/2019 - Arrêt de fabrication de la pompe implantable Medtronic MiniMed (MIP) en 2020 : L'ANSM va réunir prochainement l'ensemble des parties prenantes pour trouver des solutions pour les patients - Point d'Information

08/08/2019 - Médicaments à base de cyprotérone, à base de méthotrexate, fluoropyrimidines, GILENYA (Fingolimod) : retour d'information sur le PRAC de juillet 2019 - Point d'information

06/08/2019 - Traitement de tumeurs de la vessie : l'ANSM rappelle les recommandations de prise en charge des patients à la suite de l'arrêt de commercialisation d'IMMUCYST (BCG intravésical) - Point d'information

02/08/2019 - Point de situation sur la disponibilité des corticoides oraux en France : prednisone, prednisolone - Point d'information

30/07/2019 - L'ANSM a constitué ses nouveaux comités scientifiques permanents - Point d'Information

24/07/2019 - Vaccins et sérums antirabiques falsifiés circulant aux Philippines : l'OMS alerte sur l'existence de nouveaux produits falsifiés - Point d'information

### Accès direct aux produits de santé

 Médicaments	 Produits thérapeutiques annexes
 Médicaments dérivés du sang	 Tissus ou organes d'origine humaine ou animale
 Stupéfiants et psychotropes	 Dispositifs médicaux
 Vaccins	 Dispositifs médicaux de diagnostic in vitro
 Produits cellulaires à finalité thérapeutique	 Produits cosmétiques
 Médicaments de thérapie génique	 Produits de tatouage
 Produits sanguins labiles	 Autres produits et substances



Ministère de la Santé  
et de la Sécurité  
des Aliments

**BASE DE DONNÉES  
PUBLIQUE  
DES MÉDICAMENTS**



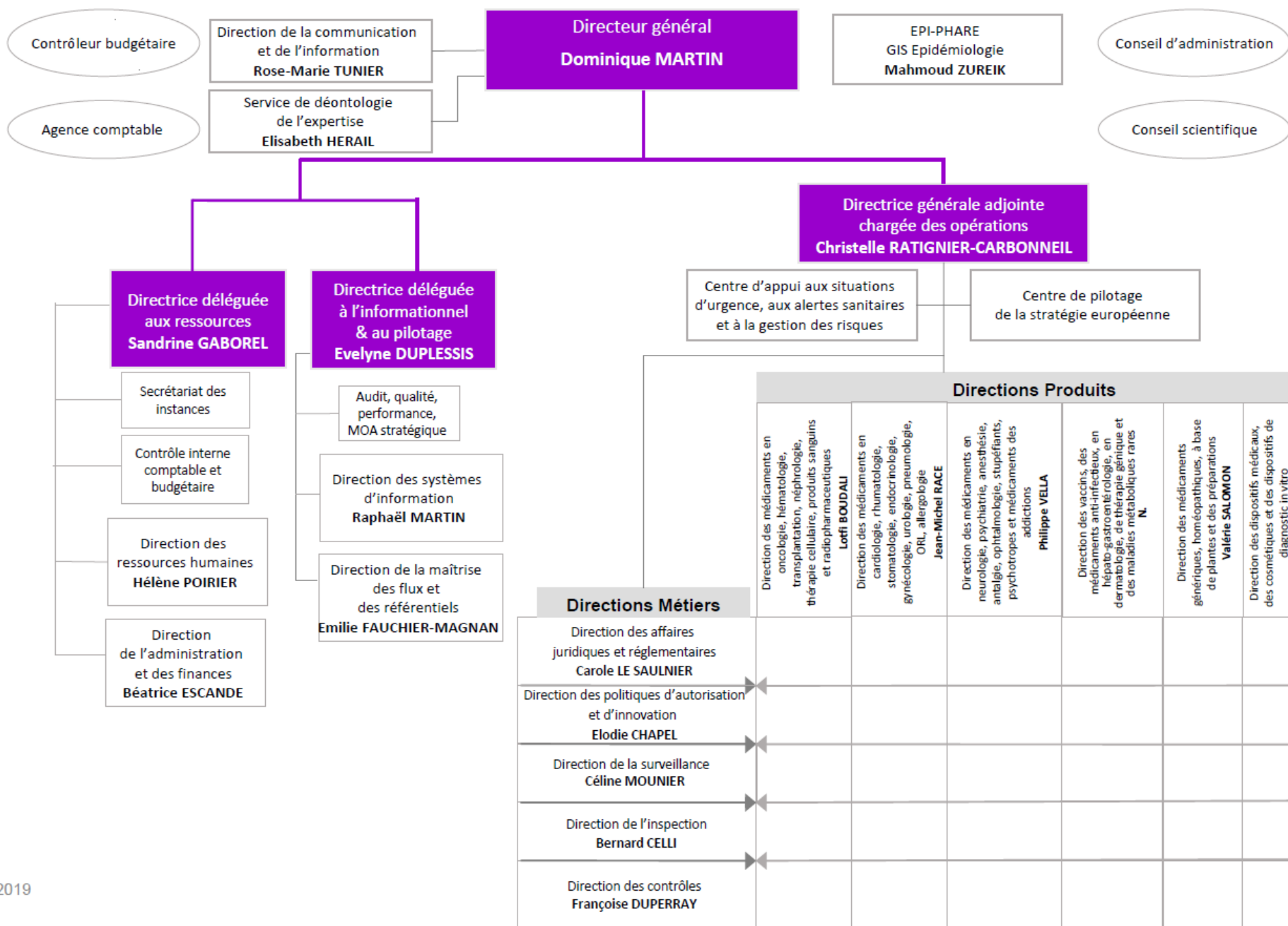
**Vente en ligne  
de médicaments**

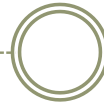
**R** Recommandations  
**T** Emporaires  
**U** tilisation

**A** utorisations  
**T** Emporaires  
**U** tilisation

**Essais  
Cliniques**







- Agence d'évaluation, d'expertise et de décision
- Missions centrales
  - Offrir un accès équitable à l'innovation pour tous les patients
  - Garantir la sécurité des produits de santé tout au long de leur cycle de vie



- Médicaments
  - Tous les mdts (avant/après AMM), matières premières, MDS, stupéfiants et psychotropes, vaccins, produits homéopathiques, à base de plantes et de préparations, préparations magistrales et hospitalières
- Produits biologiques
  - Organes, tissus, cellules utilisés à fins thérapeutiques, produits de thérapie cellulaire et génique, PSL, produits thérapeutiques annexes
- Dispositifs médicaux
  - Thérapeutiques, de diagnostic, diagnostic in vitro, des plateaux techniques, logiciels médicaux
- Produits cosmétiques et de tatouage
- Autres produits de santé : **biocides**

# Favoriser un accès rapide à l'innovation pour les patients

**11 909** patients inclus dans le dispositif des autorisations temporaires d'utilisation (ATU) de cohorte pour des médicaments

**14 029** patients en initiation de traitement inclus dans le dispositif des autorisations temporaires d'utilisation (ATU) nominatives

**1 033** essais cliniques autorisés dont 756 pour les médicaments et 227 pour les dispositifs médicaux et les dispositifs médicaux de diagnostic *in vitro*

**114** nouveaux médicaments autorisés dans le cadre de la procédure européenne centralisée dont 13 pour lesquels la France a été rapporteur

Financement de **10** nouveaux projets de recherche académique

**565** AMM délivrées dont 406 médicaments génériques, dans le cadre de la procédure nationale et des procédures européennes décentralisées et de reconnaissance mutuelle

La France, par le biais des laboratoires de contrôle de l'ANSM, est le **premier** État membre libérateur de vaccins sur le marché français et européen

## Médicaments autorisés au niveau européen

Procédure centralisée	2012	2013	2014	2015	2016
Nombre de dossiers	95	90	74	93	114
Dossiers rapporteur ou corapporteur attribués à la France	6	9	8	10	14 <sup>1</sup>

1. La France a été désignée rapporteur 3 fois, corapporteur 7 fois et corapporteur 4 fois dans le cadre d'une équipe multinationale.

Source : EMA.

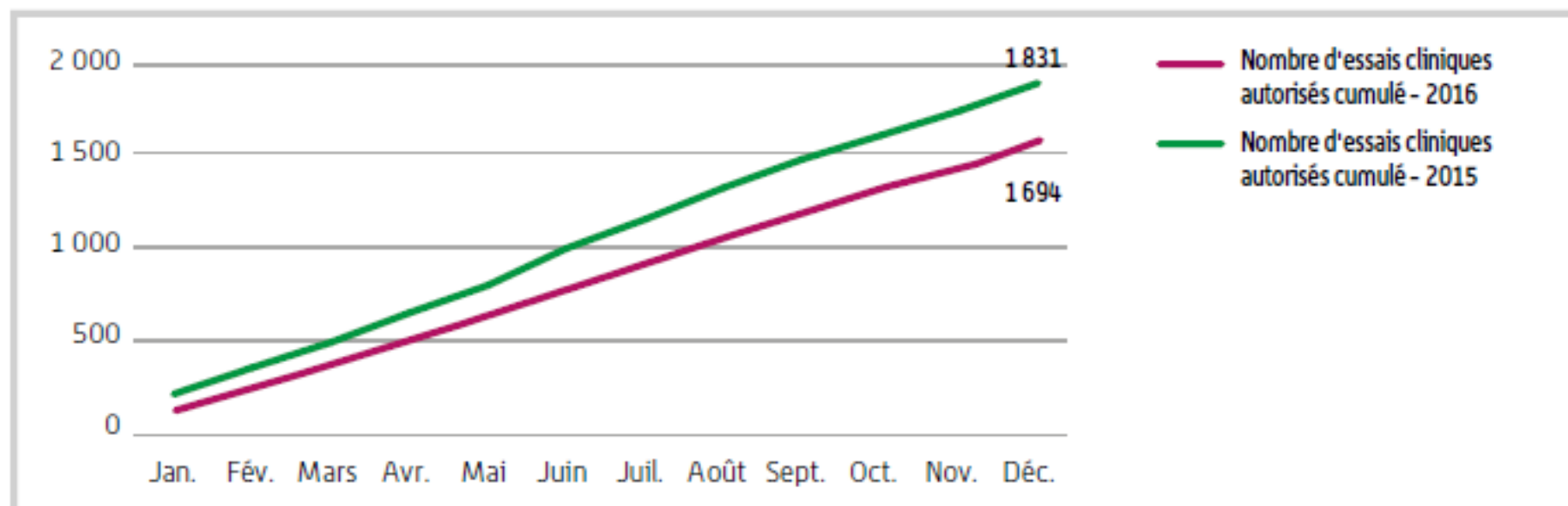
## AMM pour des médicaments génériques

Bilan des autorisations de médicaments génériques	2012	2013	2014	2015	2016
AMM délivrées pour des médicaments génériques	816	503	468*	339	406
Nombre de groupes génériques inscrit au répertoire	1 139	1 005	1 044	1 077	1 130

\* Dont un médicament autorisé en procédure centralisée.

Médicaments orphelins	2012	2013	2014	2015	2016
AMM délivrées pour des médicaments orphelins sur nombre total d'AMM délivrées en procédure centralisée	10/95	7/90	15/74	15/93	14/114

## Nombre d'essais cliniques autorisés en cumulé – 2016 vs 2015





# Garantir la sécurité des produits de santé

**2 800** substances actives sont commercialisées en France, dont **30 %** de médicaments génériques

Au 31 décembre 2016, le rapport bénéfice/risque de **14** substances actives était en cours de révision ou de réévaluation

**55 761** déclarations d'effets indésirables ont été enregistrées par les centres régionaux de pharmacovigilance dont 3 061 par des patients et **29 963** cas d'effets indésirables graves ont été déclarés *via* les laboratoires pharmaceutiques

**21** enquêtes nationales de pharmacovigilance ont été ouvertes par l'ANSM

**2 414** signalements d'erreurs médicamenteuses ou de risque d'erreur médicamenteuse ont été rapportés à l'ANSM et **1 790** signalements de défauts de qualité

L'ANSM a géré **405** ruptures d'approvisionnement avec recherche d'alternatives thérapeutiques pour les produits indispensables

## Produits sanguins et produits biologiques issus du corps humain

**7 618** effets indésirables ont été déclarés en hémovigilance chez des receveurs de produits sanguins labiles

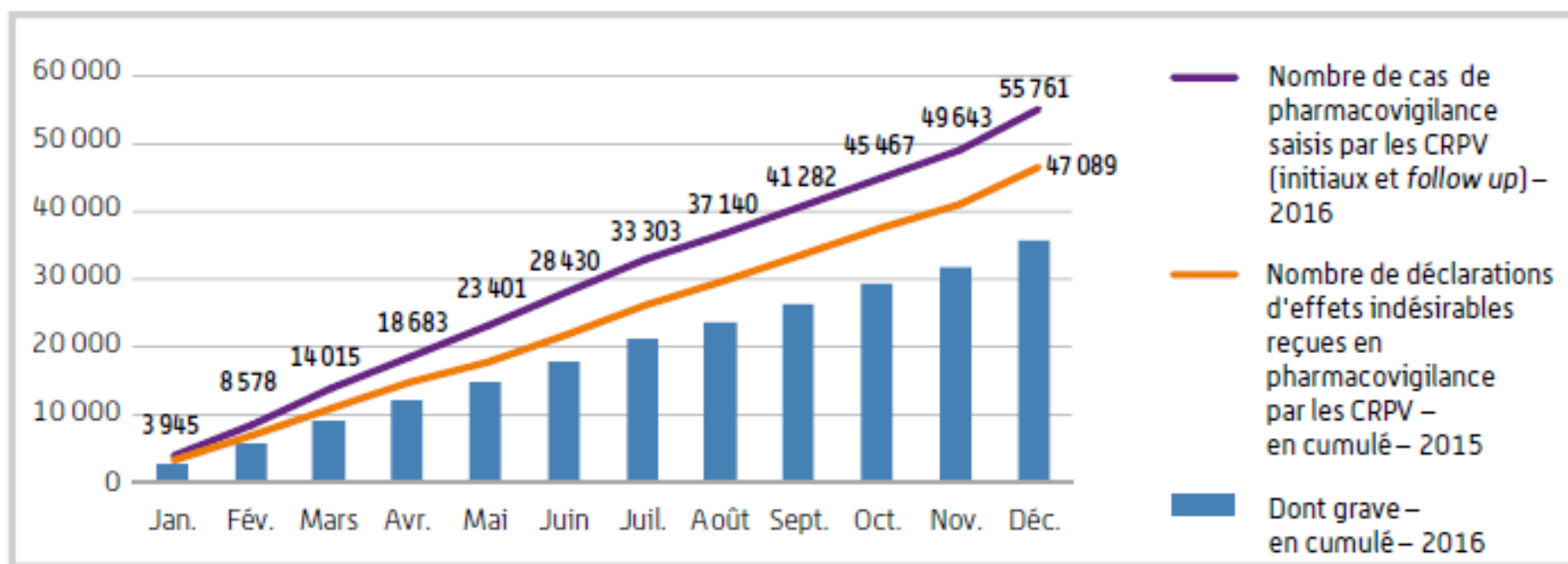
**544** effets indésirables ont été reçus en biovigilance (organes, tissus, cellules, lait maternel et produits thérapeutiques annexes)

## Dispositifs médicaux et dispositifs de diagnostic *in vitro*

**15 961** effets indésirables ont été déclarés en matériovigilance (dispositifs médicaux) dont 129 reçus de patients et associations de patients

**1 474** effets indésirables ont été déclarés en réactovigilance (Dispositifs médicaux de diagnostic *in vitro*)

## Déclarations des cas d'effets indésirables au système national de pharmacovigilance – comparaison des données cumulées 2016 vs 2015





## Évaluer & surveiller



les bénéfices et les risques  
des produits de santé tout  
au long de leur cycle de vie

## Contrôler



la qualité  
en laboratoire

## Inspecter



les sites de fabrication  
et de distribution

## Apporter son expertise



juridique et  
réglementaire

## Échanger de façon transparente de ses actions et décisions



avec les professionnels  
de santé et les patients

## Stimuler



la recherche académique  
indépendante

## Contrôler



la publicité en faveur  
des produits de santé

## S'impliquer



dans les travaux  
européens et  
internationaux





- En France et pour le compte de l'UE
  - Evaluation scientifique et technique de la Q, de l'efficacité et la sécurité d'emploi des mdts et produits biologiques
  - Surveillance continue des EI prévisibles ou inattendus des produits de santé
  - Inspection des établissements exerçant des activités de fabrication, importation, distribution, pharmacovigilance et qui mènent des essais cliniques
  - Contrôle en laboratoires pour libérer des lots de vaccins et de produits dérivés du sang, de produits présents sur marché, prélevés lors d'inspections, saisis par autorités judiciaires ou douanes



- Prise décision de police sanitaire pour compte de l'Etat
- AMM, retrait ou suspension d'AMM
  - Autorisation d'essais cliniques, ATUn, ATUc, RTU
  - Libération de lots de vaccins et de produits dérivés du sang
  - Retrait de produit ou de lots
  - Interdiction de DM sur le marché français
  - Autorisation d'importation
  - Autorisation préalable ou interdiction de publicité
  - ...



- **Recherches impliquant la personne humaine (RIPH)**
- Dématérialisation des échanges entre ANSM et promoteurs / CPP
- Qu'est ce qu'un essai clinique?
- Formation des investigateurs
- Répertoires des essais cliniques de médicaments
- Obtenir un numéro d'enregistrement
- Réglementation

#### Cancer

- [Registre des essais cliniques de l'INCa](#)

#### Sida et hépatites

- [Répertoire des études cliniques de l'ANRS](#)

#### Maladies rares

- [Base de données "Recherche et essais cliniques" d'Orphanet](#)

#### Toutes maladies

- [Registre des essais cliniques de l'Agence européenne du médicament : EU clinical trials register](#)

## Recherches impliquant la personne humaine (RIPH)

Le décret n° 2016-1537 du 16 novembre 2016 d'application de la loi n° 2012-300 du 5 mars 2012 relative aux recherches impliquant la personne humaine (dite loi Jardé), telle que modifiée par l'ordonnance n° 2016-800 du 16 juin 2016) a été publié le 17 novembre 2016 au Journal Officiel. Il est entré en application le 18 novembre 2016.

Ce décret précise les modalités de réalisation des recherches impliquant la personne humaine. Il précise notamment les définitions applicables aux différentes catégories de recherche entrant dans son champ d'application, le fonctionnement des comités de protection des personnes (CPP), les procédures de demande d'avis au CPP et d'autorisation à l'ANSM, ainsi que les règles applicables en matière de vigilance.

Ce décret s'accompagne d'une série d'arrêtés du ministre chargé de la santé et de décisions du directeur général de l'ANSM.

## ■ B/R des médicaments ++++

## ■ AMM

- Évaluation + autorisation
- Nouvelle demande si nouvelle indication

## ■ Post-AMM

- → Surveillance ; Plans de Gestion des Risques (PGR)
- 2005 → Retrait du marché

## ■ ATU dite de cohorte (ATU<sub>c</sub>)

## ■ ATU dite nominative (ATU<sub>n</sub>)

Recommandations Temporaires d'Utilisation (RTU)

- Les Recommandations Temporaires d'Utilisation : Principes généraux
- Liste des spécialités faisant actuellement l'objet d'une RTU
- Liste des RTU arrêtées

1 2 3 →

Liste des spécialités faisant l'objet d'une RTU

Dernière(s) mise(s) à jour

- BERINERT 500 UI mg, poudre et solvant pour solution injectable/perfusion (19/07/2019)

Spécialité pharmaceutique	Substance active	Statut
AVASTIN® 35 mg/ml, solution à diluer pour perfusion	Bevacizumab	RTU établie le 24/06/2015 Débutée le 01/09/2015 Renouvelée pour 3 ans le 01/09/2018
BERINERT 500 UI mg, poudre et solvant pour solution injectable/perfusion	Inhibiteur de la C1 estérase	RTU établie le 16/07/2019 Début prévue lors de la publication de l'arrêté de prise en charge correspondant
CICCADIN 2 mg, comprimé à libération prolongée	Milatonine	RTU octroyée le 06/07/2015 Débutée le 01/10/2015 Renouvelée pour 3 ans le 01/10/2018
CYPRISO 200 microgrammes, comprimé RISUONE 400 microgrammes, comprimé (Prise en charge des fausses couches précoces du premier trimestre (avant 14 SA) en cas de grossesses arrêtées)	Misoprostol	RTU établie le 16 février 2018 Début le 1er mars 2018

L'ANSM met en place un système de téléservice pour le traitement des ATU nominatives : **e-SATURNE**. Cette application est accessible à tous les professionnels de santé (médecins, pharmaciens, internes en médecine).

>> **En savoir plus**



**INFORMATION IMPORTANTE** : A partir du 01/09/2019, les demandes d'ATUn transmises par fax ne seront plus traitées.

### Demandes d'ATU en situation d'urgence vitale

Dorénavant, en dehors des heures ouvrées, les PUI ne sont plus tenues d'appeler l'astreinte de l'ANSM si la demande d'ATU est jugée conforme aux critères d'octroi, par le prescripteur et le pharmacien de la PUI. L'accord oral de l'ANSM n'est pas requis dans ces situations.

La régularisation de cet accord s'effectue a posteriori via l'application e-Saturne (à défaut par fax).



- Autorité publique indépendante à caractère scientifique
  - Dotée de la personnalité morale
  - Disposant de l'autonomie financière
  
- Créée par la Loi du 13 août 2004 relative à l'AM
  - Afin de contribuer au maintien d'un système de santé solidaire et assurer à tous les patients et usagers un accès permanent et équitable à des soins aussi efficaces, sûrs, et efficaces que possible



**Chef de cabinet**

Pierre de Montalembert

**Présidente du Collège**

Dominique Le Guludec

**Directrice générale**

Katia Julienne

**Collège**Isabelle Adenot  
Anne-Marie Armanteras-de Saxcé  
Elisabeth Bouvet  
Cédric Grouchka  
Christian Saout  
Christian Thuillez**Agence comptable**

Hervé Deschildt

**Déontologue**

Daniel Ludet

**Direction de l'évaluation médicale,  
économique et de santé publique****Chantal Bélorgey**

Adjointe : N.

**Direction de l'amélioration de la qualité  
et de la sécurité des soins****Catherine Grenier**

Adjointe : Marie-Hélène Rodde-Dunet

**Direction de la qualité de  
l'accompagnement social et médico-  
social****Véronique Ghadi****Direction de la communication, de  
l'information et de l'engagement des  
usagers****Emmanuelle Bara****Secrétariat général****Cécile Lambert**

Adjointe : Christine Vincent

**Service Evaluation économique et santé  
publique****N.**

Adjoint : N.

**Service Evaluation de la pertinence des  
soins et amélioration des pratiques et  
des parcours****Marie-Hélène Rodde-Dunet**Adjoints : Marc Fumey  
Stéphanie Schramm**Service Evaluation****Sandra Grimaldi****Service Documentation et veille****Frédérique Pagès**

Adjointe : Christine Devaud

**Service Juridique****Christine Vincent****Service Evaluation des dispositifs****Hubert Galmiche**Adjointes : Corinne Collignon  
Fabienne Quentin**Service Evaluation et outils pour la  
qualité et la sécurité des soins****Laetitia May-Michelangeli**Adjoints : Bruno Bally  
Sandrine Morin**Service Recommandations****Christiane Jean-Bart****Service Presse****Florence Gaudin****Service Achats, budget et finances****Laura Godinho**

Adjoint : N.

**Service Evaluation des actes  
professionnels****Cédric Carbonneil**Adjoints : Denis-Jean David  
Nadia Squalli**Service Evaluation et outils pour la  
qualité et la sécurité des soins****Laetitia May-Michelangeli**Adjoints : Bruno Bally  
Sandrine Morin**Service Bonnes pratiques  
professionnelles****Pierre Gabach****Service Certification des établissements  
de santé****Anne Chevrier**

Adjoint : Philippe Laly

**Service Communication et information****Laure Menanteau-Bendavid****Service Ressources Humaines****Matthieu Lallot**

Adjoint : Steeve Petter

**Service Evaluation des médicaments****Mathilde Grande (par interim)**Adjointes : N.  
N.**Service Engagement des usagers****Joëlle André-Vert****Service Systèmes d'information****Franck Jolivaldt**Adjoints : Marie-Laure Barbotin  
Jean-Yves Pèrier**Mission internationale****N.****Mission Programmation****Nathalie Couvineau**



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ



## Missions

- L'évaluation médicale, économique et de santé publique
- L'amélioration de la qualité et de la sécurité des soins
- L'information des publics

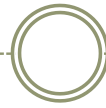
## Organisation

- Un Collège de 8 membres
- Sept commissions
- Trois directions opérationnelles, un secrétariat général et des services
- 410 collaborateurs à temps plein
- 3000 experts et professionnels de santé externes

- Aider pouvoirs publics dans leurs décisions de remboursement des produits et services médicaux
  - Avis sur utilité médicale des mdts, DM et actes professionnels pris en charge par AM
  - Évaluation médico-économique et en SP



# COMMISSION DE LA TRANSPARENCE



- Instance scientifique composée d'une vingtaine de membres titulaires
  - Médecins, pharmaciens, spécialistes en méthodologie et épidémiologie
  
- Évalue mdts ayant obtenu leur AMM, lorsque le laboratoire qui les commercialise souhaite obtenir leur inscription sur la liste des médicaments remboursables
  - Articles L.162-17 du code de la SS, L.5123-2 du CSP

## SMR

Appréciation prenant en compte : gravité de la pathologie, efficacité et effets indésirables du médicament, place dans la stratégie thérapeutique et existence d'alternatives thérapeutiques, intérêt pour la santé publique

4 niveaux : important, modéré, faible, insuffisante (avis défavorable à la prise en charge)

→ Conditionne le taux de remboursement des médicaments

## ASMR

Appréciation s'appuyant sur une comparaison du médicament, en termes de service médical rendu, avec tous les comparateurs pertinents au regard des connaissances médicales avérées que sont les médicaments, les produits, les actes et les prestations.

5 niveaux : majeur (I), important (II), modéré (III), mineur (IV), V (absence de progrès)

→ Intervient dans la fixation du prix d'un médicament remboursable

Question de la révision des critères d'évaluation des PS en vue de leur prise en charge  
par l'AM

Initiée en 2012 avec Index Thérapeutique Relatif ... mais



# COMMISSION DE LA TRANSPARENCE



## ■ Missions

- Donner un avis aux ministres chargés de la Santé et de la Sécurité Sociale sur la prise en charge des mdts (par la SS et/ou pour leur utilisation à l'hôpital)
- Contribuer au BUM en publiant une information scientifique pertinente et indépendante sur mdts



# 650 médicaments évalués ou réévalués

au moins une fois dans tout ou partie de leurs indications

790 AVIS

## Aires thérapeutiques les plus concernées

Infectiologie

15 %

Oncologie

12 %

Cardiovasculaire

9 %

## 64 nouveaux médicaments évalués

Avis favorables  
au remboursement  
(Service médical rendu – SMR – suffisant)

86 %

de nouveaux médicaments



Progrès thérapeutique  
quand avis favorable  
au remboursement  
(Amélioration du service médical rendu – ASMR)

ASMR

34 : absente  
13 : mineure  
7 : modérée  
1 : importante

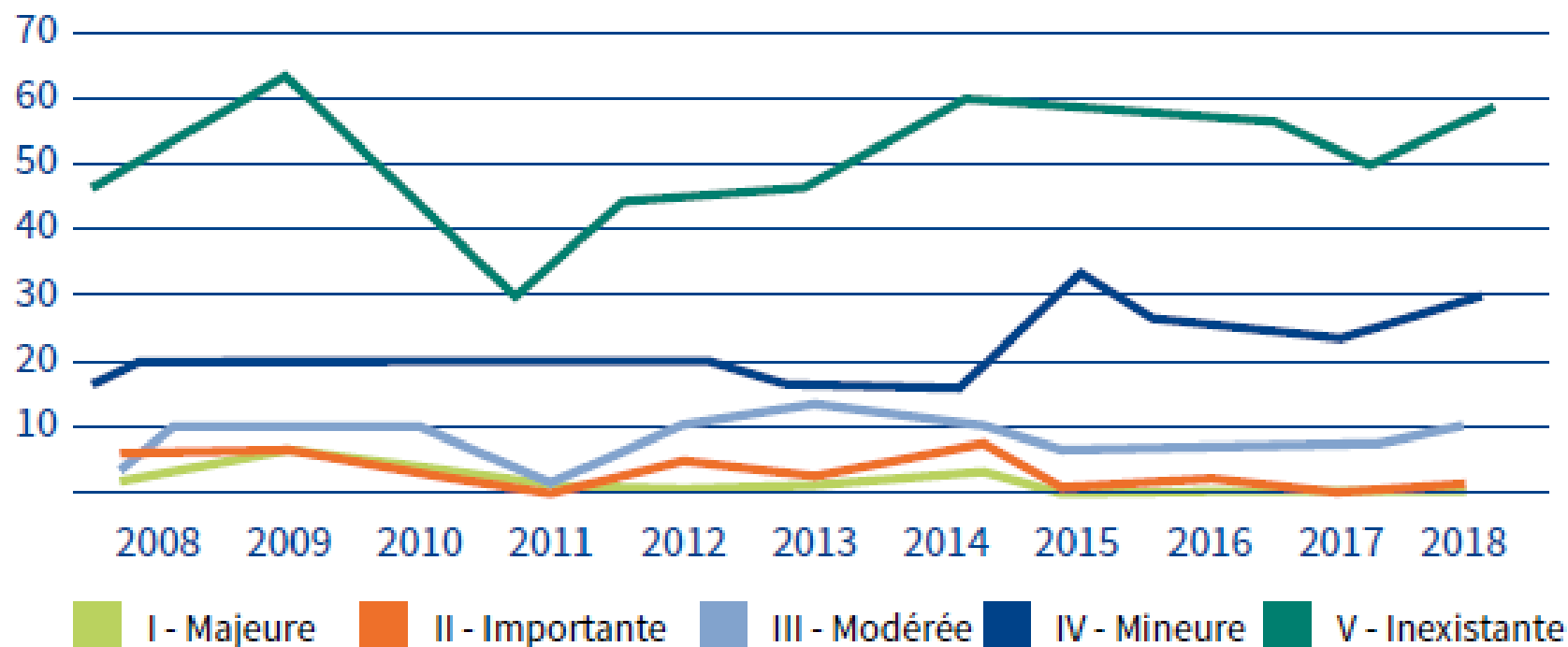
100 jours

délai moyen de traitement des demandes d'inscription

27  
demandes de suivi  
en vie réelle

21  
rencontres précoces  
avec des industriels

Nombre d'ASMR attribuées depuis 2008 pour tout  
ou partie des indications aux demandes de première inscription  
ou d'inscription dans une nouvelle indication  
(procédure complète uniquement)





# COMMISSION NATIONALE D'EVALUATION DES DISPOSITIFS MEDICAUX ET DES TECHNOLOGIES DE SANTE



- Instance scientifique composée de 15 membres titulaires
- Examine toute question relative à l'évaluation en vue de leur remboursement par l'AM et au bon usage des DiMTS, y compris ceux financés dans le cadre des prestations d'hospitalisation
- Missions
  - Eclairer les pouvoirs publics sur les décisions de remboursement et contribuer à améliorer la qualité des pratiques professionnelles et des soins aux patients

# COMMISSION NATIONALE D'EVALUATION DES DISPOSITIFS MEDICAUX ET DES TECHNOLOGIES DE SANTE



## ■ Missions

- Formuler des recommandations sur bases scientifiques et rendre des avis en vue du remboursement par l'AM des DM à usage individuel ou d'autres produits à visée diagnostique, thérapeutique ou de compensation du handicap (à l'exclusion des médicaments) et des prestations associées, soit à la demande des fabricants, soit en réponse à des saisines
- Evaluer certaines catégories de DM financées dans les prestations d'hospitalisation (intra-GHS)

# COMMISSION NATIONALE D'EVALUATION DES DISPOSITIFS MEDICAUX ET DES TECHNOLOGIES DE SANTE



## ■ Missions

- Examiner toute autre question relative à l'évaluation et au bon usage des DiMTS y compris ceux qui sont financés dans le cadre des prestations d'hospitalisation
- Donner un avis sur les conditions d'inscription des actes et leur inscription à la Classification Commune des Actes Médicaux ainsi que sur leur radiation de cette liste (depuis 07/2010)
- Élaborer des documents d'information destinés aux professionnels de santé

## SA

Appréciation prenant en compte : intérêt du produit, intérêt de santé publique

Critère binaire : suffisant ou insuffisant

→ Conditionne l'inscription sur la **Liste des Produits et Prestations Remboursables**

## ASA

Évaluation du bénéfice supplémentaire apporté par le nouveau produit par rapport aux stratégies thérapeutiques précisément désignées, considérées comme référence selon les données actuelles de la science, et admises ou non au remboursement

Déterminé sur la base des résultats des études cliniques, contrôlées, randomisées, comparatives utilisant un critère de jugement principal cliniquement pertinent

5 niveaux : majeur (I), important (II), modéré (III), mineur (IV), V (absence de progrès)

→ Impact sur la fixation du prix du DM

**215**  
dispositifs évalués  
dont 129 nouveaux



**240 avis**

**AVIS FAVORABLE  
AU REMBOURSEMENT**



**89 %**  
des dispositifs  
évalués =  
service attendu  
ou rendu  
suffisant

**PROGRÈS THÉRAPEUTIQUE**

(Amélioration du service attendu —  
ASA — ou rendu — ASR)



148 : absente

27 : mineure

10 : modérée

3 : importante

**AIRES THÉRAPEUTIQUES  
LES PLUS CONCERNÉES**

**13 %**  
Réadaptation  
fonctionnelle

**12 %**  
Chirurgie  
orthopédique

**27 %**  
Cardiologie  
interventionnelle

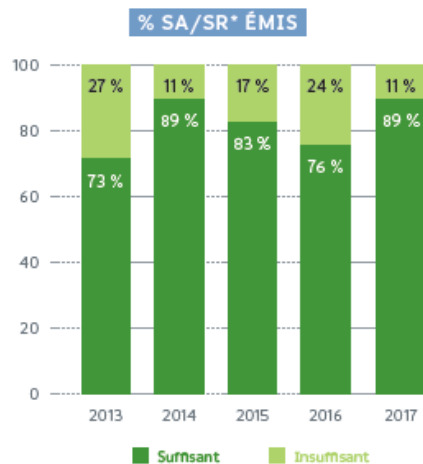
**9 %**  
Chirurgie  
vasculaire



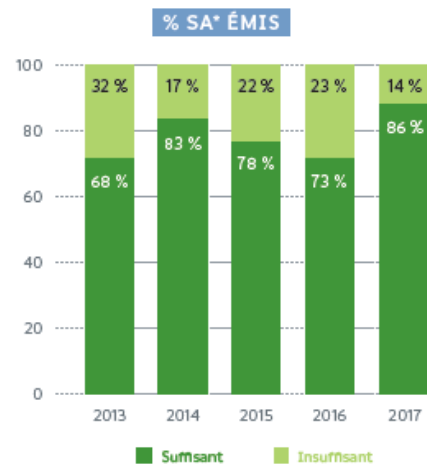
**87 jours**, délai moyen de traitement  
des demandes d'inscription

**13** Catégories homogènes  
de produits évaluées

**16** rencontres  
précoces avec  
des industriels

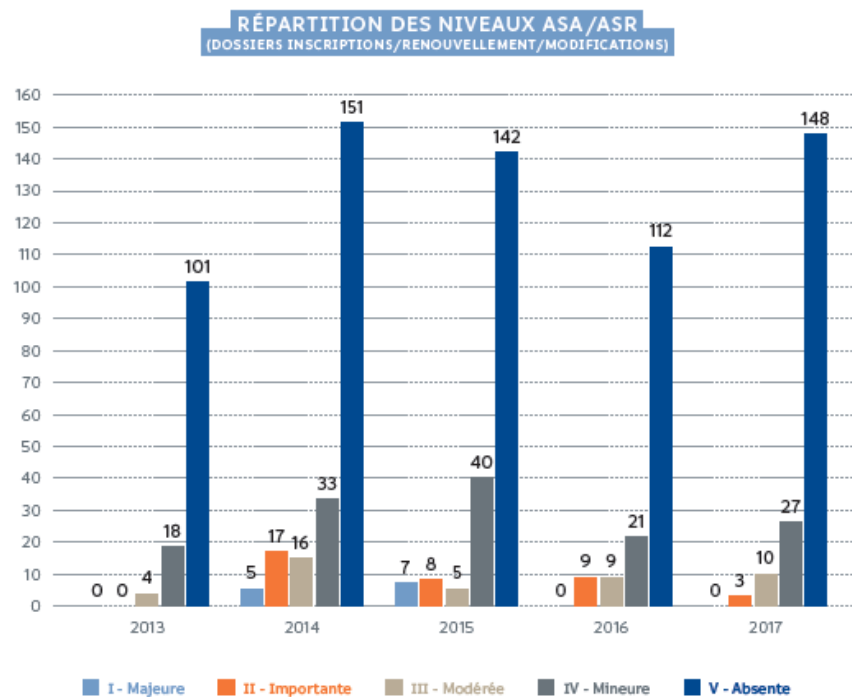


\* Service Rendu



\* Service Attendu

## L'amélioration du service attendu/rendu (ASA/ASR)



NB : les SA/SR et les ASA/ASR étant attribués indication par indication, un même avis peut contenir plusieurs SA/SR et/ou ASA/ASR différents.

# COMMISSION EVALUATION ECONOMIQUE ET DE SANTE PUBLIQUE



**1 Recommandations en santé publique** sur la qualité de la prise en charge sanitaire de la population, concernant la qualité, l'efficacité et l'efficacité d'actions ou programmes de santé publique, en particulier dans le champ du dépistage et de la prévention.

**2 Rapports d'évaluation technologique/économique** : analyse de l'efficacité comparée des stratégies thérapeutiques pour une prise en charge donnée, y compris lors d'une réévaluation de classe de médicaments ou de dispositifs médicaux.

**3 Avis d'efficacité** lorsqu'un produit de santé :

- revendique une ASA ou une ASMR élevée (niveau I, II, III) ;
- est susceptible d'avoir un impact significatif sur les dépenses de l'assurance maladie.

Décision n° 2016.0099/DC/SEESP du 8 juin 2016 du collège de la Haute Autorité de santé constatant l'impact significatif du produit OPDIVO 10 mg/ml sur les dépenses de l'assurance maladie

**Objet**

Après délibération, le collège de la Haute Autorité de santé, en sa séance du 8 juin 2016 a constaté l'impact significatif du produit OPDIVO 10mg/ml sur les dépenses de l'assurance maladie. En conséquence, la Commission évaluation économique et de santé publique procédera à l'évaluation médico-économique de ce produit dans l'indication suivante : "Traitement des patients adultes atteints d'un carcinome à cellules rénales avancé après un traitement antérieur"

**Date de validation**  
08 juin 2016



## Saisine

- Industriels
- CEPS

Contacts précoces HAS-Industriels  
si besoin, sur demande de l'industriel  
et sur la base d'un pré-dossier

J-1an

Dépôt du dossier  
médico-économique\*

Instruction interne HAS (SEESP)

Échange technique éventuel  
avec l'industriel

90 jours

Pré-rapport

Avis de la sous-commission  
technique Économie de la CEESP

Validation CEESP\*

Rapport pour phase contradictoire

Envoi à l'industriel\*

Phase contradictoire\*

Rapport final

Publication de l'avis final\*



# COMMISSION EVALUATION ECONOMIQUE ET DE SANTE PUBLIQUE



- Avis d'efficience rédigé à l'attention du CEPS
  - Recevabilité de l'approche évaluative proposée par l'industriel, conformité de la méthode d'évaluation aux recommandations de la HAS, efficience prévisible ou constatée du PS évalué
    - Le cas échéant, propositions d'études qui permettraient de dépasser les réserves émises dans le but d'améliorer (voire de documenter) l'estimation de l'efficience du PS dans son indication



## Avis d'efficience sur les produits de santé

# 44 décisions rendues

par le Collège sur l'éligibilité de produits à l'évaluation médico-économique

**23** éligibles et **21** inéligibles

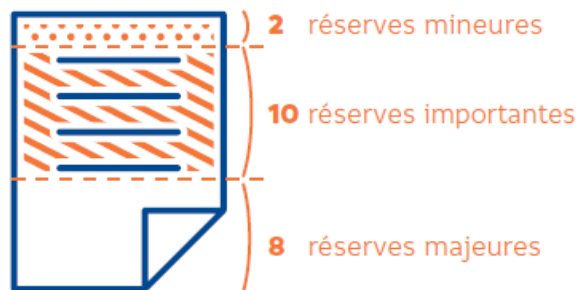
### SUR LES 23 ÉLIGIBLES



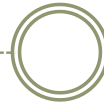
## 20 avis d'efficience validés en 2017

- 10** premières inscriptions
- 9** extensions d'indication
- 1** réévaluation

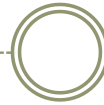
Répartition selon la qualification des réserves HAS sur la conformité méthodologique de l'évaluation présentée par l'industriel



# 145 jours, délai moyen d'instruction



- Organisme interministériel créé en 2005 placé sous l'égide des Ministères de la Santé, SS et Economie
- Composition
  - Direction de la sécurité sociale
  - Direction générale de la santé
  - Direction générale de la concurrence, de la consommation et de la répression des fraudes
  - Direction générale des entreprises
  - Caisse nationale de l'assurance maladie (médicament)
  - Union nationale des organismes d'AM complémentaire
  - DG cohésion sociale, Caisse centrale de la mutualité sociale agricole (DM)
  - Direction générale de l'offre de soins – voix consultative
  - Direction générale de la recherche – voix consultative

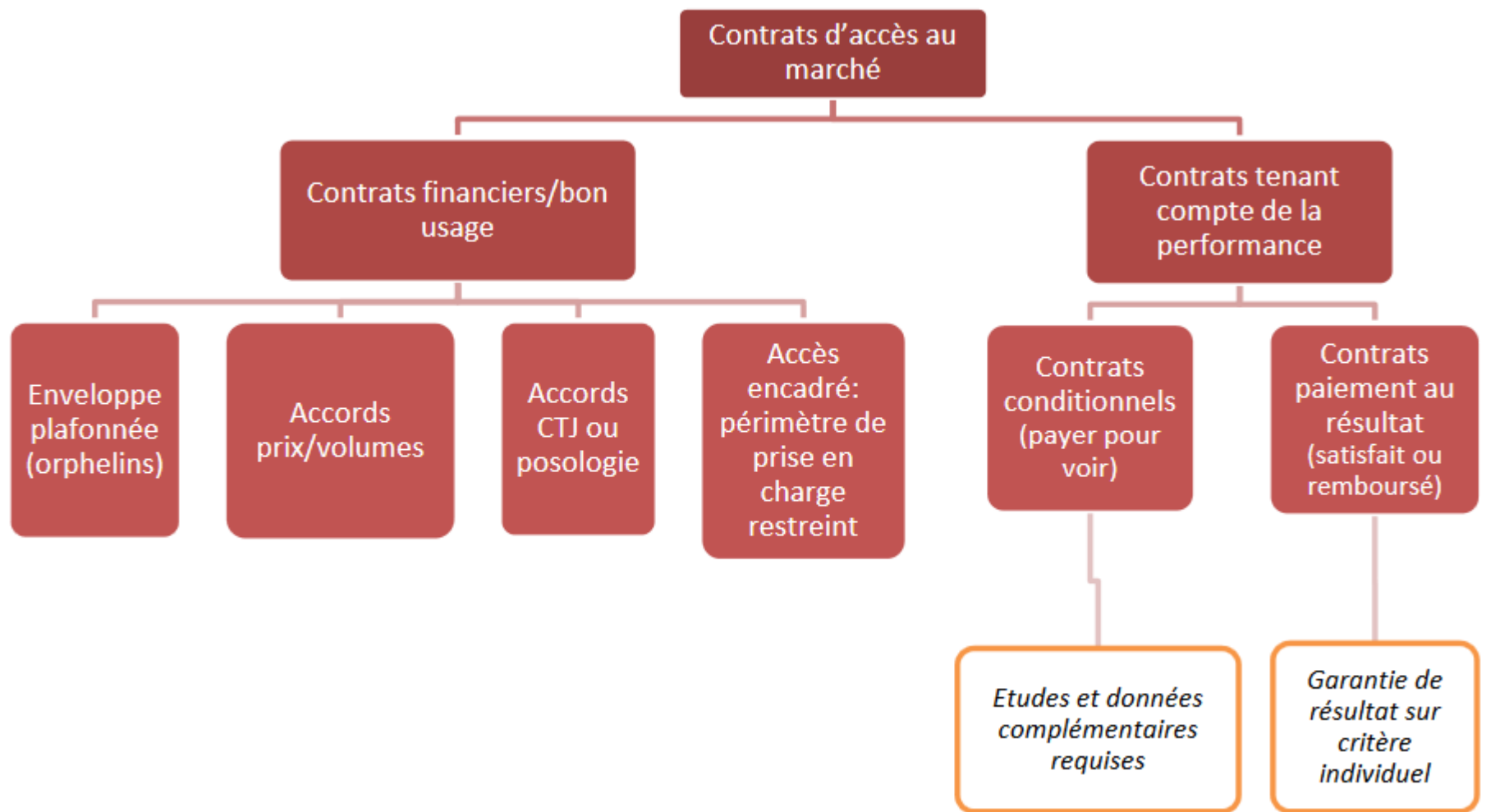


- Contribue, par ses propositions, à la définition de la politique économique des PS
  - Chargé par la loi de fixer le prix des mdts et les tarifs des DM à usage individuel pris en charge par l'AM obligatoire
  - Missions
    - Médicaments
    - DM à usage individuel
- Négociation en prenant en compte :

  - Niveau ASMR
  - Prix des mdts à même visée thérapeutique
  - Volume de vente envisagés, pop<sup>o</sup> cible et prix pratiqués à l'étranger
  - ±Avis d'efficience



- Contribuer à l'élaboration de la politique du mdt
- Mettre en œuvre orientations reçues des ministres compétents
  - En particulier, appliquer ces orientations à la **fixation** des prix des mdts, au suivi des dépenses et à la **régulation** financière du marché
    - Conventions avec (groupes) entreprises portant sur
      - Prix mdts et son évolution, remises, engagements des entreprises concernant le BUM et les volumes de vente, modalités de participation des entreprises à la mise en œuvre des orientations ministérielles



Clauses conventionnelles → limiter coût des mdts pour collectivité  
(remises conventionnelles versées à l'AM)

Clauses confidentielles

DÉPÊCHE DU 20/03/2019

# Cancer du poumon: lancement de Tecentriq\* en France, avec un accord de prix basé sur un "modèle de remboursement personnalisé"

---

**Mots-clés :** #cancer #cancer-pneumo #accès au marché #immunothérapie #Roche #CEPS #remboursement

---

PARIS, 20 mars 2019 (APMnews) - Le laboratoire Roche a présenté mercredi lors d'une conférence de presse Tecentriq\* (atézolizumab), lancé dans le traitement de deuxième ligne du cancer du poumon métastatique, en indiquant avoir obtenu un accord de prix basé sur un "modèle de remboursement personnalisé".

"Tecentriq\* est le premier médicament Roche à obtenir en France un accord de prix s'appuyant sur le projet de modèles de remboursement personnalisé" ou PRM (*Personalised Reimbursement Model*), s'est félicité Jean-Marc Pinguet, directeur "accès national et prix" chez Roche France, affirmant la volonté du laboratoire "d'être un acteur responsable dans la maîtrise des dépenses de l'assurance maladie".

Selon cet accord, dont il n'a dévoilé que les grandes lignes, les détails restant confidentiels, Roche "s'engage à rembourser l'ensemble des cycles de traitement des patients n'ayant pas bénéficié pleinement" du traitement par cette immunothérapie.

## CHAPITRE II - La fixation des prix des médicaments et la régulation économique en 2017

1. Les méthodes de fixation des prix et des tarifs
  - 1.2 Les génériques des produits inscrits sur la liste en sus et /ou en rétrocession
  - 1.3 La mise en œuvre des articles 18 et 24 de l'Accord-cadre
  - 1.4 Les évolutions législatives 2017
2. Les mesures de la régulation de la dépense par les prix
  - 2.1 Les mesures relatives au champ de l'ONDAM ville
  - 2.2 Les mesures relatives au champ de l'ONDAM hospitalier
3. La régulation de la dépense par les remises
  - 3.1 Les remises produits
  - 3.2 Les remises ATU / Post-ATU
4. La régulation financière de fin d'année
  - 4.1 La régulation 2017 : les remises contributions taux Lv et Lh
  - 4.2 La régulation du secteur de l'hépatite C : contribution W
  - 4.3 Le conventionnement
  - 4.4 Les avoirs sur remises
  - 4.5 Les versements attendus

Accords-Cadres

Exemples : biosimilaires, ATU/post-ATU

## CHAPITRE III - Les autres modes de régulation

1. Les études post-inscription
  - 1.1 Le dispositif de suivi et évaluation des nouveaux médicaments en pratique médicale réelle
  - 1.2 Les études de médicaments demandées par le CEPS
    - Les études post-inscription de médicaments demandées par le CEPS
    - Fonctionnement du CSEVR
    - Activités du CSEVR en 2017

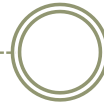




- Proposer les tarifs de remboursement des produits et prestations de l'article L. 165-1 du CSS et, le cas échéant leur prix
  - Dans le cadre des orientations reçues des ministres
  - Conventions possibles avec fabricants et/ou distributeurs portant notamment sur volumes de ventes
- Assurer un suivi périodique de ces dépenses



- Décisions prises de manière collégiale, en conformité avec orientations qu'il reçoit publiquement des ministres, et sous le contrôle du juge administratif
- Prix ou tarifs fixés de préférence par la voie de conventions



## Réforme de l'Assurance Maladie en 2004

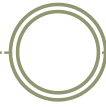
### Objectif : soigner mieux en dépensant moins

Transformation profonde de la gouvernance :

- Création de l'  **UNCAM**
- Pouvoirs étendus pour le DG de la CNAM/UNCAM

Élargissement du périmètre d'intervention de l'AM de manière significative :

- Définition de la politique hospitalière, politique du médicament
- Pouvoirs nouveaux dans le domaine des soins de ville avec un objectif : gérer de manière cohérente les biens et services de soins, relations avec professionnels de santé, partage des données de santé



- Regroupe les 3 principaux régimes d'AM
  - Général (CNAM), agricole (MSA) et social des indépendants (RSI)
  
- Missions
  - Conduit la politique conventionnelle
  - Définir le champ des prestations admises au remboursement
  - Fixer le taux de prise en charge des soins

# REMBOURSEMENT DES MEDICAMENTS ?

## Médicaments remboursés en officine

Taux de remboursement défini par l'**UNCAM** sur la base :

- SMR : *important* → 65% ; *modéré* → 30% ; *faible* → 15%
- Gravité de l'affection concernée

## Médicaments administrés à l'hôpital

Remboursés sur la base du tarif de responsabilité si médicament inscrit sur la liste en sus

Décret n° 2016-349 du 24 mars 2016 relatif à la procédure et aux conditions d'inscription des spécialités pharmaceutiques sur la liste mentionnée à l'article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale

- Mdt susceptible d'être administrée majoritairement au cours d'hospitalisations
- SMR important
- ASMR I, II, III ( + IV si indication considérée présente intérêt de SP et en l'absence de comparateur pertinent ; + IV ou V lorsque les comparateurs pertinents sont déjà inscrits sur la liste)
- Rapport > à 30% entre coût moyen estimé du traitement

Décision finale d'inscription d'un mdt au remboursement ou sur liste en sus relevant de la compétence des ministres chargés de la Santé et de la SS → publication au JO

**Décret n° 2019-855 du 20 août 2019 relatif à la prise en charge précoce de certains produits de santé**

NOR: SSAS1916802D

Version consolidée au 26 août 2019

# ACTEURS ?



Ministère des Solidarités  
et de la Santé



# 1

L'agence européenne (EMA) ou française (ANSM) du médicament autorise la mise sur le marché du médicament. La HAS évalue ce médicament en vue de son remboursement et de la fixation de son prix si l'industriel en fait la demande.

Pour les médicaments se revendiquant Innovants (ASMR I à III) + pouvant avoir un impact significatif sur les dépenses de l'Assurance maladie.

La commission évaluation économique et de santé publique (CEESP) de la HAS rend un avis fondé sur des critères médico-économiques.

La commission de la transparence (CT) de la HAS rend un avis fondé sur des critères cliniques.

## Avis de la CT

Le médicament a-t-il assez d'intérêt clinique pour être pris en charge par la solidarité nationale ?

Le médicament apporte-t-il un progrès par rapport aux traitements disponibles ?



Service médical rendu SMR

Amélioration du service médical rendu ASMR

- important
- modéré
- faible
- insuffisant

- I majeure
- II importante
- III modérée
- IV mineure
- V inexistant

## Avis de la CEESP

Quel coût pour la collectivité pour quels bénéfices en termes de santé par rapport aux traitements existants ?



Avis présentant :

- > le ratio différentiel coût/résultat (coût par année de vie gagnée en bonne santé)
- > les conditions de l'efficacité du produit
- > l'impact budgétaire

# 2

## Avis de la CT

SMR

ASMR

## Avis de la CEESP

Efficacité

L'Union nationale des caisses d'assurance maladie (Uncam) fixe le taux de remboursement.

Le comité économique des produits de santé (CEPS) négocie le prix du médicament avec l'industriel sur la base des avis de la HAS.

- Remboursement par l'Assurance maladie obligatoire
- Remboursement possible par les organismes complémentaires



Médicament non pris en charge par l'Assurance maladie.



Outre les avis de la HAS, d'autres éléments entrent dans la négociation du prix d'un médicament : le prix des médicaments comparables, l'effectif de la population à traiter, les prévisions de vente...

# 3

Les ministères de la Santé et de la Sécurité sociale décident du remboursement et du prix.

Le médicament peut alors être pris en charge en ville et/ou à l'hôpital.





EMA

AMM qui garantit la qualité, la sécurité et l'efficacité du médicament



ANSM

Blue box (conditions de prescription, de délivrance, etc)



HAS

Avis de la commission de la  
transparence

Avis d'efficience



UNCAM

Fixation du taux de  
remboursement uniquement  
pour les mdts en rétrocession



CEPS

Fixation du prix pour les mdts  
inscrits sur liste de rétrocession  
et liste en sus

Ministère des Solidarités et de la Santé

Inscription sur listes des spécialités agréées à l'usage des collectivités, liste en sus et liste rétrocession → Publication au Journal Officiel (inscription et prix)

Procédure communautaire ou reconnaissance mutuelle

## Processus



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Committee for Medicinal  
Products for Human Use  
(CMPH)

**ansm**

Agence nationale de sécurité du médicament  
et des produits de santé

Commission d'Autorisation  
de Mise sur le Marché

**Autorisation de Mise  
sur le Marché**

**Haute  
Autorité  
de Santé  
(HAS)**

Commission de la  
Transparence

Commission Évaluation  
Économique Santé Publique  
(CEESP)

**Service Médical  
Rendu (SMR),  
statuant sur  
l'admission du  
médicament au  
remboursement**

**Amélioration du  
Service Médical  
Rendu (ASMR)**

**Avis  
d'Efficiencie**

**Ministère  
en charge de la Santé**

Comité Économique des  
Produits de Santé (CEPS)

**Prix « administrés »**

**Ville**

- Inscription et taux de remboursement de la Sécurité Sociale
- Prix

**Hôpital**

- Agrément collectivités
- Inscription liste en sus T2A
- Tarif de responsabilité

**Accès au marché français**

## Critères d'appréciation

- Efficacité
- Sécurité
- Qualité

- Efficacité/Effets indésirables
- Place dans la stratégie thérapeutique
- Gravité de la pathologie
- Caractère préventif, curatif ou symptomatique du traitement
- Intérêt de santé publique

- Apport en termes de quantité d'effets
- Population cible de la thérapeutique
- Apport en terme d'efficience (différentiel coût-résultat en regard d'alternatives)

- Objectif National de Dépenses d'Assurance Maladie
- « accords-conventionnels » avec l'industrie pharmaceutique (négociation prix/volume)

Accès au marché mais non remboursé et prix libre