

EVALUATION DES TECHNOLOGIES DE SANTE (*HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT*)



Virginie NERICH

PharmD, PhD

Professeur des Universités – Praticien Hospitalier

v1nerich@chu-besancon.fr

LIENS D'INTERET (2020-2023)

EXPERTISE SCIENTIFIQUE, ORATRICE

Laboratoires BAYER, EXACT SCIENCES, NOVO NORDISK,
ROCHE, TAKEDA, VIATRIS

OBJECTIF

FORMER AUX PRINCIPES DE
L'EVALUATION DES TECHNOLOGIES DE SANTE

COMPETENCES VISEES

Comprendre et savoir définir ce qu'est l'évaluation des technologies de santé

Connaître les principales missions de la HAS et du NICE, agences d'« *HTA* »

DE QUOI PARLE-T-ON ?

DE QUOI PARLE-T-ON ?

TECHNOLOGIES DE SANTE

Toutes les interventions susceptibles d'être utilisées pour promouvoir la santé, prévenir, diagnostiquer ou traiter une maladie, ou pour la rééducation ou les soins au long cours, diffusées ou en voie de diffusion, émergentes et/ou innovantes

Médicament, dispositif médical, procédure (médicale, chirurgicale), organisation

DE QUOI PARLE-T-ON ?

EVALUATION DES TECHNOLOGIES DE SANTE

Systematique des propriétés, effets et/ou impacts

Domaines cliniques

Identification d'un problème de santé et de la TS actuelle, examen des caractéristiques techniques de la TS faisant l'objet de l'évaluation, sa sécurité relative et son efficacité clinique relative

Domaines non cliniques

Coût/évaluation économique, aspects organisationnels, sociaux, éthiques, juridiques

DE QUOI PARLE-T-ON ?

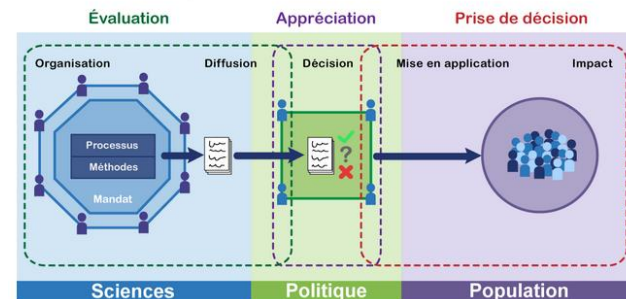
EVALUATION DES TECHNOLOGIES DE SANTE

Approche interdisciplinaire

Finalités

- 1) Fournir aux responsables politiques des informations fondées sur des données probantes pour leur permettre de formuler des politiques de santé qui soient sûres, efficaces, axées sur le patient et efficaces au regard des coûts
- 2) Utiliser par les autorités nationales pour contribuer à déterminer les technologies qui devraient être remboursées au niveau national

Le processus d'évaluation des technologies de la santé :
modèle à trois phases



MISSIONS DES AGENCES DE *HEALTH* *TECHNOLOGY ASSESSMENT*





■ Missions



Évaluer

les médicaments, dispositifs médicaux et actes professionnels en vue de leur remboursement



Recommander

les bonnes pratiques professionnelles, élaborer des recommandations vaccinales et de santé publique



Mesurer et améliorer

la qualité dans les hôpitaux, cliniques, en médecine de ville, et dans les structures sociales et médico-sociales.

■ Organisation

- 1 collège de 8 membres dont 1 président
- Des commissions spécialisées

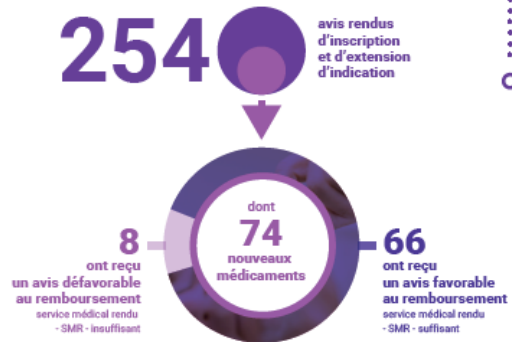
■ Missions



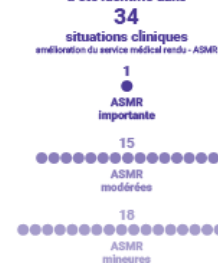
Évaluer

les médicaments, dispositifs médicaux et actes professionnels en vue de leur remboursement

ACCÈS AU REMBOURSEMENT



Parmi les 66 nouveaux médicaments ayant reçu un avis favorable au remboursement, un progrès thérapeutique a été identifié dans



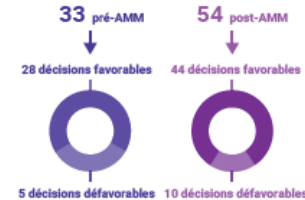
CHIFFRES CLÉS

Accès précoce

122 demandes reçues

66 post autorisations de mise sur le marché (AMM)
40 pré-AMM
16 continuités de prise en charge

98 décisions d'accès précoce rendues



11 continuités
84 appels à contributions

Recours à **65** expertises externes pour 56 dossiers

Contributions association patients reçues pour **45** dossiers examinés

Auditions association patients pour **10** dossiers examinés

Auditions partie prenante pour **7** dossiers examinés

74 jours

délai médian de traitement de ces demandes :
85 jours pour les 33 demandes d'accès précoce pré-AMM
70 jours pour les 54 demandes d'accès précoce post-AMM

60 rendez-vous en amont de dépôts d'autorisation d'accès précoce ont été réalisés en 2022, 2 demandes annulées ou refusées.

CYCLE DE VIE DU MEDICAMENT



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.

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 ?



Service médical rendu SMR

- important
- modéré
- faible
- insuffisant

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



Amélioration du service médical rendu ASMR

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

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.

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

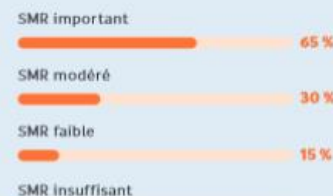
L'Union nationale des caisses d'assurance maladie (Uncam) fixe le taux de remboursement.

Avis de la CEESP

Efficience

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.



	SMR	ASMR
Appréciation s'appuyant	Gravité de la pathologie Efficacité et effets indésirables du médicament Place dans la stratégie thérapeutique Existence d'alternatives thérapeutiques Intérêt pour la santé publique	Comparaison du médicament, en termes de service médical rendu, avec tous les comparateurs pertinents au regard des connaissances médicales avérées
Niveaux	Important, modéré, faible, insuffisant*	Majeur (I), important (II), modéré (III), mineur (IV), V (absence de progrès)
Finalité	Taux de remboursement du médicament	Fixation du prix d'un médicament remboursable

*avis défavorable à la prise en charge

→ Avis donné au Ministre chargé 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)

ACCES A L'INNOVATION



Décrets, arrêtés, circulaires

TEXTES GÉNÉRAUX

MINISTÈRE DES SOLIDARITÉS ET DE LA SANTÉ

Décret n° 2021-869 du 30 juin 2021 relatif aux autorisations d'accès précoce et compassionnel de certains médicaments

NOR : SSAS2114883D



ACCÈS COMPASSIONNEL

Remplace les ATUn et RTU*

- Pour les médicaments non destinés à être commercialisés dans l'indication concernée.
- Absence de développement en cours/prévu.
- Pas de démarche en vue d'une AMM.

Sur initiative de l'**ansm**, à la demande de professionnels de santé, des ministres ou sur signalements

Évaluation et décision de l'**ansm**

Refus

CADRE DE PRESCRIPTION
COMPASSIONNELLE
(3 ans renouvelables)

AUTORISATION D'ACCÈS
COMPASSIONNEL
(1 an renouvelable)

AUTORISATION
D'ACCÈS PRÉCOCE
(1 an renouvelable)

ACCÈS NON DÉROGATOIRE,
REMBOURSEMENT PÉRENNE
(droit commun)

Refus

Arrêt possible en fonction des nouvelles données disponibles



ACCÈS PRÉCOCE

Remplace les ATUc, ATUei, post-ATU, PECT**

- Pour les médicaments destinés à être commercialisés dans l'indication concernée.
- Médicaments présumés innovants.
- Données cliniques disponibles ou en cours de recueil.

Sur demande du laboratoire

Avant demande d'AMM

Sur avis conforme de l'**ansm**
après évaluation

Après obtention d'une AMM

Évaluation et décision de la **HAS**

(3 mois à partir de la demande complète, hors suspension et prorogation)

* L'autorisation temporaire d'utilisation nominative (ATUn) devient autorisation d'accès compassionnel.

** La recommandation temporaire d'utilisation (RTU) devient cadre de prescription compassionnelle et répond à d'autres conditions que celles de l'AC et l'AP.

** Autorisation temporaire d'utilisation de cohorte. Autorisation temporaire d'utilisation d'extension d'indication. Post-Autorisation temporaire d'utilisation. Prise en charge temporaire.

Commission d'Evaluation Economique et de Santé Publique

■ LFSS 2012

Décrets, arrêtés, circulaires

TEXTES GÉNÉRAUX

MINISTÈRE DES AFFAIRES SOCIALES ET DE LA SANTÉ

Décret n° 2012-1116 du 2 octobre 2012 relatif aux missions médico-économiques
de la Haute Autorité de santé

NOR : AFSS1208661D

■ Évaluation économique → Avis d'efficience

« Art. R. 161-71-1. – I. – Dans le cadre d'une procédure d'inscription ou de renouvellement d'inscription sur les listes mentionnées aux articles L. 162-17 et L. 165-1 du code de la sécurité sociale et L. 5123-2 du code de la santé publique, une évaluation médico-économique est requise lorsque les deux conditions suivantes sont remplies :

« 1° La reconnaissance ou la confirmation d'une amélioration du service médical rendu ou du service attendu, majeure, importante ou modérée, au sens du 2° de l'article R. 163-18 et du 3° de l'article R. 165-11, est sollicitée par l'entreprise ;

« 2° Le produit ou la technologie a ou est susceptible d'avoir un impact significatif sur les dépenses de l'assurance maladie compte tenu de son incidence sur l'organisation des soins, les pratiques professionnelles ou les conditions de prise en charge des malades et, le cas échéant, de son prix.



HAS
HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ



NICE National Institute for
Health and Care Excellence



- En Angleterre, Pays de Galles, Irlande du Nord
- Organisation indépendante, accompagnant le *National Health Service* dans l'allocation de ses ressources

- Missions



Single Technology Appraisal

1 TS pour 1 seule indication
+++

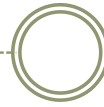
Fast Track Appraisal

Accès au marché + rapide
pour mdts les + efficaces

Multiple Technology Appraisal

Plusieurs TS ou TS pour
plusieurs indications

→ décision de remboursement fondée sur preuves clinique/éco



- Place prépondérante de l'évaluation économique
 - Recommendations méthodologiques, *Technical Support Documents*

- Missions



Dossier d'évaluation → 5 types de recommandations
Recommandé, optimisé, en recherche uniquement, recommandé dans le cadre du Cancer Drugs Fund, non recommandé

	France	Royaume-Uni
Organisme en charge de l'évaluation	HAS CT ± CEESP	NICE (+ organismes extérieurs)
Critère clé dans la décision de remboursement	Données cliniques	Efficiencia (EE)
Critère(s) clé(s) dans la négociation des prix	SMR/ASMR ± Efficiencia	Efficiencia (EE)
Taux de remboursement	Différents selon le niveau de l'ASMR	Unique
Place de l'EE	Complémentaire Requise pour les médicaments « innovants », avec un impact sur le prix	Prépondérante Requise pour tous les médicaments avec un impact direct sur la décision de remboursement

CEESP = Commission d' Evaluation Economique et de Santé Publique ; CT = Commission de la Transparence ; EE = Evaluation Economique

DEMAIN ?



RÈGLEMENT (UE) 2021/2282 DU PARLEMENT EUROPÉEN ET DU CONSEIL

du 15 décembre 2021

concernant l'évaluation des technologies de la santé et modifiant la directive 2011/24/UE

Application à compter du 1^{er} janvier 2025

Les 13 agences du consortium EUnetHTA 21

- **G-BA** (Gemeinsame Bundesausschuss), Allemagne,
- **IQWiG** (Institute for Quality and Efficiency in Health Care), Allemagne,
- **AIHTA** (Austrian Institute for Health Technology Assessment), Autriche,
- **KCE** (Belgian Health Care Knowledge Centre), Belgique,
- **AEMPS** (Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios), Espagne,
- **HAS** (Haute Autorité de santé), France,
- **NIPN** (National Institute of Pharmacy and Nutrition), Hongrie,
- **AIFA** (Italian Medicines Agency), Italie,
- **NCPE** (National Centre for Pharmacoeconomic), Irlande,
- **NOMA** (Norwegian Medicines Agency), Norvège,
- **ZIN** (National Health Care Institute), Pays-Bas,
- **INFARMED** (National Authority of Medicines and Health Products), Portugal,
- **TLV** (Dental and Pharmaceutical Benefits Agency), Suède.



Guides méthodologiques
Procédures d'évaluation communes
Etc.