



# La Haute Autorité de santé

## *Evaluation des médicaments*

Pierre Cochat

Membre du Collège  
Président de la Commission de la transparence  
Vice-président de la Commission Technique des Vaccinations



Aucun lien ou conflit d'intérêt  
Devoir de réserve



# CT : Commission réglementée

Médecins, pharmaciens, usagers

## Membres ayant voix délibérative

- 22 titulaires dont :
  - Président : Pierre Cochat (Lyon), nommé pour 6 ans par le PR sur proposition du ministre de la santé
  - 2 vice-présidents : 1. Michel Clanet (Toulouse) – 2. Etienne Lengliné (Paris)
  - 2 adhérents d'association agréée de malades ou d'usagers
- 7 membres suppléants

Nommés pour 3 ans par le Collège, mandat renouvelable 2 fois

### Réunions

Bureau : hebdomadaires  
CT : 2 par mois (35 par an)

### Bureau

Président  
2 vice-présidents + 1 méthodologue  
+ 1 représentant des usagers  
Service Evaluation des Médicaments  
(SEM)

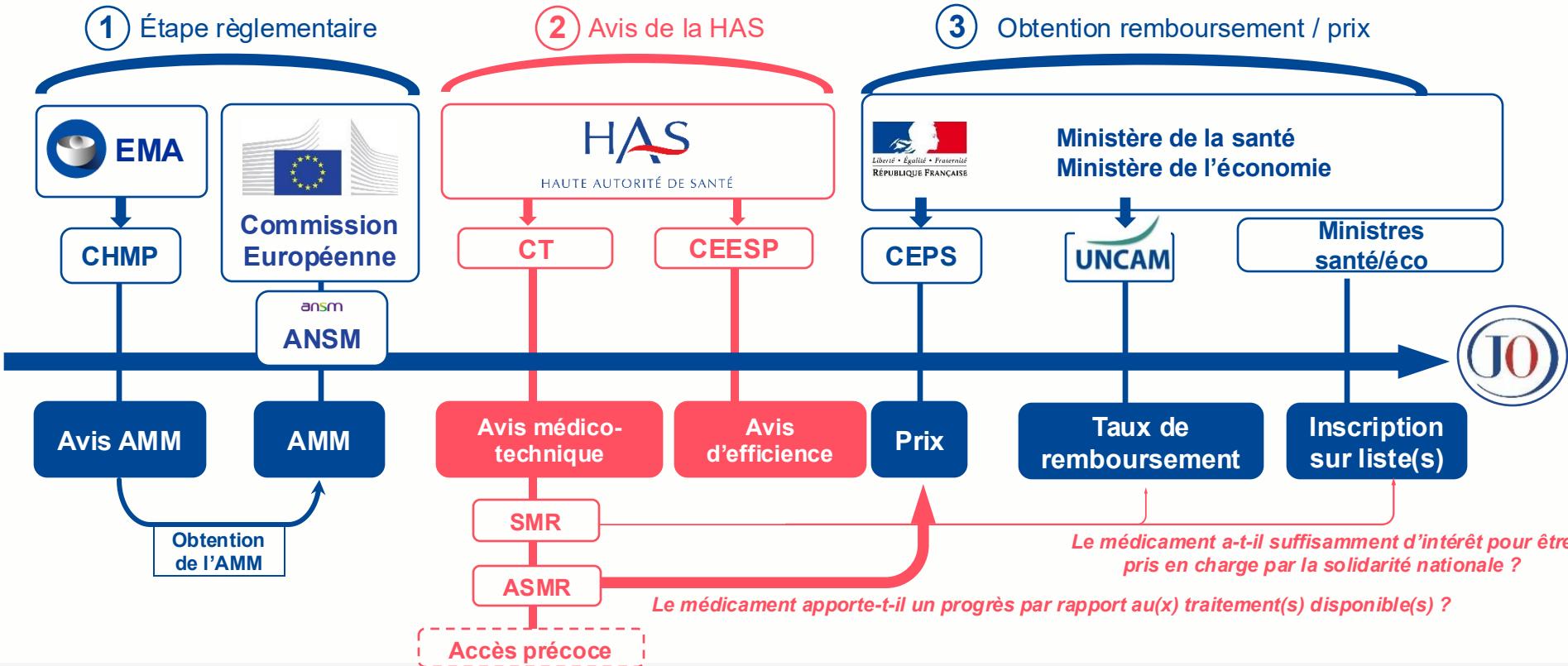
## Membres ayant voix consultative

- 4 membres de droit : DSS, DGS, DGOS, ANSM
- 2 représentants des directeurs de la CNAMTS

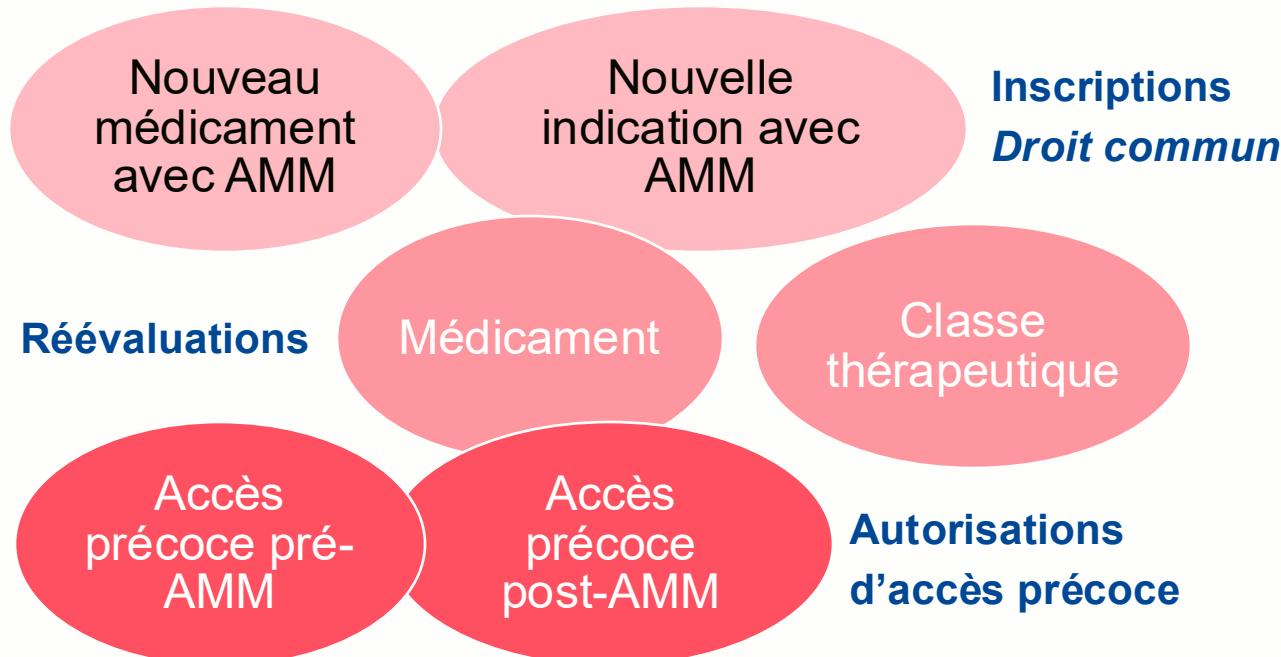
### SEM

Charlotte Masia + 4 adjoints  
41 chefs de projets  
8 administratifs

# Les acteurs de l'accès au marché du médicament



# La Commission de la transparence (CT) se prononce sur

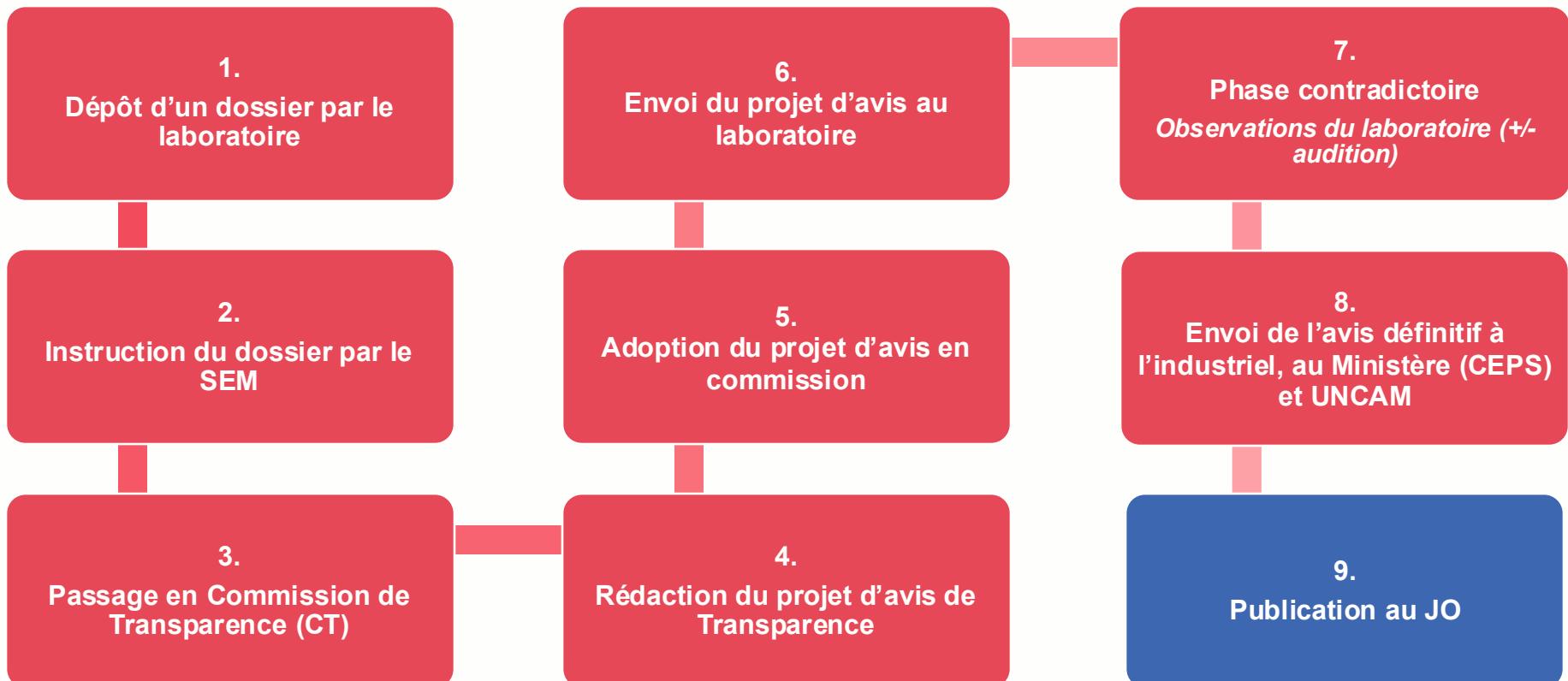




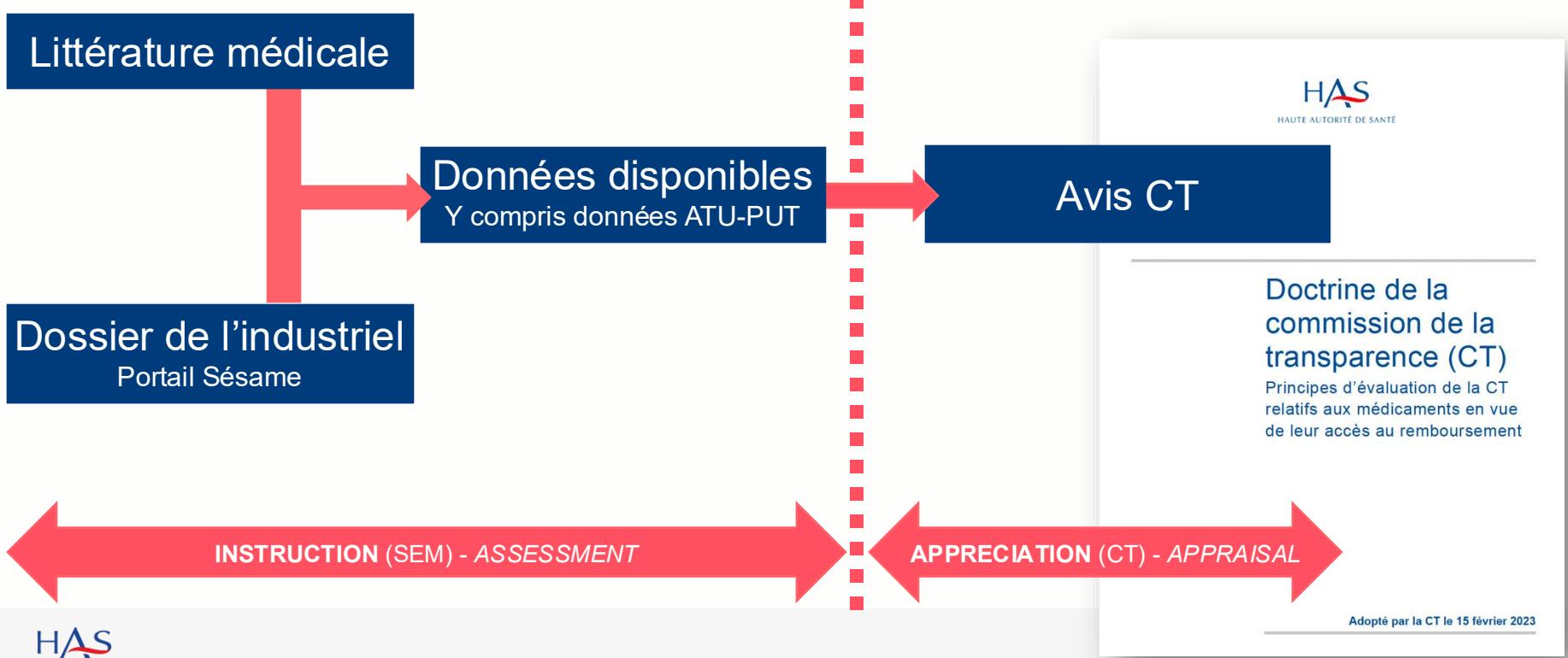
# Evaluation des médicaments

## Droit commun

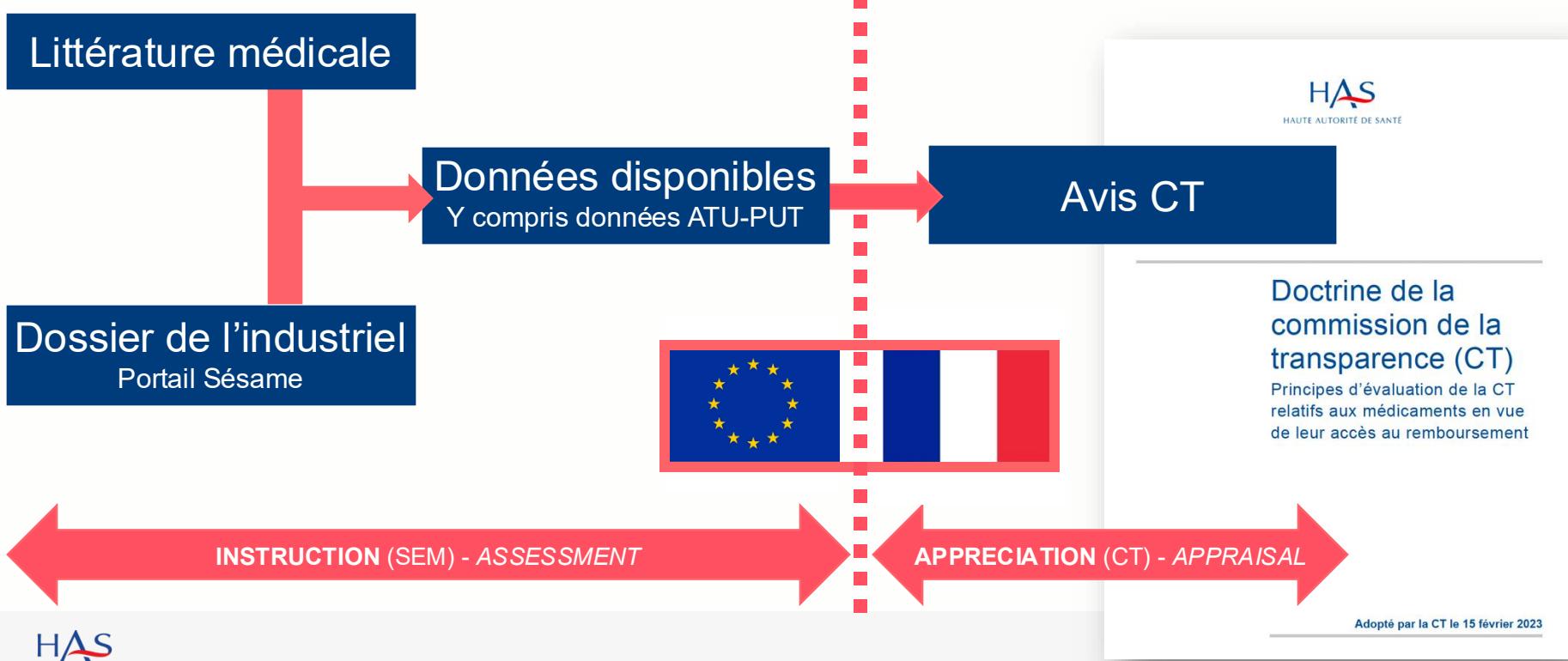
# HAS : parcours théorique de 90 jours



# DC : Evaluation des médicaments



# DC : Evaluation des médicaments à partir de 2025



# Service médical rendu et amélioration du service médical rendu

SMR

Bénéfice clinique démontré  
→ remboursement + taux

Le médicament a-t-il suffisamment d'intérêt pour être pris en charge par la solidarité nationale au regard des CCP ?

Défini réglementairement  
(5 dimensions)

ASMR

Valeur ajoutée démontrée  
→ contribue à la négociation du prix avec le CEPS

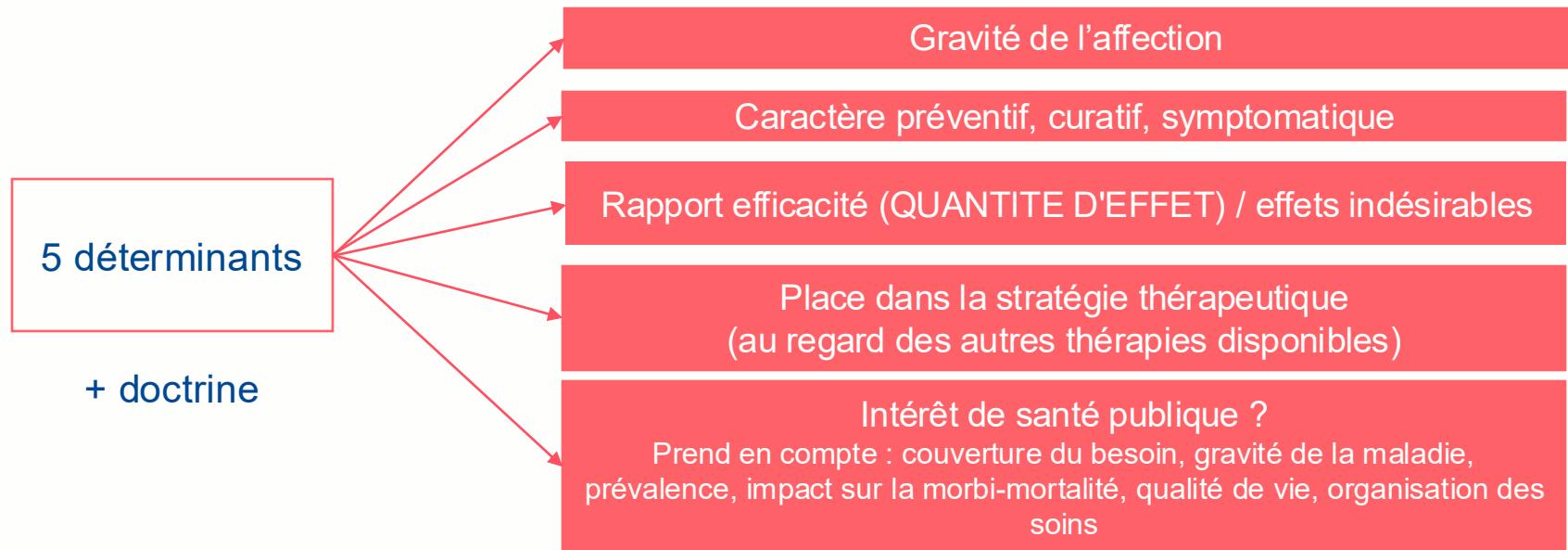
Le médicament apporte-t-il un progrès par rapport au(x) CCP ?

Peu défini réglementairement



# Service Médical Rendu (SMR)

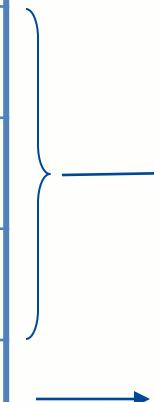
Evaluation faite au regard de 5 dimensions



# Service Médical Rendu (SMR)

## Ses conséquences

SMR	Taux de remboursement
Important	65 % *
Modéré	30 % *
Faible	15 % *
Insuffisant	Non remboursé



\* L'UNCAM a la possibilité de moduler le taux de remboursement  $\pm$  5 %

Perte de chance, absence de place dans la stratégie thérapeutique

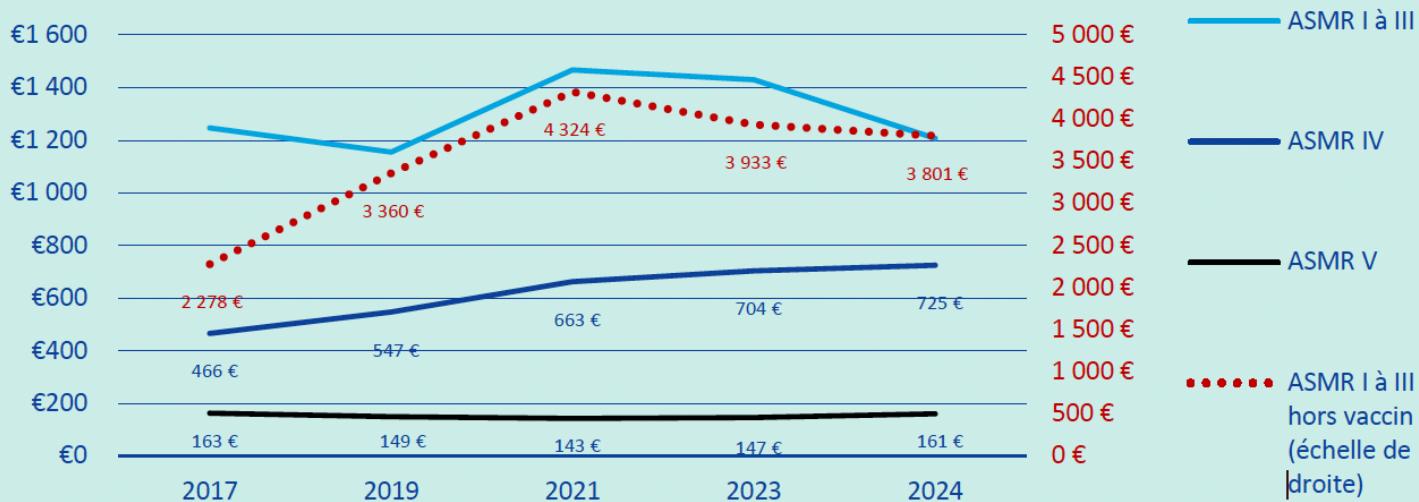
# Amélioration du Service Médical Rendu - ASMR

- L'ASMR apprécie si le médicament apporte un **progrès par rapport aux traitements disponibles** dans l'indication considérée : notion de **valeur ajoutée (Added Value)**
- Il est alors **quantifié**

ASMR I (majeure) - II (importante) - III (modeste) - IV (mineure) - V (absence)
- L'ASMR prend en compte
  - ✓ La **qualité** de la démonstration,
  - ✓ La **quantité d'effet** en termes d'efficacité clinique, qualité de vie et tolérance,
  - ✓ La **pertinence clinique** de cet effet,
  - ✓ Le **besoin thérapeutique** et sa couverture.

# ASMR et conséquences sur le prix

Comparaison de la dépense remboursable, nette de remises, par patient, selon le niveau d'amélioration du service médical rendu (ASMR) entre 2017 et 2024



Sources : Cnam (SNDS) ; Scan santé, Medic'AM, Rétroced'AM, Comité économique des produits de santé – CEPS (données provisoires pour l'année 2024) ; base de données publiques du médicament ; traitements Cnam  
Champ : médicaments non génériques, non biosimilariés et ayant une autorisation de mise sur le marché (AMM) > 1998

# Contenu des avis de la Commission

Pour chaque indication

- Identification des comparateurs
  - Description des données disponibles
  - Conclusions sur l'ISP, SMR et ASMR
  - Population cible
  - Place du médicament dans la stratégie thérapeutique
- +/- Demande de données complémentaires

Public cible

- Décideurs : CEPS, ministère
- Professionnels de santé

Période  
contradictoire

HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

ÉVALUER LES TECHNOLOGIES DE SANTÉ

AVIS SUR LES MÉDICAMENTS

omavéloxolone  
**SKYCLARYS 50 mg,**  
gélule

Primo-inscription

Adopté par la Commission de la transparence le 11 septembre 2024

Ataxie de Friedreich  
Adulte / Adolescent (≥ 16 ans)  
Secteurs : Ville et Hôpital

Synthèse de l'avis

Avis favorable au remboursement dans le « traitement de l'ataxie de Friedreich chez les adultes et les adolescents âgés de 16 ans et plus »

Place dans la stratégie thérapeutique

SKYCLARYS (omavéloxolone) 50 mg, gélule est la seule spécialité disposant actuellement d'une AMM dans l'ataxie de Friedreich.

Service médical rendu (SMR)

MODÉRÉ dans l'indication de l'AMM.

Intérêt de santé publique (ISP)

Cette spécialité n'est pas susceptible d'avoir un impact supplémentaire sur la santé publique.

Amélioration du Service médical rendu (ASMR)

Pas de progrès thérapeutique dans la prise en charge.

Compte tenu :

- des réserves sur la pertinence clinique de l'effet observé versus placebo sur le score d'évaluation neurologique mFARS chez les patients sans déformation et arcs creux x de l'étude MOXIE partie 2 (-2,4 points, IC<sub>95%</sub> [-4,31 ; -0,50]) et de l'absence de mise en évidence de différence versus placebo sur les critères d'évaluation secondaires hiérarchisés,
- des incertitudes sur la transposabilité des résultats à l'ensemble des patients ayant une ataxie de Friedreich, notamment aux patients ayant une cardiomyopathie avancée, un diabète non contrôlé ou une forme évolutionnée de la maladie,
- des réserves émises sur le niveau de preuve et l'interprétation des résultats issus des données de comparaison indirecte,
- de la fréquence des effets indésirables rapportés et la mise en évidence de risques de lésion hépatique et d'insuffisance cardiaque congestive,
- et malgré un besoin médical majeur de disposer de médicaments efficaces et bien tolérés chez ces patients,

La Commission considère que SKYCLARYS 50 mg (omavéloxolone), gélule n'apporte pas d'amélioration (ASMR V) dans la stratégie thérapeutique de l'ataxie de Friedreich.

Population cible

La population cible est estimée à environ 800 patients.

HAS - SKYCLARYS 50 mg, gélule • septembre 2024

## Accès au remboursement

# Activité droit commun 2024



### Aires thérapeutiques les plus concernées

15 %

Oncologie/  
onco-hématologie

14 %

Dermatologie

9 %

Infectiologie

5

rencontres précoce  
nationales avec  
des industriels

12

sources de données  
en vie réelle recensées  
pour les médicaments et  
les dispositifs médicaux

8

protocoles  
d'études validées  
pour les médicaments

9

études de suivi  
en vie réelle demandées,  
concernant 9 spécialités

### Contribution d'associations de patients et d'usagers

**195**

dossiers ouverts  
à contributions  
des associations de  
patients et d'usagers

**62**

dossiers  
ayant reçu au moins  
1 contribution d'association de patients

# Activité droit commun 2024



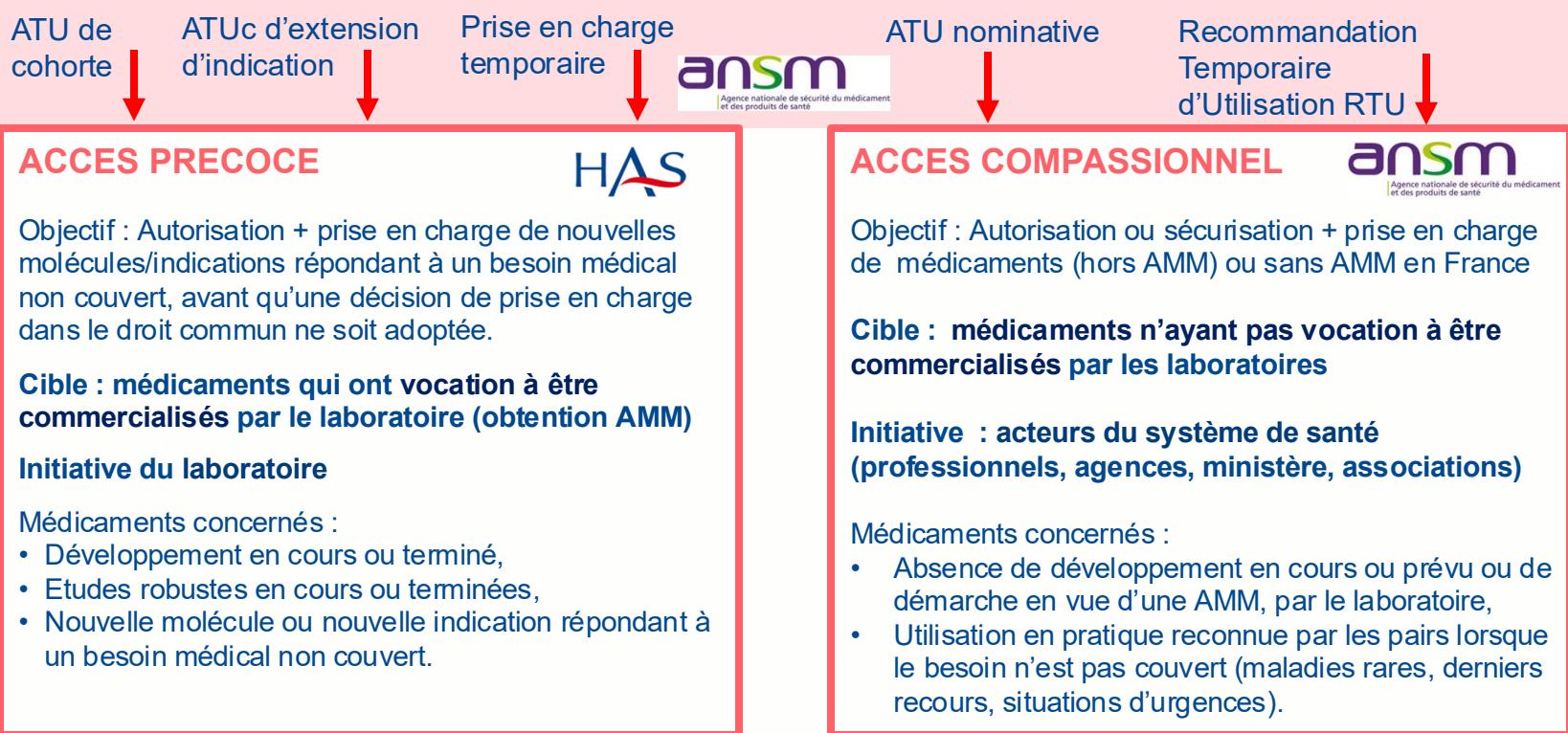


# Evaluation des médicaments

## L'accès précoce

# Accès précoce

2020



# Critères d'évaluation pour une AAP



Maladie grave, rare ou invalidante



Efficacité et sécurité fortement présumées au vu des résultats d'essais cliniques.



Mise en œuvre de ce traitement ne peut pas être différée



Absence de traitement approprié



Medicament présumé innovant, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent

# Présomption d'innovation : 3 principes

## Nouvelle modalité de prise en charge

Quel que soit le mécanisme d'action, susceptible d'apporter un changement substantiel pour le patient

## Plan de développement adapté

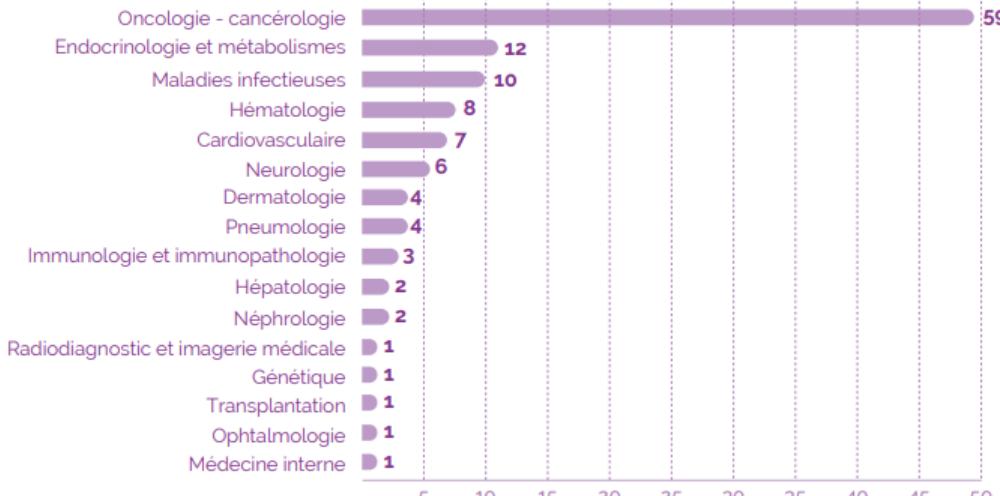
et présente des résultats cliniques étayant la présomption d'un bénéfice pour le patient **dans le contexte de la stratégie thérapeutique existante**

## Il comble un besoin médical non ou insuffisamment couvert

**Présomption  
d'innovation**

# Bilan de la réforme des AP à 3 ans

- Entre 2021 et 2024, **plus de 120 000 patients** en situation d'impasse thérapeutique ont eu accès à un médicament pris en charge dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce
- 172 décisions pour de premières demandes :



# Bilan de la réforme des AP à 3 ans

- ❖ Entre 2021 et 2024, **plus de 120 000 patients** en situation d'impasse thérapeutique ont eu accès à un médicament pris en charge dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce
- ❖ 172 décisions pour de premières demandes :



**78,5 jours**

Le délai médian d'instruction des premières demandes est de 78,5 jours soit 12 jours de moins que fixé par la loi



**13 mois**

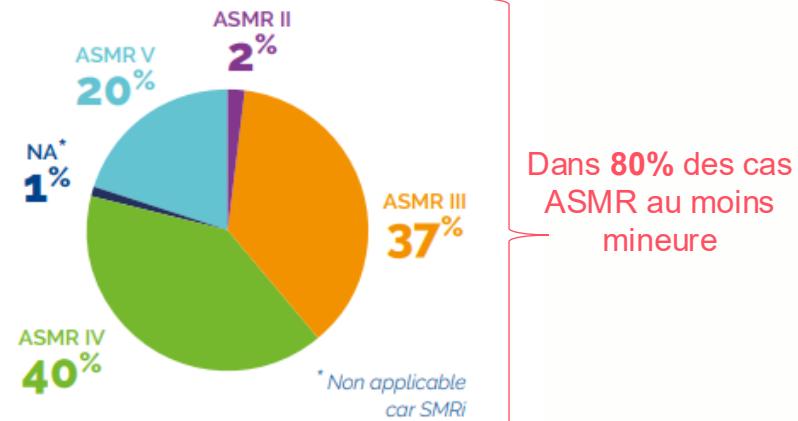
Les médicaments disponibles en accès précoce le restent en moyenne 13 mois (407 jours) avant leur inscription en droit commun

# Bilan de la réforme des AP à 3 ans

- Entre 2021 et 2024, **plus de 120 000 patients** en situation d'impasse thérapeutique ont eu accès à un médicament pris en charge dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce
- 172 décisions pour de premières demandes :



105  
ont déjà  
été évaluées  
en droit commun





# Evaluation des médicaments

## Données de vie réelle

# Etudes en vie réelle





# BNDMR

Banque Nationale de Données  
Maladies Rares

La BNDMR recrute !

Partenariats



BaMaRa

[Accueil](#)[Le projet](#)[Participer](#)[Exploiter](#)[Boîte à outils](#)[Se documenter](#)[Espace patients](#)[Contact](#)

[Home](#) / [Participer](#) / Guides et bonnes pratiques

## Guides et bonnes pratiques

Reportez-vous à ces documents pour connaître le fonctionnement précis de l'application BaMaRa et les règles à suivre pour le recueil de données maladies rares, en mode autonome ou connecté.

### Quoi coder dans BaMaRa

#### Activités maladies rares à coder

La DGOS et la BNDMR ont produit le document suivant qui précise ce qui peut être considéré comme une activité maladies rares (mise à jour: oct 22). **Seules ces activités doivent être saisies dans BaMaRa.**

[Quelles activités coder ?](#)

#### Fiche synthétique pour le codage des cas de maladies rares en France

Le contexte et les procédures relatives au codage des patients atteints de maladies rares et vus dans les CRMR et les CCMR sont détaillés dans cette fiche synthétique.

Avancement au 24/02/2025

Nombre de sites maladies rares déployés **98%**

130 établissements de santé	5 700 maladies différentes
1 600 000 dossiers patient	

#### PARTICIPER

- Déploiement
- CEMARA



# Evaluation des médicaments

## Autres aspects

# GT spécifiques (évolutions doctrine)

**Essais basket**

*Lancet Oncol 2021*

**Adaptation des méthodologies à l'innovation**

*Br Med J Evid Based Med 2024*

**Particularités pédiatriques**

*Arch Pediatr 2024*

**Levée du pari dans l'accès précoce**

**Utilisation des PRO – Recommandations pour l'évaluation de la qualité de vie**

# Réévaluations de classes thérapeutiques

## Prévues en 2025-6

- Médicaments de la ménopause
- Cannabis thérapeutique
- Antimigraineux
- Psychotropes ?

# Fiches BUM (Bon Usage du Médicament)

Inhibiteurs de la pompe à protons

Antiémétiques dans le traitement symptomatique des nausées/vomissements

Médicaments de l'ostéoporose

Etc.

**HAS**  
HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

RECOMMANDER LES BONNES PRATIQUES

FICHE

Dupixent® (dupilumab),  
Fasenra® (benralizumab),  
Nucala® (mépolizumab),  
Tezspire® (tézépélumab) et  
Xolair® (omalizumab) dans  
le traitement de l'asthme sévère

Validée par le Collège le 29 février 2024

Dupixent® (dupilumab) est indiqué, à partir de 6 ans, en traitement de fond additionnel de l'asthme sévère associé à une inflammation de type 2, caractérisée par des éosinophiles sanguins élevés ( $\geq 150$  cellules/ $\mu\text{L}$ ) et/ou une fraction du monoxyde d'azote expiré élevé ( $\text{FeNO} \geq 20$  ppb) chez les patients insuffisamment contrôlés par des corticothérapies inhalées (CSI) à dose élevée (ou à dose moyenne chez les enfants âgés de 6 à 11 ans) associés à un autre traitement de fond de l'asthme ( $\beta$ -agoniste inhalé de longue durée d'action [LABA] par exemple).

Fasenra® (benralizumab) est indiqué chez l'adulte en traitement de fond additionnel de l'asthme sévère à éosinophiles non contrôlé malgré une corticothérapie inhalée (CSI) à forte dose associée à un LABA.

Nucala® (mépolizumab) est indiqué, à partir de 6 ans, en traitement additionnel dans l'asthme sévère réfractaire à éosinophiles.

# A l'échelle européenne

Nouveau règlement européen des HTA (*Health Technology Assessment*)

Médicaments, vaccins, dispositifs médicaux, tests *in vitro*

**JSC** (*Joint scientific consultation*) & **JCA** (*Joint clinical assessment*) – Méthode **PICO**

Création de la **HAG** (*Head of HTA Agencies Group*) : responsables de 20 agences des états



Retrouvez  
tous nos travaux sur

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

