



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



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ



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

Membres ayant voix consultative

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

Réunions

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

Bureau

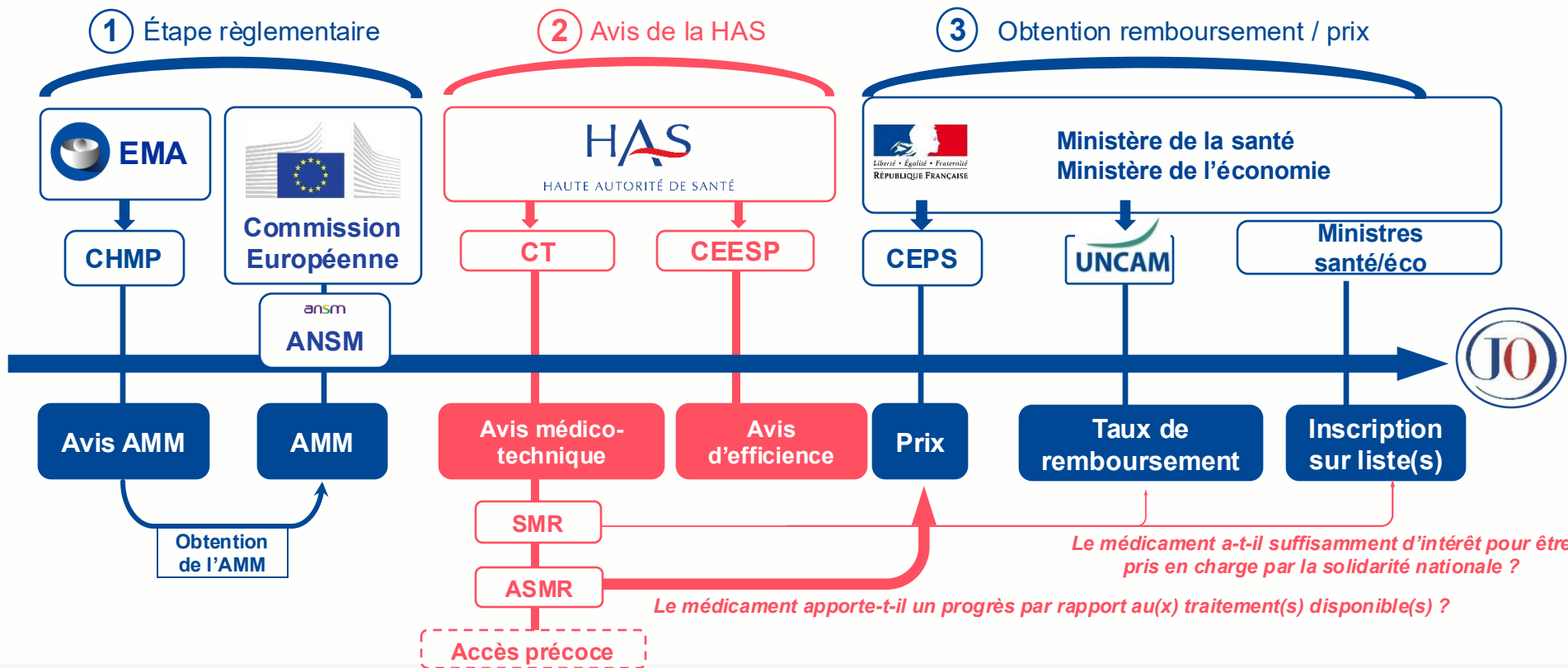
Président

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

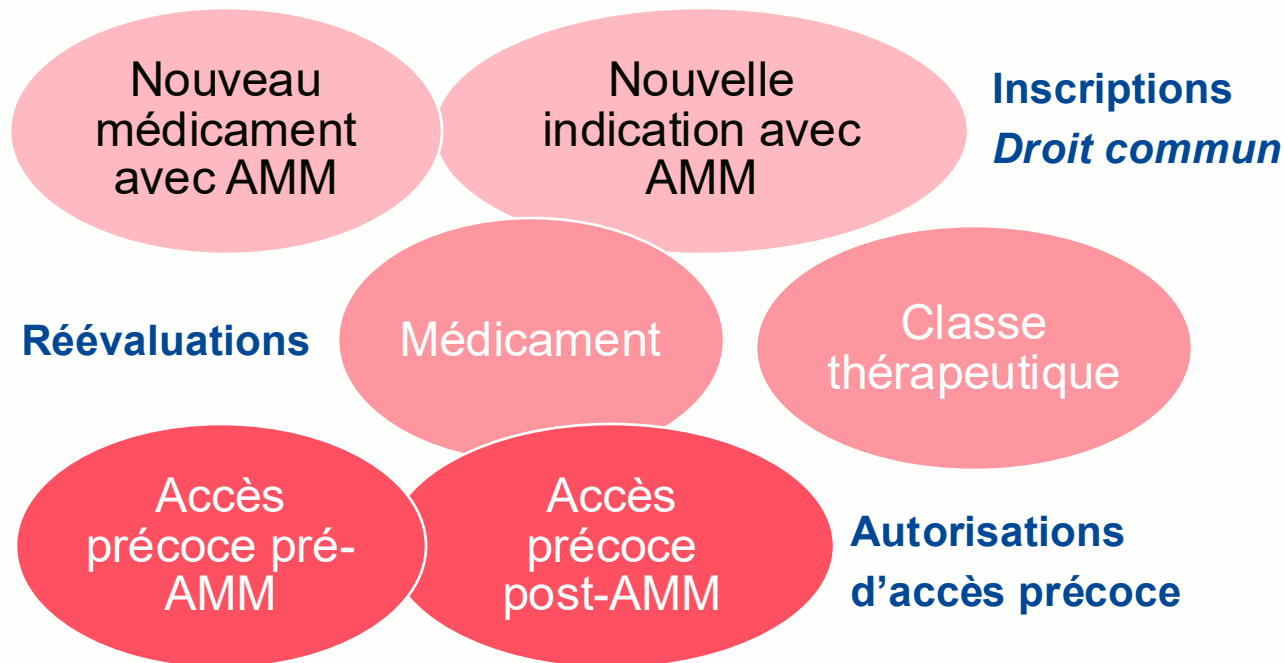
SEM

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

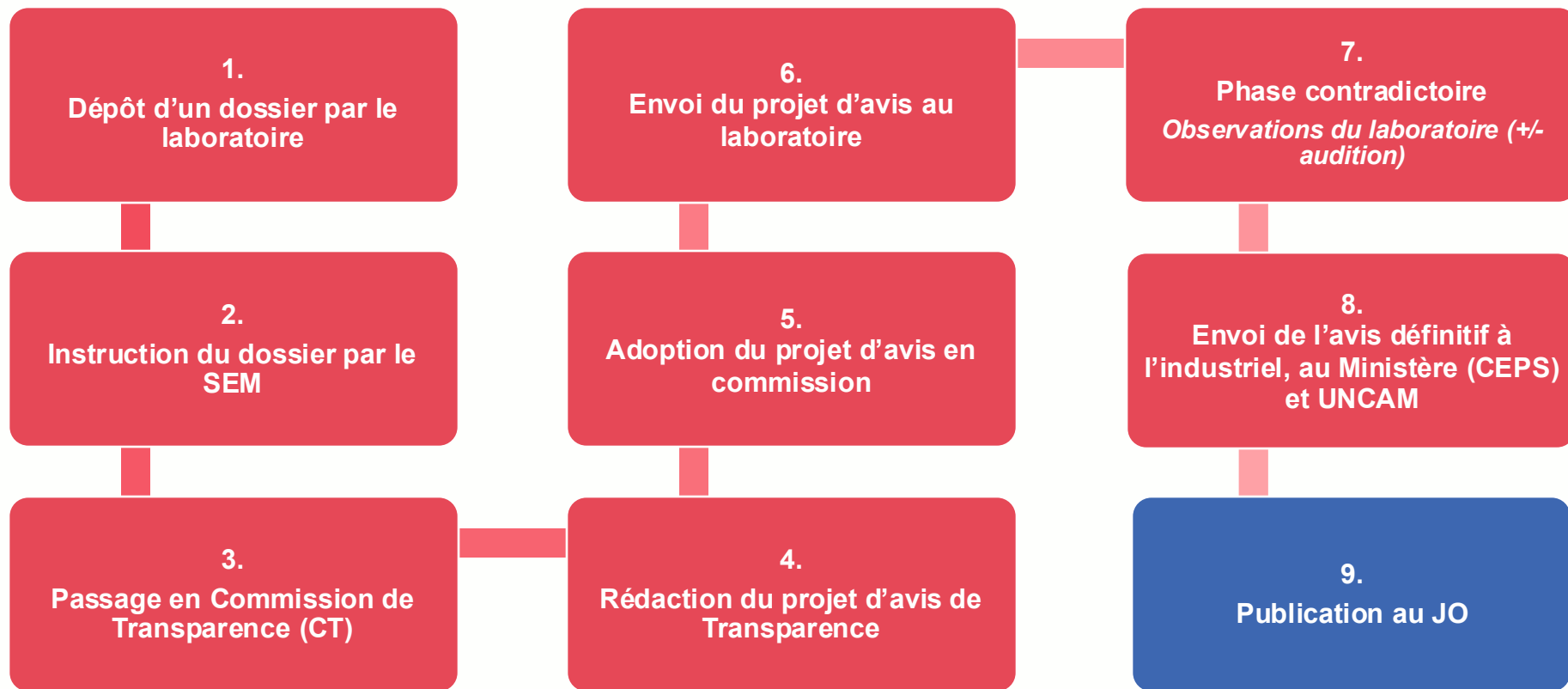




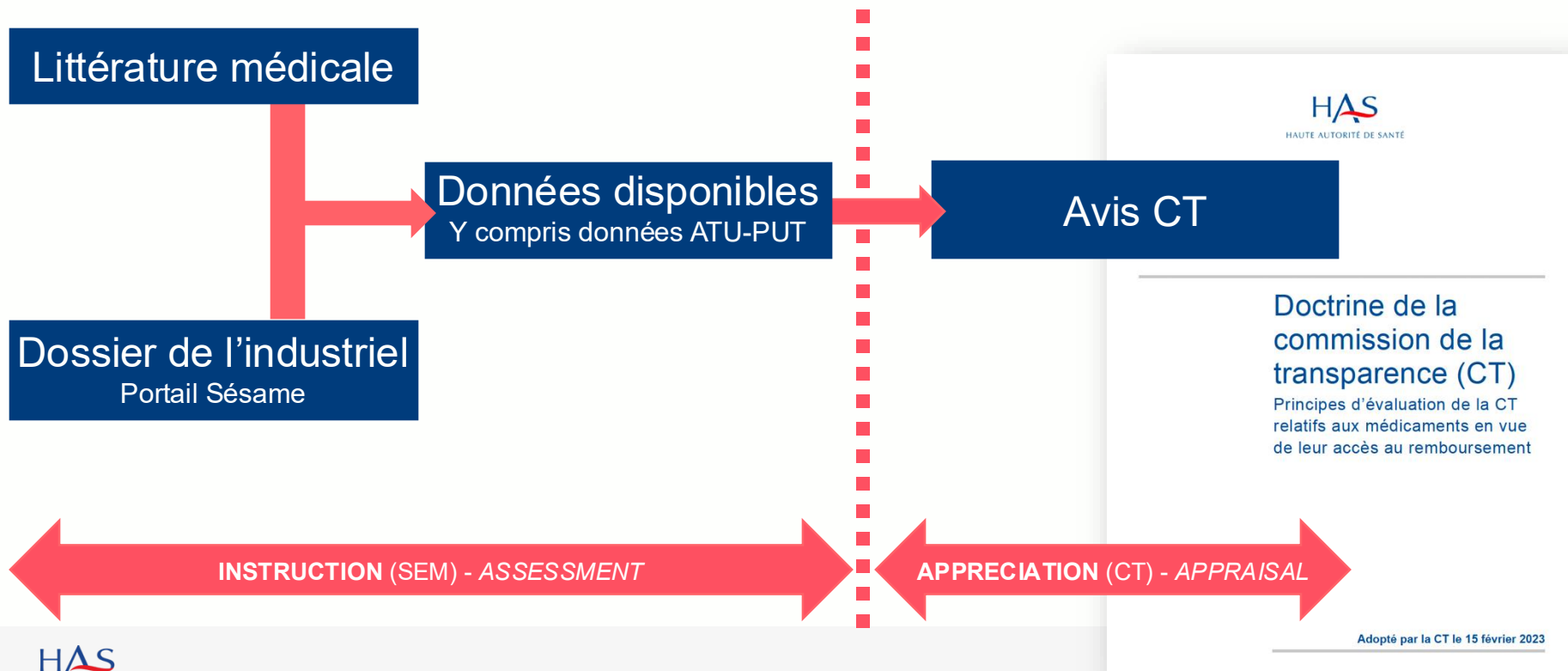
Evaluation des médicaments

Droit commun

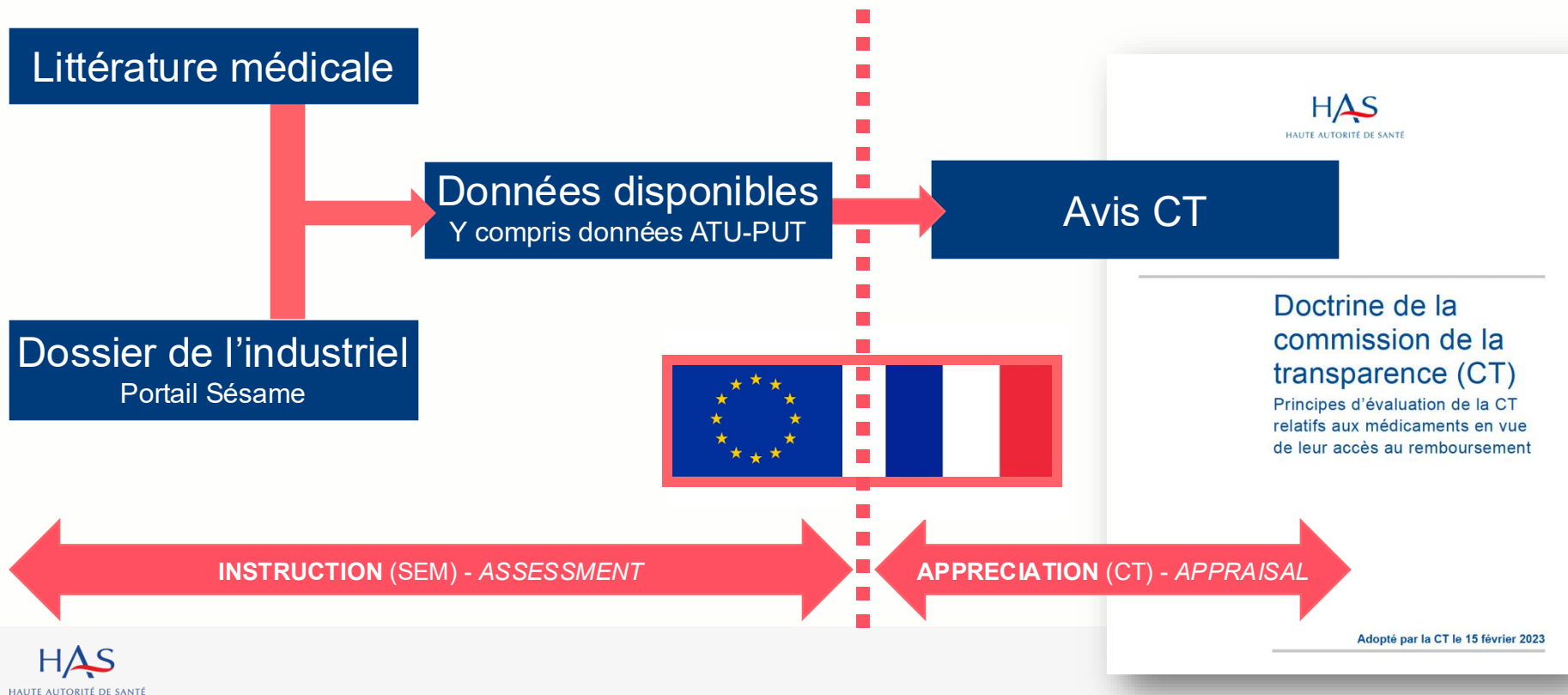
HAS : parcours théorique de 90 jours



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

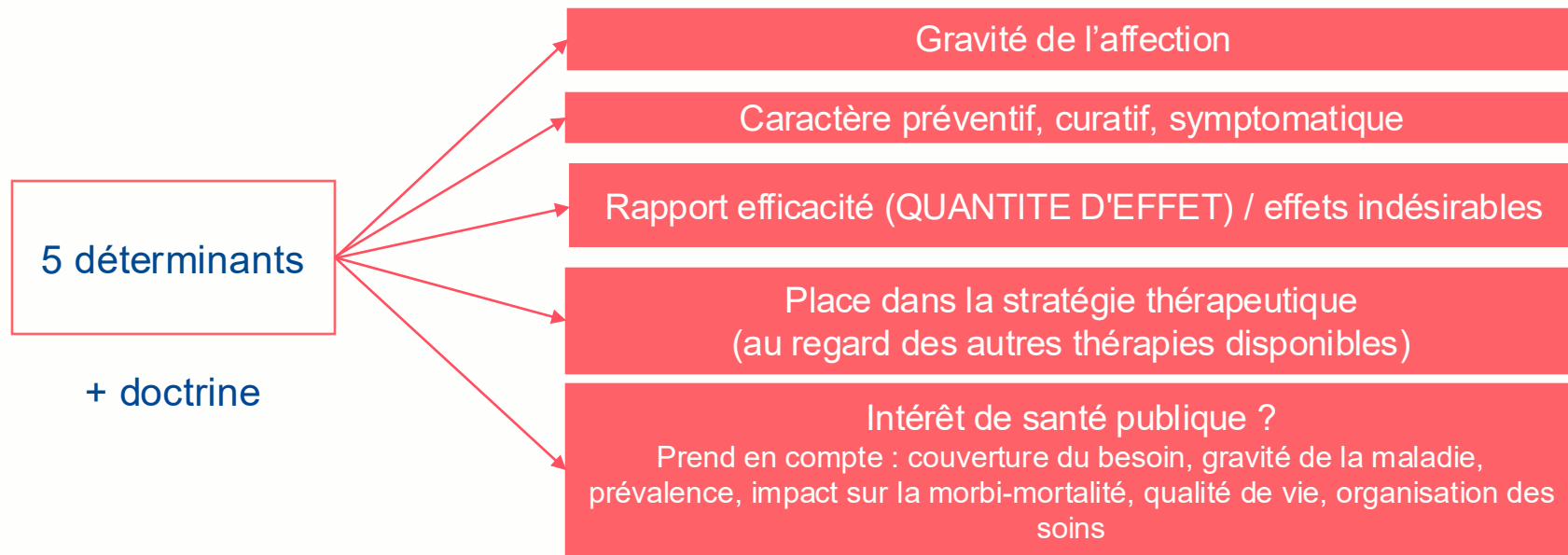
Valeur ajoutée démontrée
→ contribue à la négociation du
prix avec le CEPS

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

Avis favorable au
remboursement

Avis défavorable au
remboursement

* 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**

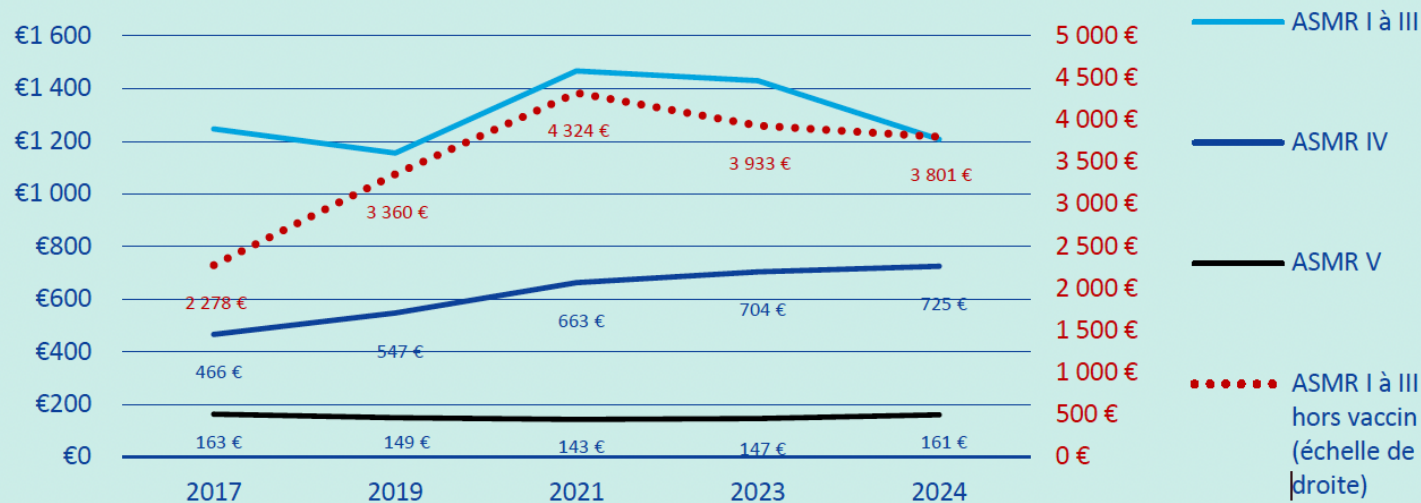
ASMR I (majeure) - II (importante) - III (modeste) - IV (mineure) - V (absence)

- 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 biosimilarisés et ayant une autorisation de mise sur le marché (AMM) > 1998

Contenu des avis de la Commission

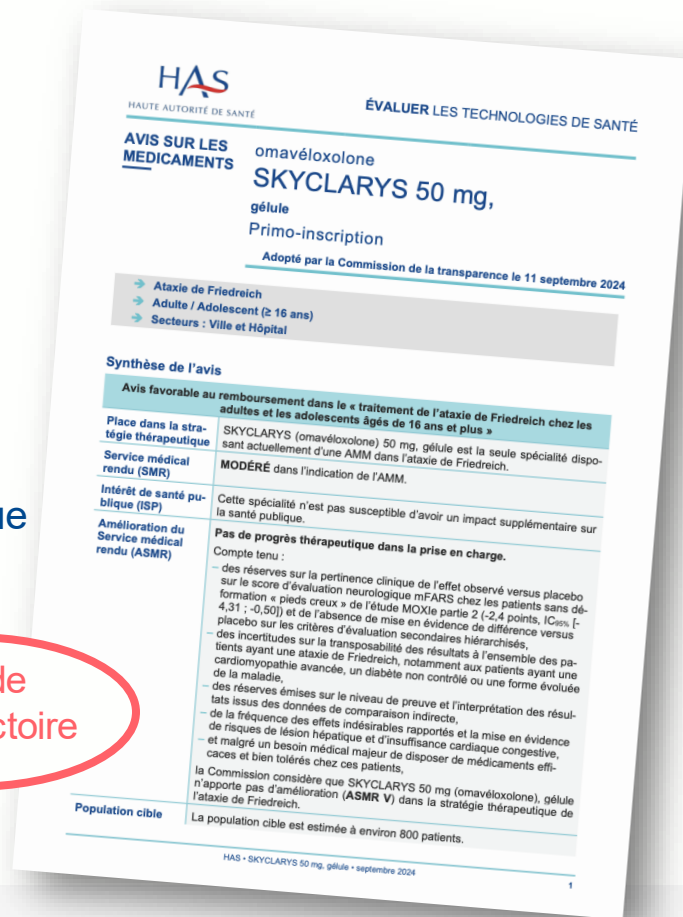
Pour chaque indication

- 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

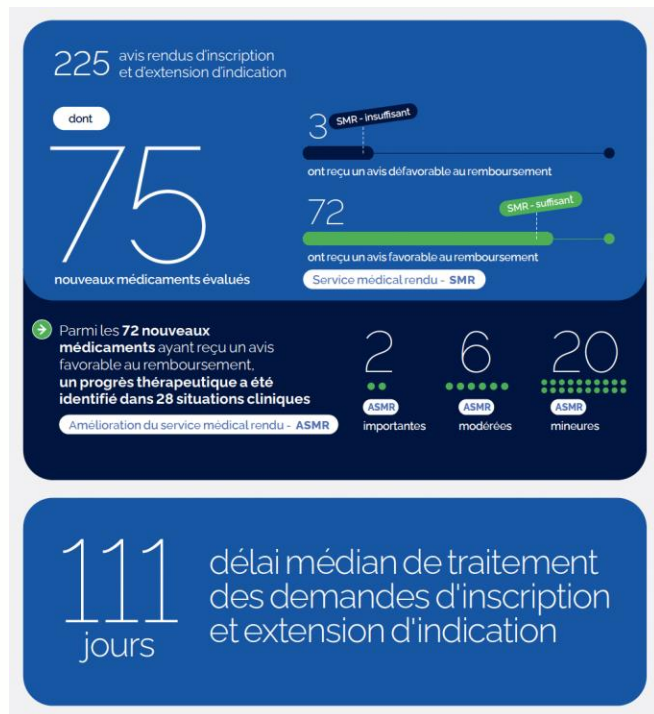
Public cible

- Décideurs : CEPS, ministère
- Professionnels de santé

Période
contradictoire



Activité droit commun 2024



Accès au remboursement

360

avis rendus au total

dont

163
avis en procédure
complète

5

rencontres précoces
nationales avec
des industriels

12

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

Études
post-inscription

8

protocoles
d'études validées
pour les médicaments

9

études de suivi
en vie réelle demandées,
concernant 9 spécialités

Aires
thérapeutiques
les plus
concernées

15 %

Oncologie /
onco-hématologie

14 %

Dermatologie

9 %

Infectiologie

Contribution d'associations
de patients et d'usagers

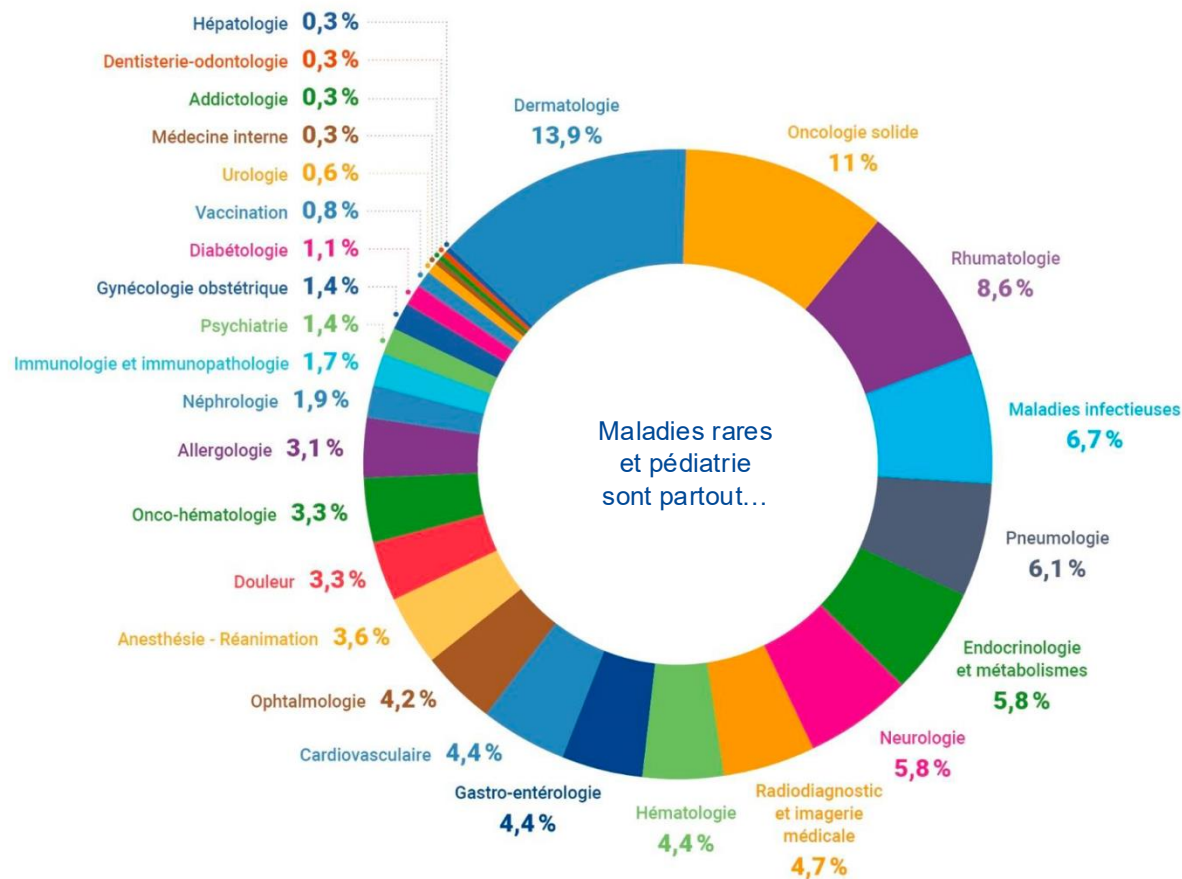
195

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

ATU de
cohorte

ATUc d'extension
d'indication

Prise en charge
temporaire



ATU nominative

Recommandation
Temporaire
d'Utilisation RTU

ACCES PRECOCE



Objectif : Autorisation + prise en charge de nouvelles molécules/indications répondant à un besoin médical non couvert, avant qu'une décision de prise en charge dans le droit commun ne soit adoptée.

Cible : médicaments qui ont vocation à être commercialisés par le laboratoire (obtention AMM)

Initiative du laboratoire

Médicaments concernés :

- Développement en cours ou terminé,
- Etudes robustes en cours ou terminées,
- Nouvelle molécule ou nouvelle indication répondant à un besoin médical non couvert.

ACCES COMPASSIONNEL



Objectif : Autorisation ou sécurisation + prise en charge de médicaments (hors AMM) ou sans AMM en France

Cible : médicaments n'ayant pas vocation à être commercialisés par les laboratoires

Initiative : acteurs du système de santé (professionnels, agences, ministère, associations)

Médicaments concernés :

- Absence de développement en cours ou prévu ou de démarche en vue d'une AMM, par le laboratoire,
- Utilisation en pratique reconnue par les pairs lorsque le besoin n'est pas couvert (maladies rares, derniers recours, situations d'urgences).

Juillet 2021

Critères d'évaluation pour une AAP

HAS

Mise en œuvre de ce traitement
ne peut pas être différée

HAS

Maladie grave, rare
ou invalidante

ansm

Agence nationale de sécurité du médicament
et des produits de santé

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

HAS

Absence de traitement approprié

HAS

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



Autorisation rendue par le **Collège** de la HAS sur avis de la CT

HAS

HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

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

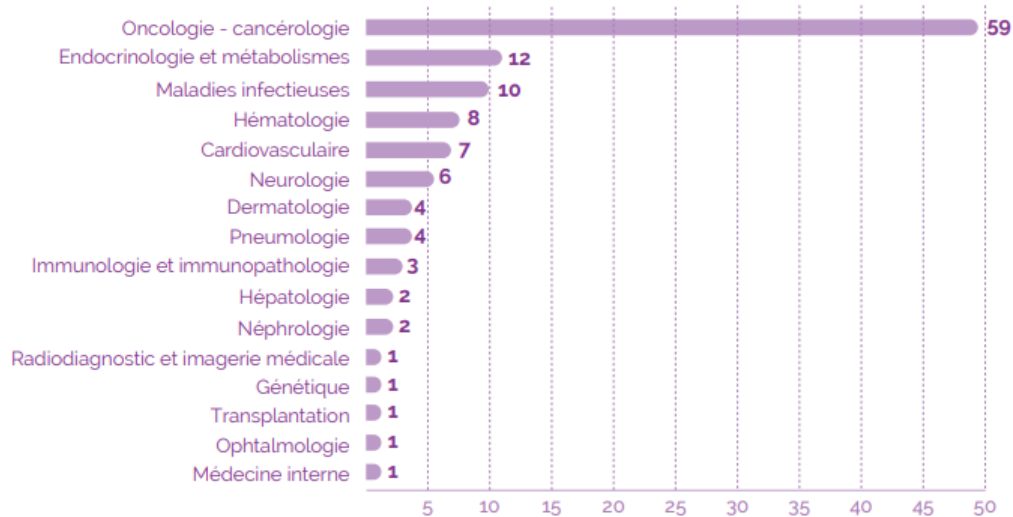
et présente des résultats cliniques étayant la présomption d'un bénéfice pour le patient **dans le contexte de la stratégie thérapeutique existante**

Il comble un **besoin médical non ou insuffisamment couvert**

**Présomption
d'innovation**

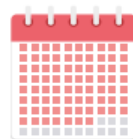
Bilan de la réforme des AP à 3 ans

- ❖ 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

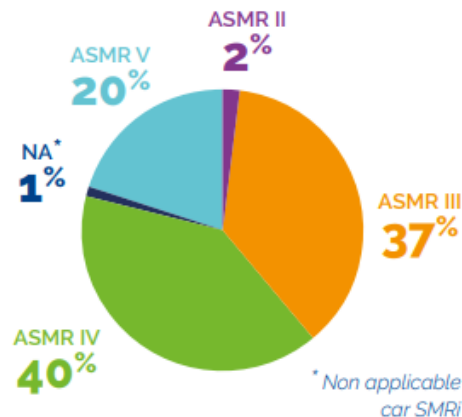
Les médicaments disponibles en accès précoce le restent en moyenne 13 mois (407 jours) avant leur inscription en droit commun

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



Dans **80%** des cas
ASMR au moins
mineure



Evaluation des médicaments

Données de vie réelle

Etudes en vie réelle



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%**

2284 / 2313 sites

 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.


HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

RECOMMANDER LES BONNES PRATIQUES

FICHE

Dupixent® (dupilumab),
Fasenra® (benralizumab),
Nucala® (mépilizumab),
Tezspire® (tézipélumab) 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 (≥ 150 cellules/ μ L) et/ou une fraction du monoxyde d'azote expiré élevée ($\text{FeNO} \geq 20$ ppb) chez les patients insuffisamment contrôlés par des corticostéroïdes inhalés (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 (β -2 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® (mépilizumab) 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

