



LES FICHES PRATIQUES de l'Alliance



LE PARCOURS DU MEDICAMENT

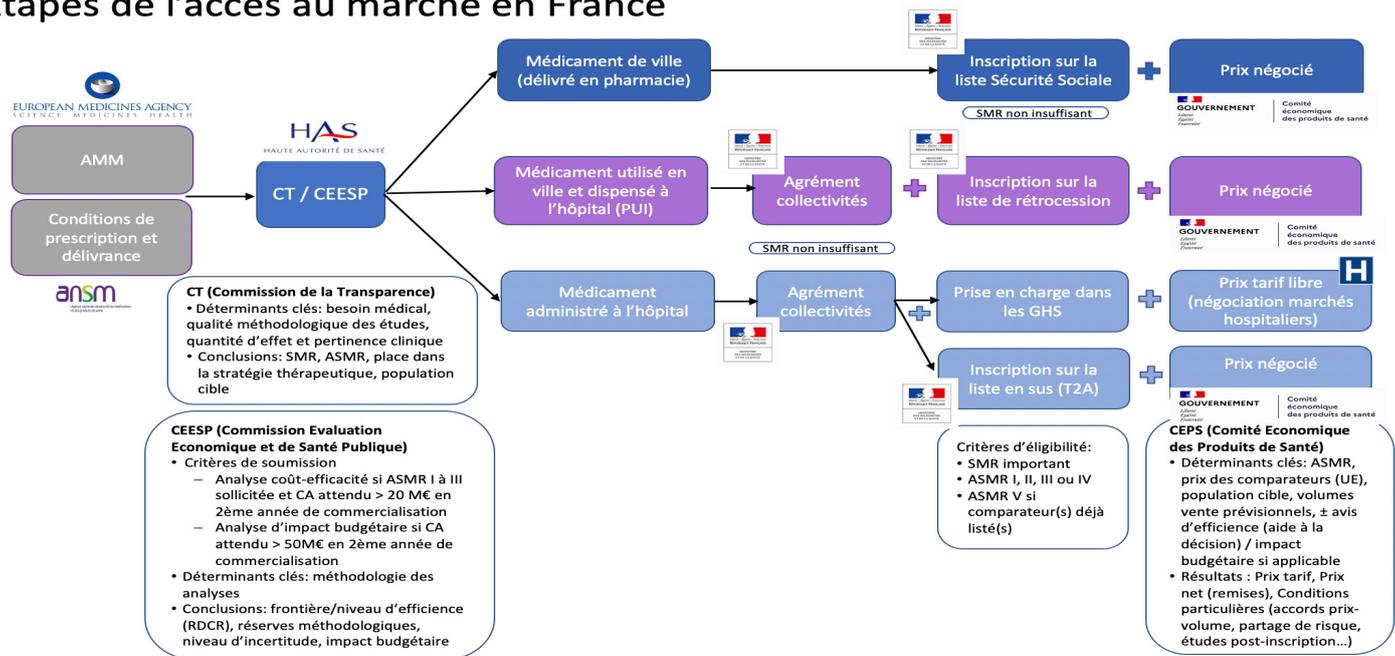
De quoi s'agit-il ?

Après une phase de recherche et développement, un médicament n'est habituellement disponible en France que lorsqu'il a obtenu une autorisation de mise sur le marché (AMM), un avis de la Haute Autorité de Santé (HAS), puis une inscription sur la liste des médicaments remboursables aux assurés sociaux et/ou un agrément aux collectivités, un prix et un taux de remboursement.



LE CYCLE DE VIE DU MEDICAMENT

Etapes de l'accès au marché en France



ETAPE 1 RECHERCHE ET DEVELOPPEMENT (R&D)

- Recherche fondamentale : découverte d'une molécule d'intérêt thérapeutique.
- Evaluation préclinique sur les effets et de la toxicité de la molécule sur des modèles animaux, cellulaires et informatiques.
- Evaluation clinique sur la sécurité et l'efficacité chez l'homme (essais cliniques) :
 - Phase 1 : volontaires sains, devenir de la molécule dans l'organisme et évaluation de sa toxicité,*
 - Phase 2 : patients volontaires en petit nombre, détermination de la dose optimale 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.*

ETAPE 2 ACCES AU MARCHÉ

- Autorisation de mise sur le marché (AMM) : évaluation de la qualité pharmaceutique et du rapport bénéfice/risque (efficacité, effets indésirables) par les agences du médicament européenne (EMA) ou française (ANSM).
- Après l'octroi de d'AMM par l'agence européenne (EMA) ou française (ANSM) du médicament, la **Haute Autorité de Santé (HAS)** évalue le médicament en vue de son remboursement et de la fixation de son prix si le laboratoire en fait la demande.

Deux commissions de la HAS interviennent :

1/ La Commission de la Transparence (CT) rend un avis fondé sur des critères médico-scientifiques (critères cliniques) appréciant 2 composantes :

- **Le service médical rendu (SMR) : le médicament a-t-il assez d'intérêt clinique pour être pris en charge par la solidarité nationale ?**

4 niveaux de SMR : important, modéré, faible, insuffisant.

- **L'amélioration du service médical rendu (ASMR) : le nouveau médicament apporte-t-il un progrès par rapport aux traitements disponibles ?**

5 niveaux d'ASMR : ASMR I - majeure, ASMR II - importante, ASMR III - modérée, ASMR IV - mineure, ASMR V - inexistante.

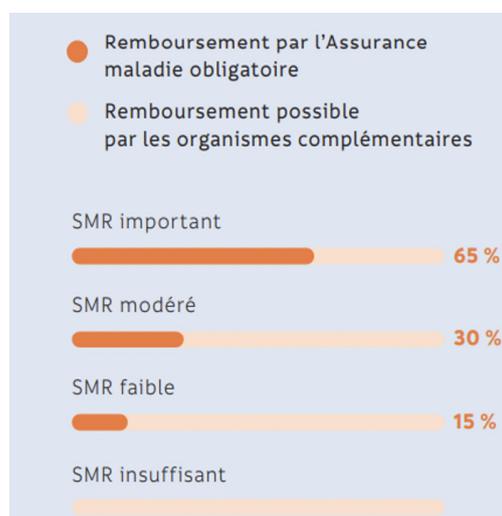
La CT définit également dans son avis la **place** du médicament dans la **stratégie thérapeutique**, sa **population cible** (susceptible de recevoir le médicament) et son intérêt de santé publique. En cas de questions ou d'incertitudes, la CT peut également demander des études en vie réelle (études post-inscription).

2/ La Commission Evaluation Economique et de Santé Publique (CEESP) rend, pour les médicaments se revendiquant innovants (ASMR I à III demandée) et pouvant avoir un impact significatif sur les dépenses de l'assurance maladie, un avis fondé sur des critères médico-économiques (« **avis d'efficience** ») : *Quel coût pour la collectivité pour quels bénéfices en termes de santé par rapport aux traitements existants ?*

Avis présentant :

- *Le ratio différentiel coût/résultat (RDCR, coût par année de vie gagnée en bonne santé),*
- *Les conditions de l'efficience du médicament,*
- *L'impact budgétaire.*

ETAPE 3 LA FIXATION DU TAUX DE REMBOURSEMENT ET DU PRIX



L'Union Nationale des Caisses d'Assurance Maladie (UNCAM) fixe le taux de remboursement par l'Assurance Maladie obligatoire selon le niveau de SMR octroyé par la CT.

Le Comité Economique des Produits de Santé (CEPS) négocie le prix du médicament avec le laboratoire sur la base des avis de la HAS (ASMR et avis d'efficience si applicable). 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...

ETAPE 4 LA MISE À DISPOSITION DU MÉDICAMENT

Les ministères de la Santé et de la Sécurité Sociale décident du remboursement et du prix. Publication des JO (Journal Officiel) d'inscription et de prix.

Le médicament peut alors être pris en charge (remboursé) au niveau national.

En France, il existe deux listes de prise en charge des médicaments :

- une liste pour les médicaments accessibles en « ville » (*dans les pharmacies d'officine*),
- une liste pour ceux disponibles dans les « collectivités » (*dans les hôpitaux*).

ETAPE 5 VEILLE SANITAIRE ET SUIVI

Pharmacovigilance : suivi de la tolérance en condition réelle d'utilisation.

Réévaluation à tout moment selon les nouvelles données disponibles (CT).



Quel rôle pour les associations ?

A RETENIR

L'impact des contributions associatives sur l'évaluation des dossiers par la CT est particulièrement important dans le cas des maladies rares.

Les délais de rédaction des contributions étant courts, l'anticipation est clé !

La HAS est responsable de l'évaluation des médicaments et dispositifs médicaux en vue de leur inscription au remboursement et de la fixation de leur prix.

L'engagement des associations de patients et usagers a pour objectif d'éclairer les décisions des commissions de la HAS (CT et CEESP notamment) sur la base d'éléments concrets sur le vécu de la maladie par les patients, leur expérience avec les traitements existants, leurs parcours de soin, et les critères de jugement les plus pertinents à leurs yeux. À cet effet, un mécanisme de recueil de **contributions des associations** de malades et d'usagers est maintenant intégré en routine.

Les contributions des associations concernent les médicaments (et les dispositifs médicaux) pour lesquels une évaluation par une des 2 commissions de la HAS est planifiée, en inscription initiale, renouvellement d'inscription, ou réévaluation.

Toute association de patients ou d'usagers, agréée ou non, peut soumettre une contribution en utilisant un questionnaire dédié. Une seule contribution par association est acceptée. Chaque semaine (ou une fois toutes les 2 semaines), la HAS publie et actualise sur son site un tableau contenant les informations sur les évaluations de médicaments à venir. L'association dispose de 45 jours entre le jour de la mise en ligne et la date limite de transmission de la contribution.

Le recueil de la contribution associative se fait au moyen d'un **questionnaire type** téléchargeable. Il comporte un volet administratif (informations générales sur l'association, sur son financement et autres liens d'intérêts) et les items suivants :

- la méthode utilisée pour remplir le questionnaire (enquêtes, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, nombre de patients...);
- l'impact de la maladie ou de l'état de santé concernés sur le patient, sa qualité de vie ou son entourage ;
- l'expérience avec les thérapeutiques actuelles (autres que le produit évalué) ;
- l'expérience avec le produit évalué (si les patients ont une expérience d'utilisation ou si l'association a connaissance des résultats des essais cliniques relatifs au produit) ;
- toute information supplémentaire utile pour la HAS dans son évaluation (par exemple problèmes éthiques ou sociaux) ;
- une synthèse de la contribution.

Les contributions associatives sont transmises au service de la HAS qui instruit le dossier d'évaluation, et à tous les membres de la commission concernée (CT, CEESP). Lors des commissions, les représentants des usagers (2 titulaires + 1 suppléant) portent les contributions auprès des autres membres de la commission. Une fois l'avis de la commission publié, le questionnaire est mis en ligne sur le site de la HAS, dans les pages dédiées aux contributions des associations.

LEXIQUE

AMM = Autorisation de Mise sur le Marché
ANSM = Agence Nationale de Sécurité du Médicament
EMA = Agence Européenne du Médicament
HAS = Haute Autorité de Santé
CT = Commission de la Transparence
CEESP = Commission Evaluation Economique et de Santé Publique
CEPS = Comité Economique des Produits de Santé
SMR = Service Médical Rendu
ASMR = Amélioration du Service Médical Rendu
UNCAM = Union Nationale des Caisses d'Assurance Maladie
JO = Journal Officiel

