

Mission « Régulation des produits de santé »

Pour un *New Deal* garantissant un accès égal et durable des patients à tous les produits de santé

Note de présentation du rapport de mission par la Mission

Version 29 août

Fin janvier 2023, la Première Ministre a confié à six personnalités qualifiées la mission ambitieuse « d'identifier les voies d'évolution possibles du système de financement et régulation des produits de santé (PdS) permettant de concilier l'atteinte de plusieurs objectifs collectifs » : accès rapide des patients aux produits innovants validés par les autorités sanitaires, lutte contre les pénuries, soutenabilité des dépenses, équilibre et équité dans la répartition des efforts, relocalisation de produits de santé stratégiques dans un objectif de souveraineté sanitaire, renforcement de notre tissu productif, notamment en produits matures essentiels et en produits très innovants, et attractivité du territoire pour les industriels .

Après plus de six mois de travail pendant lequel le groupe d'experts a auditionné de façon très large plus de 170 personnalités ou organisations et consacré un temps très important à l'analyse et à la synthèse, le rapport a été remis mardi 29 août aux trois ministres concernés : Aurélien Rousseau (Ministre de la santé et de la prévention), Roland Lescure (Ministre délégué chargé de l'industrie) et Thomas Cazenave (Ministre délégué aux comptes publics). « *Dans un contexte parfois tendu, nous avons rencontré une très grande variété d'acteurs de l'écosystème, comprenant en particulier les différents représentants de l'administration, des industriels, de la chaîne des produits de santé, des associations de patients et d'usagers, des professionnels de santé exerçant en ville ou à l'hôpital, mais aussi des économistes, des experts des données, de la prospective et de l'environnement de la santé. Nous nous sommes efforcés de nous tenir à l'écoute de tous* » a expliqué la Mission.

La Mission a rappelé que l'objectif premier qui lui a été fixé était d'identifier les pistes permettant à la France d'assurer la continuité d'une offre de soins de qualité, afin que tous les patients disposent des traitements dont ils ont besoin, qu'ils s'agissent de médicaments ou dispositifs médicaux (DM) matures comme de médicaments ou DM très innovants. La difficulté vient que cet objectif doit être complété par d'autres, dont certains ont trop longtemps été négligés par les politiques publiques : attractivité de la France pour la recherche et l'industrie, résilience sanitaire et industrielle, écologie dont décarbonation, et maîtrise de la dépense publique.

La mission est parvenue à quelques convictions clés :

Sur les enjeux financiers et le besoin d'une approche globale et ambitieuse, qui intègre les prescripteurs et les patients

1. Les médicaments et DM font partie de la prise en charge des patients comme de la prévention. Ils sont un facteur déterminant du progrès médical des dernières années (10 ans d'espérance de vie gagnés en 50 ans, améliorations majeures de la vie des patients atteints de maladies chroniques,). La maîtrise des coûts des médicaments et DM est indissociable du travail sur les parcours de soins et l'organisation des soins, donc les plans qualité / efficacité / santé publique / prévention, ...
2. Certains enjeux sociétaux des PdS sont insuffisamment connus des Français : impact environnemental en général, enjeux sur le non gaspillage, antibiorésistance, danger de la polymédication / iatrogénie, etc.
3. Il existe des marges considérables pour que les produits de santé contribuent de façon majeure à la maîtrise de la dépense publique en santé, et permettent la soutenabilité financière du système, ce qui suppose d'avoir, là encore, une approche globale : développement des tests type TROD et plus généralement de certains tests de diagnostic, logiciels d'aide à la prescription, médicaments par voie orale, lutte contre la iatrogénie, diminution des accidents et incidents médicaux grâce au numérique, diminution des durées de séjour hospitalier grâce à au développement des soins à domicile ..., et au-delà médecine prédictive et personnalisée.
4. Il existe également des marges financières par une approche plus globale des sujets qui intègre notamment la distribution, laquelle représente ~20% du cout des PdS pour la Sécurité sociale.

Sur la fragilité de la situation, parce que le monde a changé et que notre système de régulation – y compris financière – est maintenant mal adapté

5. La situation française est maintenant complexe et désormais fragile à plusieurs égards, avec notamment des pénuries sur les médicaments matures, un décalage d'accès aux médicaments innovants avec les pays européens voisins (malgré l'accès précoce), et depuis deux ans une croissance jamais vue des dépenses de médicaments et DM prescrits par les médecins. Alors que tous les pays qui ressemblent à la France doivent gérer les mêmes questions, la spécificité française se trouve dans une

tradition d'effort continue sur les prix (les prix français étant en moyenne parmi les plus bas de l'OCDE), et, à l'inverse, une attention plus faible aux volumes indissociable d'une liberté laissée aux prescripteurs plus forte qu'ailleurs.

6. Industriellement, la France est très fragile, avec un point d'attention assez peu connu sur la production de médicaments biologiques.

Sur le besoin de travailler plus sur les volumes et la pertinence des prescriptions, et d'être moins focalisés sur les prix

7. La dynamique de croissance de l'enveloppe des produits de santé est très forte et va le rester au moins pour quelques années, sous la pression d'une vague exceptionnelle d'innovations poussée par les biotechnologies et le numérique (probablement très vite l'IA voire l'IA générative). L'inflation est aussi un facteur de hausse.
8. Le renfort de la maîtrise des volumes semble maintenant incontournable, et peut être outillée par de nombreux leviers, dont une vraie sensibilisation des patients sur la question de la sobriété médicament/DM. L'action sur la structure de prescription pour développer les génériques et les biosimilaires doit être amplifiée.

Les enjeux de méthode

9. Les mesures à prendre doivent tenir compte de changements assez forts dans les dynamiques industrielles et le fonctionnement des acteurs : des marchés de plus en plus mondialisés avec les pays BRICS (Brésil, Russie, Inde, Chine, Afrique du Sud) qui ont développé leurs marchés intérieurs et une France qui se maintient à ~3% du marché mondial seulement, des objectifs de rentabilité financière très élevés sous la pression des marchés financiers, l'arrivée de nouveaux acteurs dans le financement des startups qui sont une chance pour le développement des biotechs et du numérique mais ont des exigences propres de délais et de coûts, une vraie mobilité internationale des projets et des talents ;
10. Pour progresser, il est important de changer de méthode et ne pas seulement s'appuyer sur des textes réglementaires et des incitations : il est clé d'avoir des changements de comportements de tous les acteurs, une prise de conscience des marges qui existent pour une prescription qui prenne mieux en compte tous les enjeux des produits de santé (risques de pénurie, antibiorésistance, iatrogénie, impact environnemental, coût pour la sécurité sociale, attractivité de la France, ... voire balance commerciale), les patients devant être urgemment sensibilisés sur ces sujets ; les mesures législatives ne pourront seules permettre un retour à une situation qui concilie tous les objectifs sur les produits de santé ;
11. De façon générale, la mission pense qu'un plan coordonné, qui intègre une mobilisation de l'innovation via France 2030, est indispensable pour ne pas avoir une dérive dangereuse avec un dérapage des coûts, une augmentation des délais administratifs comme réponse indirecte au dérapage, une fermeture de chaînes de production de médicaments matures, une aggravation des problèmes d'accès, une non prise en compte des sujets écologiques.

La mission propose donc au gouvernement un plan avec une cinquantaine de mesures :

- a. Pour inscrire les produits de santé, trop souvent traités de façon isolée, dans tous les travaux sur la prévention, la pertinence des soins, les plans de santé publique, la distribution, la recherche en santé publique, les plans spécifiques comme « Grand Age », l'industrialisation, la décarbonation, etc ;
- b. Pour mobiliser dans les prochains mois l'innovation disponible par exemple avec les logiciels de prescription et favoriser le développement de produits et services en France ; l'innovation doit aussi permettre par exemple une mobilisation des données et évaluations en vie réelle, avec une attention particulière aux produits de la liste en sus voire au RIHN ;
- c. Pour adapter de nombreuses mesures techniques de régulation dont la fixation des prix, notamment pour mieux prendre en compte les questions de qualité de vie des patients et les approches médico-économiques, pour tester des approches plus européennes sur les achats de produits très chers, trouver des solutions pour les DM dépendants de la création d'actes, ou encore porter un effort sérieux sur les délais administratifs dont les coûts pour les entreprises sont sous-estimés et décalés par rapport au reste de l'Europe. Donner de nouveaux objectifs aux achats hospitaliers est également un enjeu majeur ;
- d. Pour intégrer très vite les enjeux environnementaux dans tous les processus, y compris commencer à les introduire dans la fixation des prix (CEPS et achats hospitaliers) ;
- e. Pour développer la recherche en santé publique et économie de la santé, mais aussi les infrastructures et capacités de traitement des données de santé, indispensables pour mieux optimiser, évaluer (notamment en vie réelle), et agir PdS par PdS sur la bonne prescription, pour le bon patient, au bon prix.
- f. Pour anticiper dans les prochaines régulations, fondée sur les parcours et la qualité et la sécurité des soins (y compris les PdS), avec a priori des fondements développés autour du concept international de *Value Based HealthCare* ;
- g. Pour adapter l'enveloppe de dépenses prévues par les LFSS à la place des produits de santé dans la prise en charge des patients et beaucoup mieux intégrer, dans les prix, les produits matures et peu chers qui souffrent particulièrement de l'inflation
- h. Pour adapter l'organisation de l'Etat compte tenu des enjeux, notamment en donnant un rôle plus fort de coordination au CEPS pour éviter le cloisonnement actuel, qui notamment traduit le cloisonnement entre les approches pertinence / prix /

volumes. Cette nouvelle organisation doit permettre de créer des espaces de dialogue avec les industriels, mais aussi les associations de patients, les établissements de soins et les organisations des prescripteurs, pour définir et négocier en continu les adaptations nécessaires à l'usage optimum des produits de santé dans les parcours.

Au total, la Mission considère qu'une mobilisation de tous les acteurs est indispensable : elle appelle à un *New Deal*, garantissant un accès égal et durable des patients à tous les produits de santé, la durabilité intégrant les notions de soutenabilité financière, de résilience et d'impact environnemental. Ce New Deal suppose des engagements de tous les acteurs, en même temps qu'un travail différencié par pathologie avec des logiques de parcours, l'ensemble intégrant l'innovation (mobilisation des données, de la télésurveillance, des applications au service de la prévention, des réseaux sociaux, etc.).

La Mission remercie l'ensemble des contributeurs et souhaite que les travaux puissent être largement utilisés pour les décisions urgentes à venir pour les patients, la soutenabilité et l'attractivité de notre système de santé, en mobilisant tous les acteurs.

Liste des recommandations

A. Pour recaler les paramètres financiers dans le cadre d'un New Deal

Mesure A.1 - Détermination de M

Mesure A.2 - Engagement des industriels

B. Pour agir sur les volumes, la qualité et la pertinence des prescriptions et des choix thérapeutiques

Mesure B.1 – Intégrer les sujets de prescription dans les grands programmes du Ministère chargé de la santé, notamment dans les plans de santé publique existants (ex : cancer) et à venir (ex : cœur, prévention)

Mesure B.2 - Tirer parti des expérimentations Article 51 pour rapidement promouvoir des organisations innovantes contribuant notamment à améliorer le parcours des patients, l'accès aux soins ou encore la pertinence de la prescription des produits de santé

Mesure B.3 – Construire un travail dans la durée avec les patients facilitant la juste prescription et prévoir une communication ambitieuse et dans la durée sur la « sobriété médicament », rappelant notamment les enjeux environnementaux et sanitaires

Mesure B.4 - Renforcer les mesures universelles d'hygiène et inciter fortement au port du masque dans les lieux de forte affluence ou sensibles au plan sanitaire dès la rentrée de septembre 2023

Mesure B.5 – Agir auprès des prescripteurs, en ville comme à l'hôpital, pour assurer la juste prescription de produits de santé

Mesure B.6 – Accélérer le déploiement et l'usage des outils numériques d'accompagnement de la prescription, notamment en stimulant l'offre par les éditeurs de logiciels/startups du numérique, et en facilitant l'interopérabilité

Mesure B.7 - Accélérer l'utilisation des tests TROD en commençant par l'angine pour une meilleure utilisation des antibiotiques par les professionnels et les patients

Mesure B.8 – Développer les parcours officinaux

Mesure B.9 – Mettre à disposition des professionnels de santé et des patients des éléments actualisés sur le coût des prises en charge

Mesure B.10 – Construire un plan complet et cohérent dédié à la polymédication des personnes âgées et la prévention de la iatrogénie, qui pourrait servir de modèle pour des plans futurs avec d'autres cibles ou d'autres angles

Mesure B.11 – Préparer les actions à venir permettant de progressivement renforcer la portée des recommandations sanitaires

C. Pour retrouver de nouvelles marges financières et de nouveaux leviers sans dégrader la qualité

Mesure C.1 – Développer activement l'usage des médicaments génériques pour dégager rapidement de nouvelles marges de manœuvre financières

Mesure C.2 – Développer activement les biosimilaires avec un accompagnement respectueux des attentes des patients

Mesure C.3 – Revoir le système de distribution et ses impacts économiques et environnementaux

Mesure C.4 – Renforcer le rôle de prévention et de santé publique des pharmaciens en réallouant une partie des marges liées aux ventes de génériques

Mesure C.5 – Poursuivre et accélérer la professionnalisation des achats de produits de santé dans les hôpitaux publics

D. Pour prendre en compte les enjeux environnementaux dans la régulation

Mesure D.1 – Intégrer systématiquement les enjeux environnement (CO2 mais aussi biodiversité, eau, ...) dans toutes les procédures pertinentes

Mesure D.2 – Développer l'utilisation de critères environnement dans la fixation des prix des produits de santé

Mesure D.3 – Prendre en compte les enjeux environnement dans les activités de distribution logistique

Mesure D.4 – Favoriser la réutilisation des DM

Mesure D.5 – Travailler avec d'autres pays européens sur une extension des audits de l'ANSM sur sites hors Europe à des sujets environnementaux, avec des coordinations des décisions d'actions en cas de manquements

Mesure D.6 – Accélérer la dimension « achats durables » des achats hospitaliers (intégration des nouveaux enjeux de résilience, écologie, PME, etc.)

Mesure D.7 – Accélérer la capacité à faire des achats innovants dans les établissements de soins, renforçant ainsi la cohérence avec les approches et financements France 2030

E. Pour des évaluations et fixations des prix des Produits de Santé plus dynamiques et plus proches de la « la vie réelle »

Mesure E.1 – Renforcer la place des cliniciens dans les différentes procédures d'accès au marché, notamment dans les procédures HAS

Mesure E.2 – Créer une procédure d'évocation des décisions de la CT auprès du Collège de la HAS

Mesure E.3 – Rendre plus lisibles et cohérents les différentes procédures, ce qui passe certainement par mieux prendre en compte la diversité des produits de santé

Mesure E.4 – Revoir le fonctionnement de la "liste en sus", tout en étant évidemment conscient des enjeux financiers

Mesure E.5 – Repositionner le RIHN en redéfinissant les principes

Mesure E.6 – Mieux intégrer les critères médico-économiques (EME) et la qualité de vie dans les évaluations et la fixation des prix

Mesure E.7 – Améliorer le processus d'inscription et de gestion des actes professionnels pour permettre l'arrivée de dispositifs médicaux innovants

Mesure E.8 – Adapter le dispositif d'évaluation pour les médicaments très innovants en accès précoce (délai d'un mois pour certains dossiers d'accès précoces / financement ARC et TEC)

Mesure E.9 – Rendre lisibles les mécanismes d'accès dérogatoires et précoces pour les dispositifs médicaux et plus particulièrement numériques

Mesure E.10 – Conforter la politique conventionnelle des produits de santé parce que seule capable de traiter au cas par cas les situations sur un mode agile

Mesure E.11 – Permettre au CEPS de négocier des remises mutualisées pour certains groupes de médicaments

Mesure E.12 – Tester la négociation concertée de prix de (3-5) sur une variété de produits avec plusieurs pays européens
Mesure E.13 – Étudier la possibilité de développer des capacités "à but non lucratif" voire publiques de production pour certains médicaments de thérapie innovantes (MTI) à titre transitoire
Mesure E.14 – Modifier le mécanisme de la clause de sauvegarde des dispositifs médicaux en lui appliquant proportionnalité et dégressivité
Mesure E.15 Non consensuelle – Permettre au CEPS de prendre en compte les coûts de production et les coûts de R&D dans la fixation du prix
Mesure E.16 – Prévoir une réévaluation en vie réelle des produits au moins tous les 5 ans, donc financer et construire les infrastructures de données de santé le permettant

F. Pour apporter des solutions à des problèmes réglementaires spécifiques

Mesure F.1 – Continuer d’approcher avec pragmatisme la régulation en construction sur les médicaments de thérapie innovante pour les maladies rares, ultra-rares ou les formes très rares de certaines maladies (cf. article 54 du PLFSS 2023 dit « paiement à la performance »)
Mesure F.2 – Prestations de services à domicile (PSDM) inscrites sur la LPP : revoir le pilotage et les cahiers des charges à l'heure de la télésurveillance et des DMN pour optimiser la dépense
Mesure F.3 – Adapter les exigences réglementaires de mise sur le marché pour les LAP/LAD
Mesure F.4 : Moderniser les modalités de financement des activités de prélèvement et de greffe tissulaire pour les homogénéiser et inciter les équipes hospitalières à développer ces activités
Mesure F.5 – Traiter de façon spécifique la question de l’accès aux produits de santé en psychiatrie, notamment en prévoyant un dispositif ad hoc pour permettre que les hôpitaux psychiatriques puissent avoir accès facilement à des produits onéreux remboursés (accès à une liste en sus ou équivalent)
Mesure F.6 – Limiter les exportations parallèles pour les produits à risque de pénurie

G. Pour mieux anticiper l’avenir notamment grâce à des programmes de recherche et des approches parcours et Value Based Health Care

Mesure G.1 – Prévoir un programme de recherche publique type PEPR en santé publique
Mesure G.2 – Construire un grand plan d'utilisation des données de santé à des fins d'évaluation en vie réelle, notamment en mobilisant les établissements de soins, le HDH et la CNAM, mais aussi les associations de patients (capacité de collecte de données, à financer)
Mesure G.3 – Bien anticiper la place des produits de santé dans les parcours et les travaux de construction de futurs parcours et tarifications au parcours, notamment en s’appropriant les approches Value Based Health Care
Mesure G.4 – Accélérer les travaux facilitant les investissements privés en R&D et en capacité de production sur de nouveaux antibiotiques en cas de crise sanitaire avec une dimension antibiorésistance
Mesure G.5 – Suivre avec attention les dynamiques et initiatives américaines (notamment IRA et Pasteur Act) et anticiper leurs conséquences pour la France

H. Pour une organisation de l’Etat et une gouvernance adaptées aux enjeux

Mesure H.1 – Adapter l’organisation des administrations centrales pour permettre une meilleure cohérence de l’action publique, notamment avec le programme France 2030
Mesure H.2 – Renforcer le CEPS dans un rôle central et interministériel de coordinateur, en lui assurant les moyens techniques et humains de ses tâches et en adaptant sa gouvernance
Mesure H.3 – Accélérer les travaux de prospective en santé, notamment type horizon scanning
Mesure H.4 – Mieux prendre en compte la dimension nécessairement pluriannuelle des projets de maîtrise et de bonne pratique
Mesure H.5 - Renforcer le suivi des délais administratifs
Mesure H.6 – Développer les capacités de l’Etat en analyse micro-économiques du secteur des produits de santé (mobilisation des données existantes, mise en réseau, recrutement)
Mesure H.7 – Intégrer l’administration française dans des réseaux d’échanges de données sur les produits de santé et la régulation des systèmes de santé
Mesure H.8 – Prévoir un effort particulier d’organisation pour anticiper et approfondir les dimensions communautaires de nombreux sujets
Mesure H.9 – Créer rapidement des espaces de travail stratégique et technique entre l’Etat et les représentants des industriels pour mieux piloter les dispositifs, au-delà des aspects seulement réglementaires, et permettre une meilleure prévisibilité
Mesure H.10 – Créer rapidement des espaces de travail stratégique et technique entre l’Etat et les associations de patients pour échanger de façon régulière sur des sujets stratégiques comme de court terme
Mesure H.11 Non consensuelle – Evolution de la composition du CEPS