

OECD online consultation on sustainable access to innovative therapies

<http://www.oecd.org/health/health-systems/sustainable-access-to-innovative-therapies-online-consultation.htm>

Contribution de Prescrire à une consultation en ligne sur un accès durable aux thérapies innovantes

26 avril 2017

1. Reflecting on the last 5-10 years, what do you think have been the major changes affecting access to medicines ?

Les nouveaux médicaments mis sur le marché la dernière décennie ont été commercialisés à des prix de plus en plus élevés voire inabordables. Dans le monde, la principale barrière pour l'accès aux nouveaux médicaments est leur prix. Au-delà de ces prix démesurés, souvent ils n'apportent peu ou pas de progrès tangibles pour les patients. Parmi les nouveautés médicamenteuses analysées par Prescrire entre 2007 et 2016, seulement 1 médicament sur 5 apporte une valeur thérapeutique ajoutée, 50 à 60 % n'apportent pas de progrès et 1 médicament sur 5 est plus dangereux qu'utile et n'aurait donc pas dû obtenir une autorisation de mise sur le marché (AMM).

Aux Etats-Unis d'Amérique, entre 1995 et 2013, le prix de 58 antitumoraux a augmenté d'environ 12 % par an, alors que ces médicaments n'ont pas augmenté de manière notable la durée de vie par rapport aux médicaments plus anciens. La croissance - injustifiable - des prix repose uniquement sur un espoir d'un progrès qui n'arrive pas à être démontré dans la pratique. Les prix exigés correspondent simplement à ce que le marché/la société est disposé à payer.

On constate aussi des initiatives d'accélération de mise sur le marché basée sur des exigences de preuves d'efficacité et de sécurité plus faibles que dans le cadre d'une AMM classique. Ces initiatives ouvrent la voie à la déréglementation des procédures d'AMM. À titre d'exemple, l'Agence européenne du médicament (EMA) a lancé un projet pilote d'AMM dites fractionnées (« adaptive pathways ») qui augmente le risque d'exposer inutilement des patients à des effets indésirables graves, sans preuve d'efficacité. Même sans AMM « fractionnées », les exemples ne manquent pas où l'EMA rend déjà de longue date des avis favorables à des demandes d'AMM sur la base de données insuffisantes, assorties de demandes d'études post-AMM qui sont souvent longues à aboutir, quand elles aboutissent. Il s'avère que l'évaluation des médicaments est de plus en plus reportée après l'AMM, plaçant les patients en situation de cobayes. Ces projets renforcent également la mainmise des firmes sur les acteurs de la santé, notamment les organismes d'évaluation des technologies de la santé et les payeurs. Au travers des avis scientifiques confidentiels (« early dialogue ») que ces derniers sont invités à donner en amont des études cliniques, il y a un sérieux risque de capture institutionnelle et de préemption de leur décision finale.

2. What are the top three issues that must be addressed to ensure access to innovative medicines while maintaining financial sustainability of health systems ?

1. Il est indispensable d'optimiser les dépenses pharmaceutiques en **réduisant les gaspillages** :

- Mieux exploiter le potentiel d'utilisation de médicaments génériques et de biosimilaires et faire plus souvent appel à des approvisionnements groupés (national/européen).
- Un usage rationnel du médicament (mettre fin à la surconsommation d'antibiotiques et à la prescription de médicaments inefficaces voire plus dangereux qu'utiles) améliorerait la qualité de soins tout en dégageant des ressources supplémentaires.

2. Les procédures et critères **d'autorisation de mise sur le marché (AMM)** dans l'Union européenne doivent être renforcés et strictement appliqués : l'AMM doit s'appuyer sur des niveaux de preuves exigeants, afin de permettre aux patients, aux soignants et aux organismes d'évaluation des technologies de santé de faire des choix thérapeutiques rationnels, basés sur des essais comparatifs rigoureux (versus traitement de référence), démontrant une valeur ajoutée thérapeutique. Les procédures d'AMM accélérées doivent être strictement réservées pour des situations exceptionnelles.

3. Il faut viser **une totale transparence des prix réels payés et des rabais accordés**. La fixation de prix doit être basée sur le coût de R&D (y compris les éventuelles interventions publiques) et une marge bénéficiaire raisonnable. Il est irresponsable de continuer d'accepter de payer des prix exorbitants aux frais de la solidarité.

3. Why do you think there are issues in ensuring access to innovative medicines while maintaining financial sustainability of health systems ?

Le prix extravagant des nouveaux médicaments est l'un des principaux facteurs bannissant l'accès à ces médicaments. Leur prise en charge par les systèmes publics ou les assureurs privés risque de mettre en péril la pérennité des systèmes de santé même dans les pays les plus riches. Vu le prix exorbitant du *sofosbuvir* par exemple, les pays ont souvent eu recours à des mesures complexes de décision de traitement voire de rationnement explicite pour contenir les dépenses. L'augmentation très forte des dépenses consacrées aux traitements des cancers et des maladies rares, parfois même sans progrès pour les patients, menace l'accès aux soins pour tous. Il faut urgemment mettre en place des systèmes d'examen critiques de la valeur thérapeutique ajoutée de ces nouveautés pour mieux utiliser les moyens disponibles, en se basant sur des preuves scientifiques.

4. What changes would you like to see happen to improve access to innovative therapies ?

D'abord, nous voulons insister à nouveau sur le fait que beaucoup de nouveaux médicaments ne sont pas « innovants » au sens d'apporter un progrès thérapeutique, qui est la seule notion pertinente en pratique.

Pour améliorer l'accès aux nouveaux traitements qui apportent un progrès, il faut rendre les systèmes de santé plus efficaces et rationnels. Les décisions doivent être prises en connaissance de cause basées sur des preuves et des faits. Il faudrait tout d'abord évaluer et quantifier l'aspect « innovant » du nouveau médicament : évaluer le progrès thérapeutique d'un nouveau médicament consiste à considérer les bénéfices qu'il apporte en termes d'efficacité, d'effets indésirables ou de praticité par rapport aux options déjà disponibles. Pour y arriver, dans le cadre de l'AMM européenne, il faut exiger des essais comparatifs rigoureux par rapport au traitement de référence.

Pour garantir des prix abordables, les autorités compétentes doivent tout d'abord mettre en place un contrôle efficace des prix. Elles devraient davantage exploiter toutes les flexibilités légales de la propriété intellectuelle mises à leur disposition comme l'utilisation des licences obligatoires, des appels d'offres conjoints, etc. L'Union européenne et/ou l'Organisation mondiale de la santé devraient conduire des études de faisabilité pour tester des nouveaux modèles qui dissocient le prix de vente des médicaments de celui du financement de la R&D (« delinkage »).

Le système actuel de R&D et de la propriété intellectuelle repose sur le principe du secret qui entraîne une duplication de recherches coûteuses. Les autorités publiques doivent prendre les dispositions pour mettre en place un système qui repose sur la transparence des coûts de R&D, des prix et l'accès aux résultats des essais cliniques (cf. question 2.3).