



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

Rapport d'activité | 2014



Retrouvez la version complète
et la synthèse du rapport
annuel d'activité 2014
de la HAS sur le site :
www.has-sante.fr

Haute Autorité de santé
Rapport d'activité | 2014



Pr Jean-Luc Harousseau
*Président du Collège de
la Haute Autorité de santé*



Dominique Maigne
*Directeur de
la Haute Autorité de santé*

Éditorial

L'année 2014 aura été celle de la mise en place des avis sur l'efficacité des produits de santé avec plus d'une cinquantaine de décisions du Collège sur l'éligibilité et une quinzaine d'avis rendus de la commission.

Il est intéressant de revenir à l'occasion du bilan de cette première année sur la genèse de cette mission et sur les perspectives intéressantes dont elle est porteuse.

Lors du colloque du 18 décembre dernier, la comparaison entre notre homologue anglais, le NICE (*National Institute for Health and Care Excellence*) et la HAS a permis de mettre en évidence, s'il en était encore besoin, la différence d'approche culturelle. Dès sa création en 1999, le NICE reçoit comme mission centrale d'apporter au décideur public une évaluation médicale et économique éclairant les choix : il s'est imposé comme un acteur référent de l'évaluation économique en santé au niveau européen et mondial. Créée en 2005, la HAS ne reçoit que dans un second temps en 2008 une mission circonscrite aux seules évaluations des stratégies de santé. Ce n'est qu'en 2012 – avec une mise en œuvre prévue dans un décret à fin 2013 – que l'institution a été chargée d'évaluer l'efficacité des produits de santé, mission dont le déploiement effectif a caractérisé l'exercice 2014.

L'évidence de la mission donnée d'emblée d'un côté de la Manche tranche avec son introduction plus hésitante, différée et progressive. Si les chemins sont différents, néanmoins le résultat tend à se rapprocher, sans pour autant être complètement identique, loin s'en faut.

Ces avis d'efficacité marquent une étape importante de l'évaluation médicale. La question du choix du comparateur devient centrale, comme la loi du 29 décembre 2011 l'avait laissé entrevoir. L'environnement institutionnel de la HAS, et en particulier les pouvoirs publics (ministères et le CEPS, Assurance maladie), dispose d'un élément supplémentaire pour décider de ce qui doit être intégré dans le panier de soins, et comment cela doit s'intégrer dans le parcours de soins.

Dans une conjoncture marquée par la réapparition d'innovations majeures, comme par exemple les nouveaux traitements de l'hépatite C pour lesquels le Collège a rendu une recommandation en juin 2014, qui posent des

questions budgétaires majeures et de soutenabilité de notre système de sécurité et de protection sociale, l'évaluation économique a pleinement son rôle.

L'autre évolution notable qui prend son essor également en 2014 concerne la certification des établissements de santé.

Si le manuel reste identique à ce qu'il était dans la précédente version, en revanche deux innovations importantes apparaissent : la médicalisation accrue du contenu de la visite avec notamment la méthode du patient-traceur, mais aussi l'inscription du pilotage de la qualité entre les visites autour d'un compte qualité à produire tous les 2 ans, guidant les établissements dans un effort ciblé et constant dans la durée.

La plupart des visites « tests » ont eu lieu en 2014 et le système décisionnel est sur le point d'être défini en début d'année 2015. Il marquera un pas supplémentaire vers une exigence de qualité renforcée : toutes les réserves – et non plus les seules réserves majeures – devront avoir été levées pour permettre une certification. Le ministère et les agences régionales de santé (ARS) pourront ainsi se saisir de ces résultats aux exigences rehaussées dans leur décision de régulation.

Bien d'autres choses auraient pu être dites dans ce propos introductif, notamment sur l'accréditation d'équipes, les indicateurs, les pratiques professionnelles, sur la révolution digitale qui s'apprête à bouleverser le champ de la santé, l'enjeu des parcours de santé ou la révolution de l'évaluation médicale. Vous pourrez les découvrir à la lecture de ce rapport.

Déjà se profilent deux rendez-vous législatifs importants pour la HAS dans l'année 2015 : la discussion du projet de loi de santé au printemps et celle du projet de loi de financement de la sécurité sociale pour 2016 à l'automne.

Pr Jean-Luc Harousseau

Dominique Maigne

Sommaire

L'efficience au service de la régulation 8



Évaluation et recommandation 12



- Médicaments 13
- Dispositifs médicaux 15
- Technologies de santé et actes 18
- Évaluation médico-économique et de santé publique 19
- Bonne pratique professionnelle 21

Certification, indicateurs et information médicale 24



- Certification des établissements de santé 25
- Indicateurs de qualité et de sécurité des soins 27
- Moyens d'information médicale 30

Outils pour la qualité et la sécurité des soins 32



- Démarches qualité et pertinence des soins 33
- Parcours de soins 34
- Sécurité du patient et accréditation 37

La HAS 40

| | |
|---|----|
| ■ Organisation | 41 |
| ■ Missions | 44 |
| ■ Relations internationales | 45 |
| ■ Associations de patients et d'usagers | 48 |
| ■ Communication et information des publics | 50 |
| ■ Textes législatifs et réglementaires parus en 2014/2015 | 54 |
| ■ Fonctionnement | 56 |
| ■ Compte financier 2014 | 60 |

Rapports des commissions réglementaires 70

| | |
|--|-----|
| ■ Commission de la transparence (CT) | 71 |
| ■ Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS) | 96 |
| ■ Commission évaluation économique et santé publique (CEESP) | 122 |

L'efficiency au service de la régulation

■ Illustration par les produits de santé

À l'occasion de son colloque « Contribuer à la régulation par la qualité et l'efficiency », le 18 décembre 2014, la HAS a invité différents acteurs du monde de la santé, et notamment son homologue anglais, le NICE (*National Institute for Health and Clinical Excellence*), à débattre autour du thème de l'efficiency.

Retour en synthèse sur les interventions de la 1^{re} session du colloque : « L'efficiency au service de la régulation, illustration par les produits de santé »¹.

ALLOCUTION D'OUVERTURE

Jean-Luc Harousseau,
Président du Collège de la HAS

« Comme les autres pays européens, la France et l'Angleterre sont confrontées aux problèmes d'évaluation des technologies de santé qui sont souvent très coûteuses, mais aussi d'organisation des soins, ainsi que d'adaptation des techniques professionnelles à des ressources financières de plus en plus restreintes. Les problèmes sont donc les mêmes d'un pays à l'autre, mais les solutions diffèrent en fonction des histoires socioculturelles de nos deux nations, et des systèmes de santé qui en découlent. **Cependant, l'Angleterre en 1999 et la France en 2004 ont mis en place des institutions qui ont pour mission, d'une part, d'apporter une aide à la décision aux pouvoirs publics, d'autre part, d'améliorer la qualité et désormais l'efficiency des soins**².

Dès sa création en 1999, le NICE a été chargé de définir les prises en charge les plus efficaces et les plus efficients. L'objectif était d'optimiser l'utilisation des ressources allouées à la santé. Cette évaluation médico-économique n'a été confiée à la HAS qu'en 2008, par la loi sur le financement de la sécurité sociale, et concernait les stratégies de prise en charge. Ce n'est que plus tard encore, avec la loi de financement de la sécurité sociale 2012, que le Parlement nous a confié la mission d'évaluer au plan médico-économique les produits de santé les plus innovants.

Avec cette première session, nous ferons le point sur cette nouvelle activité qui a commencé fin 2013, conformément au calendrier fixé par la loi et le décret du 2 octobre 2012. »

INTRODUCTION

Andrew Dillon, chief executive, NICE

« Le rôle du NICE au départ était de conseiller le NHS (*National Health Service*) sur l'utilisation des nouveaux traitements, médicaments, soins et nouvelles technologies, ainsi que sur la distribution et les conditions d'utilisation des soins. **Pour la première fois il était demandé à un organisme national d'assumer ce rôle, et de prodiguer des conseils aux professionnels de santé ainsi qu'au public, autour de valeurs centrales que sont l'efficacité et l'efficiency. Il fallait donc évaluer les nouveaux traitements, médicaments, technologies et vérifier si leur rapport qualité/prix était valable.** Cette volonté d'efficiency a déclenché un certain nombre de controverses et de polémiques au Royaume-Uni. Nous le savons, la majorité des gens souhaite un système efficace du point de vue des coûts, mais personne ne tolère que son propre accès soit entravé ou réduit à cause de ces mêmes coûts.

Aujourd'hui notre mandat s'est élargi. Si, au début, nous nous occupions essentiellement des traitements habituels ainsi que des conseils cliniques, désormais nous délivrons aussi des conseils en matière de santé publique et de prestations sociales. »

■ Mise en place des avis d'efficiency à la HAS

Jean-Patrick Sales, directeur de l'évaluation médicale, économique et de santé publique, HAS

Catherine Rumeau-Pichon, adjointe au directeur de l'évaluation médicale, économique et de santé publique, HAS

« L'évaluation médico-économique et de santé publique est plus récente et moins présente en France que chez nos voisins anglais. Le moment est venu pour la HAS de réaliser un bilan suite à la première année de publication de ses **avis d'efficiency, qui incarnent la forme la plus récente d'évaluation médico-économique que nous ayons mise en œuvre.**

Les produits concernés par cette évaluation de l'efficiency doivent répondre à un double critère :

- être des produits innovants. En effet, l'industriel doit revendiquer une ASMR (amélioration du service médical rendu), ou une ASA (amélioration du service attendu) de niveau I, II, ou III ;

¹ Avertissement : les interventions du colloque ne sont pas reproduites intégralement mais ont été synthétisées. Il ne s'agit donc pas du prononcé exact des participants. Pour accéder au [Compte rendu intégral du colloque HAS du 18 décembre « Contribuer à la régulation par la qualité et l'efficiency »](#) qui s'est tenu à la Cité internationale universitaire de Paris, consulter la page du site HAS dédiée à l'événement.

² La HAS a rédigé une [synthèse des activités du NICE](#) qui établit une comparaison avec les activités de la HAS.

• être des produits susceptibles d'avoir un « impact significatif » sur les dépenses de l'Assurance maladie compte tenu de leur incidence sur l'organisation des soins, les pratiques professionnelles ou les conditions de prise en charge des malades et, le cas échéant, de leur prix. Il s'agit donc d'un critère assez difficile à rendre opérationnel de manière simple. Le Collège de la HAS considère que l'évaluation d'efficience est requise si le chiffre d'affaires prévisionnel (à 2 ans de commercialisation, en année pleine) est supérieur à 20 millions d'euros, sauf cas exceptionnel dûment justifié par l'industriel et accord du CEPS (Comité économique des produits de santé), ou que l'industriel revendique un impact sur l'un ou plusieurs des autres critères mentionnés par le décret. Il existe néanmoins des critères d'exception. Le Collège de la HAS considère que l'évaluation économique n'est pas requise :

- si une procédure de baisse de prix est prévue conventionnellement ;
- si le brevet du produit est dans le domaine public.

Le Collège de la HAS considère enfin que le chiffre d'affaires constaté est pris en compte toutes indications confondues.

Au 18 décembre 2014, 96 dossiers ont été reçus au service d'évaluation économique et de santé publique (SEESP) de la HAS depuis la mise en œuvre effective de la loi le 3 octobre 2013. Vingt-six dossiers étaient éligibles à l'évaluation médico-économique (impact significatif constaté par le Collège de la HAS).

En matière de recevabilité méthodologique, quinze avis ont été validés à ce jour (trois étant déjà publiés). Parmi ces avis deux comportaient des réserves majeures, quatre des réserves importantes et majeures, huit des réserves importantes et un avis comportait des réserves mineures. Les résultats sont très variables. Ainsi, un ratio différentiel coût-résultat inférieur à 30 000 € par QALY³ était retrouvé pour cinq produits, mais trois dossiers atteignent plus de 100 000 € par QALY. Le développement d'échanges entre les industriels et la HAS a été un point très important de la procédure mise en place.

Quarante-deux rencontres précoces ont été organisées de juin 2013 à décembre 2014, qui ont d'ores et déjà abouti au dépôt de 15 dossiers au service évaluation économique et santé publique (SEESP). Ces rencontres doivent réellement être « précoces », idéalement, elles devraient se tenir en fin de phase 2, afin que d'une part une preuve de l'efficacité clinique soit validée, d'autre part que lors de la phase 3 les industriels soient en mesure de produire les données importantes pour l'évaluation de l'efficience. Lors de la première année, tous les industriels souhaitant participer à ces rencontres ont été reçus, quel que soit le stade de développement de leurs projets, afin de les aider à combler l'éventuel écart entre les exigences de la HAS et le contenu de leurs dossiers. »

³ Quality adjusted life years = années de vie ajustées sur la qualité de la vie.



■ Expérience de la commission

Catherine Le Galès, vice-présidente de la commission évaluation économique et santé publique de la HAS

Benoît Dervaux, président de la sous-commission économie, membre de la CEESP de la HAS

« La commission évaluation économique et santé publique (CEESP) a été créée pour contribuer à ce que la mesure de l'intérêt pour la société d'une stratégie ou d'un produit soit prise en compte dans les décisions les concernant, notamment celles de leur prix et de leur remboursement.

En première inscription d'un produit de santé, nous nous trouvons dans une perspective d'efficience anticipée, évaluée compte tenu des éléments à disposition.

En cas de réévaluation ou de réinscription, nous avons deux préoccupations. D'une part, nous souhaitons savoir si l'efficience anticipée au moment de l'inscription est confirmée. D'autre part, les connaissances sur le produit et son environnement ayant évolué depuis le moment de la première inscription, il est important d'intégrer les nouvelles données et le contexte empirique actualisé dans lequel le produit se déploiera.

À ce stade de réflexion sur notre méthodologie d'évaluation, nous pensons, qu'il **serait utile d'associer l'évaluation économique à celle de l'impact budgétaire**. Cela nous permettrait d'évaluer l'efficience au regard de l'impact budgétaire, mais également de nous interroger sur la soutenabilité du système.

L'évaluation doit prendre en compte les évolutions connues ou anticipées du contexte dans lequel le produit prend place. Pour enrichir le dossier sur la dynamique du produit, nous envisageons les évolutions attendues en termes d'interventions concurrentes, de passage au générique, etc. Au lieu de photographier le contexte actuel, nous préférons positionner le produit dans sa famille et son avenir proche.



Nous souhaitons également pouvoir prendre en compte au mieux, lorsqu'ils existent, les travaux effectués par les autres agences d'évaluation technologique dans les avis d'efficience.

Nous ne sommes pas en faveur d'une notion de seuil rigide. Toutefois, **nous allons devoir réfléchir à nos valeurs de référence** (déterminant ce qui est acceptable), à l'occasion de la mise en route de la prochaine version du guide « Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS. »

■ Utilisation et impact des avis d'efficience

Jean-Yves Fagon, vice-président du Comité économique des produits de santé (CEPS)

« Le CEPS a pour mission d'obtenir le prix et les conditions économiques les plus avantageux pour l'Assurance maladie. Il doit cependant tenir compte du marché global, des contraintes de l'objectif national des dépenses d'assurance maladie (ONDAM), des besoins de santé publique et de la nécessité d'un traitement égal des entreprises. **Les avis d'efficience sont devenus des critères de fixation du prix**. Notre travail consiste à prendre en compte un certain nombre de critères tels que l'ASMR, le prix des médicaments qui ont la même visée thérapeutique, les volumes de vente prévus ou constatés, les conditions prévisibles et réelles d'utilisation du médicament, l'avis d'efficience.

Actuellement, il n'existe pas d'échelle des écarts de prix acceptables associée à une échelle d'ASMR. Voilà pourquoi nous avons autant besoin des avis d'efficience. »

■ Point de vue de l'industriel

Eric Baseilhac, directeur des affaires économiques et internationales, LEEM

« Avec le décret du 2 octobre 2012, l'évaluation médico-économique faisait son entrée dans le domaine de l'accès au marché des produits de santé en France. En 2014, si cette « révolution » a pu avoir lieu, c'est que la HAS et les industriels ont su s'engager dans un processus de concertation permanente pour élaborer une évaluation médico-économique « à la française ».

La procédure d'évaluation mise en place est favorablement critiquée par les industriels qui restent vigilants sur les délais (actuellement de 87 jours) qui ne devraient jamais dépasser 90 jours. L'ambition académique de vouloir comparer la stratégie thérapeutique développée à l'ensemble des stratégies existantes se heurte

souvent à la limite des comparateurs disponibles dans les études du dossier clinique, ce dont on ne saurait faire grief aux industriels. Ce n'est que dans un deuxième temps que la HAS sera en mesure de proposer des perspectives de comparaisons plus holistiques. Une actualisation du guide méthodologique devrait permettre de préciser l'approche de la HAS en matière de comparateurs, d'horizon temporel et d'analyse de sensibilité.

Trois chantiers restent à ouvrir, auxquels les industriels souhaiteraient pouvoir continuer d'être associés. Le premier concerne l'intégration de la valeur d'efficience dans la décision de prix du CEPS. L'évaluation médico-économique, dont la vocation est d'éclairer la fixation du prix parmi trois autres déterminants, ne peut pas être dichotomique, normative. **L'approche informative à laquelle nous nous associons récuse toute idée de seuil, au profit d'une appréciation multiréférentielle de la valeur d'efficience** au regard, par exemple, de la gravité de la maladie ou du niveau d'ASMR.

Le deuxième chantier est celui de la publicité des avis d'efficience. Si les industriels partagent l'objectif d'information transparente et éclairée du citoyen, ils rappellent que, sous peine de nuire gravement à la sérénité de la négociation du prix avec le CEPS, la publicité des avis ne peut avoir lieu qu'après la publication du prix du médicament au Journal officiel.

Le dernier chantier est celui de l'impact budgétaire. Les difficultés récentes de la négociation du prix des nouveaux traitements de l'hépatite C témoignent de la nécessité de mieux prendre en compte l'impact budgétaire des innovations thérapeutiques. Capturer l'impact, non seulement du coût des traitements, mais aussi des économies qu'ils sont susceptibles de générer, est une nécessité absolue face au retour attendu d'innovations thérapeutiques caractérisées par des effets structurants majeurs sur l'organisation des soins. »

■ Regard du NICE

Andrew Dillon, chief executive, NICE

« Dans un système de santé doté de ressources fixes, si nous décidons de dépenser ou d'investir dans la nouveauté, ces ressources ne peuvent être allouées ailleurs. Par conséquent, lors du lancement d'un nouveau traitement ou médicament, nous devons être sûrs que l'avantage sanitaire qui en découlera sera au moins équivalent à celui du traitement existant.

C'est pourquoi nous sommes tenus d'avoir une approche standardisée. Nous partons donc sur une hypothèse calculant le coût d'une opportunité que le NHS pourrait accepter comme étant le coût d'un nouveau traitement. Une fois ce coût d'opportunité établi, nous activons la méthode

d'évaluation médico-économique. La question qui se pose est de savoir si toutes les maladies doivent être considérées comme égales, ou si certaines sont différentes à cause de leurs conséquences ou de la perception qu'en a le public.

Toutes les maladies sont actuellement traitées de la même façon, à l'exception des cancers. Ces derniers sont une catégorie à part, dans la mesure où dans l'esprit public il s'agit de la maladie inspirant le plus de peur, et parce que les nouveaux médicaments développés par les industries pharmaceutiques fixent des prix jugés acceptables par le marché. L'approche standardisée ne s'applique pas dans ce cas-là. Le coût d'opportunité élevé sera pris en compte. Ce sujet mène à des débats importants au Royaume-Uni, dans la mesure où des personnes estiment que, d'un point de vue éthique comme économique, nous ne devons pas considérer une maladie prioritaire par rapport à d'autres.

Cet exemple illustre bien les cas où l'analyse économique n'est qu'un outil parmi d'autres.

Pendant 15 ans, le NICE a développé cette approche selon laquelle l'évaluation économique n'est pas le seul levier imposant des décisions. Nous demandons aux consultants indépendants de prendre en compte les résultats cliniques associés à l'efficacité en matière de coût, et de décider en tant que citoyens avant tout, même s'ils sont médecins ou économistes. »

■ Synthèse de la session

Loïc Guillevin, membre du Collège, président de la commission de la transparence, HAS

« La commission de la transparence note la qualité intrinsèque du médicament et établit les stratégies thérapeutiques. Cela étant, nous savons que les ASMR que nous délivrons ont un impact sur le prix du médicament, et que nous évoluons dans un système multiparamétrique. Parmi ces autres paramètres, nous retrouvons donc l'efficience, au côté des stratégies thérapeutiques...

La HAS vient de mettre en place une commission des stratégies de prise en charge qui va au-delà de l'efficience et des avis de la commission de la transparence pour passer d'une recommandation à une préconisation, par définition plus exigeante. Nous intégrerons non seulement la qualité des médicaments, mais aussi la manière dont ils seront utilisés, leur prix, et leur efficience.

L'organisation des soins devra être génératrice non pas seulement d'économies, mais aussi d'une meilleure utilisation du budget. »

Évaluation et recommandation

| | |
|--|-----------|
| ■ Médicaments | 13 |
| - Nouveaux traitements de l'hépatite C : pour quels patients ? | 14 |
| - Traitement hormonal de la ménopause : pour un traitement choisi et ciblé | 14 |
| - Benzodiazépines dans l'insomnie : un intérêt thérapeutique limité | 15 |
| - Biosimilaires d'infliximab : un service médical rendu important pour les premiers biosimilaires d'un anticorps monoclonal | 15 |
| ■ Dispositifs médicaux | 15 |
| - Apnée du sommeil : évaluation clinique et économique des dispositifs médicaux | 15 |
| - Neurostimulation médullaire : évaluation des systèmes implantables | 16 |
| - Prothèses de hanche : élaboration de la nomenclature définitive | 17 |
| - Mobilisation thoracique et aide à la toux : élargissement des indications et actualisation de la LPPR | 18 |
| ■ Technologies de santé et actes | 18 |
| - Chirurgie ambulatoire : critères d'éligibilité de la prise en charge | 18 |
| - Mésothérapie : des risques infectieux avérés | 19 |
| - Méningite : précision des conditions de détection du génome des entérovirus | 19 |
| ■ Évaluation médico-économique et de santé publique | 19 |
| Évaluation des produits de santé | |
| - Avis d'efficacité sur les produits de santé : une prise en compte dans le prix des traitements | 20 |
| - Valeurs de référence pour l'évaluation économique en santé : lancer le débat démocratique | 20 |
| Évaluation des actions de santé publique et de l'organisation des offres de soins | |
| - Évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale en France | 20 |
| - Dépistage du cancer du sein en France : identification des femmes à haut risque et modalités de dépistage | 21 |
| ■ Bonne pratique professionnelle | 21 |
| - Sortie de maternité après accouchement : conditions et organisation du retour à domicile des mères et de leurs nouveau-nés | 21 |
| - Maltraitance chez l'enfant : repérage et conduite à tenir | 21 |
| - Manifestations dépressives à l'adolescence : repérage, diagnostic et prise en charge en soins de premier recours | 22 |
| - Arrêt de la consommation de tabac : du dépistage individuel au maintien de l'abstinence en premier recours | 22 |
| - Principes généraux et conseils de prescription des antibiotiques en premier recours | 23 |

La HAS, par ses commissions à base législative et réglementaire : commission de la transparence (CT), commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS) et commission évaluation économique et santé publique (CEESP), évalue les médicaments, dispositifs, actes et prestations en vue de leur admission au remboursement et de la fixation de leur prix. Enfin, elle élabore des recommandations de bonne pratique et d'actions de santé publique.

Médicaments

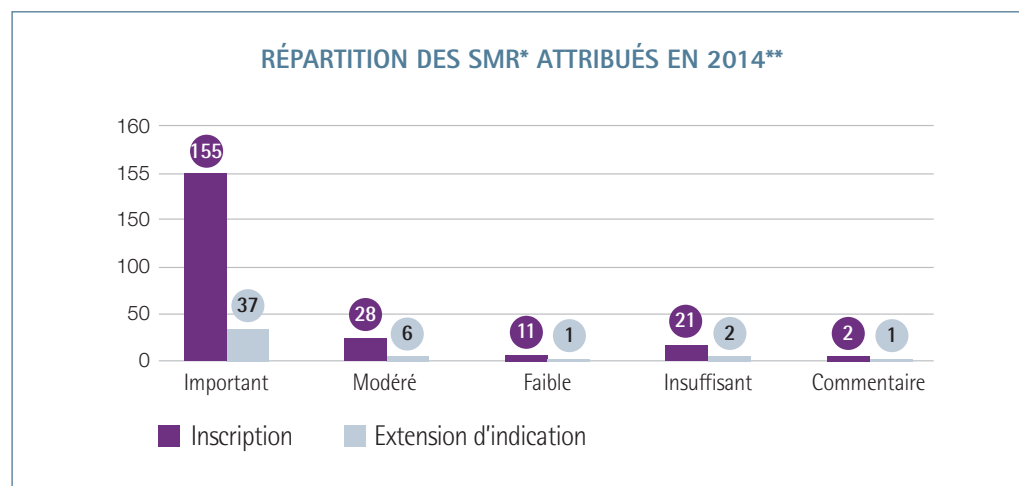
La CT de la HAS a pour mission l'évaluation des médicaments en vue de leur remboursement en ville, de leur prise en charge à l'hôpital, de la fixation de leur prix, et contribue à la promotion de leur bon usage.

En 2014, parmi les 630 évaluations rendues, la CT a apprécié l'intérêt thérapeutique des

nouveaux traitements de l'hépatite C, des traitements substitutifs de la ménopause, des benzodiazépines hypnotiques et de deux biosimilaires d'un anticorps monoclonal.

Demandes enregistrées et avis rendus : répartition selon le type de demande

| Activité 2014 (%) | Première inscription | Extension d'indication | Renouvellement d'inscription | Autres demandes | Total |
|--|----------------------|------------------------|------------------------------|-----------------|-------|
| Demandes enregistrées – nbre de dossiers | 192 (31) | 34 (5) | 212 (33) | 196 (31) | 634 |
| Avis rendus | 190 (30) | 45 (7) | 184 (29) | 211 (34) | 630 |



* Service médical rendu.

** Données toutes procédures confondues, uniquement demandes de première inscription ou inscription dans une extension d'indication. Un même avis peut comporter des SMR différents, notamment selon les indications.

Évaluation des médicaments

630

avis de la commission de la transparence

3

fiches bon usage

106

synthèses d'avis

107

jours de délai moyen d'instruction des dossiers de demande d'inscription

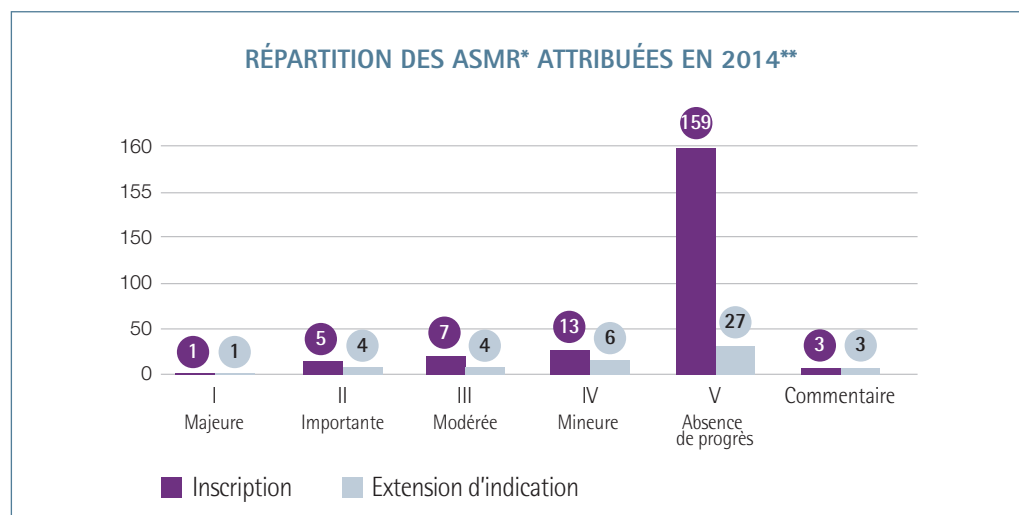
7

rendez-vous précoces

(2 nationaux, 4 dans le cadre de SEED⁴ dont 2 en partenariat avec l'EMA⁵, 1 avec différentes agences d'HTA européennes et l'EMA)

⁴ *Shaping European Early Dialogues for health technologies* - Cf. page 45 du rapport annuel 2014.

⁵ *European Medicines Agency*.



* Amélioration du service médical rendu.

** Données toutes procédures confondues, uniquement demandes de première inscription ou d'inscription dans une extension d'indication. Un même avis peut comporter des ASMR différentes, notamment en fonction des indications.

NOUVEAUX TRAITEMENTS DE L'HÉPATITE C : POUR QUELS PATIENTS ?

L'hépatite C touche près de 400 000 personnes en France. Elle se caractérise par une évolution lente, sur plusieurs années, du stade de fibrose F0 sans symptôme à la cirrhose (stade de fibrose F4). Sa gravité réside dans le passage à la cirrhose qui peut évoluer vers un hépatocarcinome.

Les antiviraux d'action directe (AAD) permettent d'envisager une guérison virologique de plus de 90 % des malades, après un traitement d'une durée de 12 à 24 semaines, sans les médicaments utilisés jusqu'alors qui provoquent de nombreux et sévères effets indésirables.

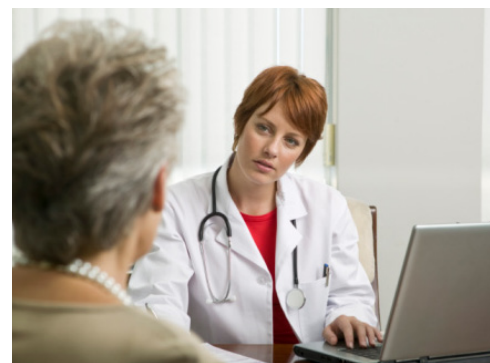
Le premier de ces AAD, le sofosbuvir (Sovaldi®), a été évalué par la CT et par la CEESP. Leurs conclusions respectives et complémentaires précisent que ce médicament représente un progrès important pour les malades, mais qu'en l'état des données fournies, l'efficacité du traitement ne peut être déterminée par stade de fibrose. Or, c'est sur ces stades d'évolution de la maladie que devraient aujourd'hui s'appuyer les médecins pour instaurer un traitement.

Dans ce contexte, la HAS recommande de traiter d'emblée les malades ayant atteint un stade avancé de fibrose (F3 et F4), ainsi que ceux ayant des comorbidités, une co-infection par le VIH, et ce, quel que soit le stade de fibrose. Les malades au stade F2 seront traités, mais il n'y a pas d'argument pour traiter d'emblée des malades au stade F0 ou F1.

Malgré ce progrès, la HAS considère que les conditions d'une éradication collective du VHC ne sont pas encore réunies et fait part de son inquiétude sur le niveau de prix qui pourrait être attribué à ces traitements, redoutant un impact budgétaire majeur.

► Pour en savoir plus, consulter la recommandation du Collège de la HAS sur la [Prise en charge de l'hépatite C par les médicaments antiviraux d'action directe](#), ainsi que les [avis des commissions](#).

TRAITEMENT HORMONAL DE LA MÉNOPAUSE : POUR UN TRAITEMENT CHOISI ET CIBLÉ



La CT de la HAS a réévalué le service médical rendu (SMR) des médicaments indiqués dans le traitement hormonal de la ménopause.

Elle reconnaît l'intérêt d'un traitement des troubles symptomatiques de la ménopause lorsque les femmes sont très gênées mais, compte tenu des risques associés à ces traitements observés avec certains produits lorsqu'ils sont poursuivis sur le long terme (cancer du sein, de l'ovaire, etc.), elle recommande une prescription à la dose minimale efficace, pour la durée la plus courte possible.

► Pour en savoir plus, voir les [avis de la commission de la transparence sur les traitements hormonaux de la ménopause](#).

BENZODIAZÉPINES DANS L'INSOMNIE : UN INTÉRÊT THÉRAPEUTIQUE LIMITÉ

Avec environ 4 millions de personnes exposées, les Français comptent parmi les plus grands consommateurs de benzodiazépines, en particulier hypnotiques, en Europe. Indiquées pour traiter les troubles sévères du sommeil à court terme, les benzodiazépines hypnotiques peuvent provoquer une dépendance et être responsables de nombreux effets indésirables.

Devant cette surconsommation et un mésusage important, la HAS, la Direction générale de la santé et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) se sont engagées depuis 2012 dans un plan d'action afin de promouvoir une réduction médicalement raisonnée de l'utilisation de ces produits. Plusieurs outils d'information à destination des professionnels et des usagers ont ainsi été diffusés par la HAS en partenariat avec le Conseil national de l'ordre des pharmaciens et le Conseil national de l'ordre des médecins.

En juin 2014, la CT de la HAS a réévalué les benzodiazépines hypnotiques (somnifères) dont le renouvellement d'inscription arrivait à échéance. Il s'agissait de benzodiazépines telles que : estazolam (Nuctalon®), loprazolam (Havlane®), lormétazépam (Noctamide®), nitrazépam (Mogadon®), témazépam (Normison®) et de molécules apparentées : zolpidem (Stilnox®) et zopiclone (Imovane®) ainsi que de leurs génériques.

Devant le constat d'une faible efficacité sur la durée et la qualité du sommeil à court terme, de l'absence de données sur leur efficacité lors d'une utilisation sur le moyen ou long terme mais de l'observation de leurs effets délétères, la CT a estimé que leur service médical rendu était faible. Elle a, de plus, constaté un mésusage important avec une utilisation fréquente au-delà des 28 jours préconisés.

Par son évaluation des benzodiazépines hypnotiques, la CT complète l'information des prescripteurs et diffuse une fiche de bon usage des benzodiazépines à visée hypnotique.

► Pour en savoir plus, consulter les [avis de la commission de la transparence](#).

BIOSIMILAIRES D'INFLIXIMAB : UN SERVICE MÉDICAL RENDU IMPORTANT POUR LES PREMIERS BIOSIMILAIRES D'UN ANTICORPS MONOCLONAL

Les biosimilaires sont des copies similaires à un médicament biologique. Cela signifie que les potentielles différences, inhérentes à la production de médicaments biologiques, n'ont pas d'impact clinique chez les patients. Le premier biosimilaire a été mis sur le marché en 2006, ces produits ne sont donc pas nouveaux, mais

la particularité de Remsima® et d'Inflectra® est d'être les premiers biosimilaires d'un anticorps monoclonal, protéine plus complexe que celles déjà copiées. Ils sont à base d'infliximab, la substance active de Remicade®.

L'infliximab est indiqué dans des maladies auto-immunes ou inflammatoires telles que la polyarthrite rhumatoïde, le rhumatisme psoriasique, la spondylarthrite ankylosante, la maladie de Crohn de l'adulte et de l'enfant et la rectocolite hémorragique de l'adulte et de l'enfant.

L'équivalence clinique à Remicade® de ces biosimilaires a été démontrée dans une étude réalisée chez des patients atteints de polyarthrite rhumatoïde. Cette démonstration permet d'extrapoler à toutes leurs indications la similarité entre Remicade® et ses biosimilaires.

C'est pourquoi la CT a estimé que leur service médical rendu était le même que pour Remicade® (important) mais qu'ils n'apportaient pas de progrès par rapport à ce médicament biologique de référence.

► Pour en savoir plus, consulter les [avis de la HAS sur Remsima® et Inflectra®](#).

Dispositifs médicaux

Dans le cadre de ses missions, la HAS évalue le service attendu de certains dispositifs médicaux en vue de leur prise en charge par l'Assurance maladie. C'est la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS) qui en a la charge.

En 2014, elle a évalué divers dispositifs médicaux, notamment ceux de la prise en charge des apnées du sommeil ou des douleurs chroniques d'origine neuropathique. Elle a également revu la nomenclature des prothèses de hanche et des dispositifs de mobilisation thoracique et d'aide à la toux.

APNÉE DU SOMMEIL : ÉVALUATION CLINIQUE ET ÉCONOMIQUE DES DISPOSITIFS MÉDICAUX

Près de 5 % de la population adulte française est atteinte d'apnées du sommeil avec un recours croissant à des dispositifs médicaux (DM) incluant soit des dispositifs de pression positive continue (PPC) soit des orthèses d'avancée mandibulaire (OAM).

Cette prise en charge constitue un enjeu sanitaire et économique majeur. La CNEDiMTS a évalué conjointement avec la CEESP la place dans la stratégie thérapeutique avec un modèle économique original comparant l'efficacité, des différents traitements du Syndrome d'apnées hypopnées obstructives du sommeil (SAHOS)

195
avis de la CNEDiMTS

11
avis faisant suite à des
saisines concernant
principalement des groupes
homogènes de produits

2
fiches bon usage

86
jours de délai moyen
d'instruction des dossiers de
demande d'inscription

léger et modéré disponibles. En adjonction des mesures hygiéno-diététiques recommandées, le choix du traitement a été défini en fonction des symptômes, de la sévérité du syndrome mesurée par l'indice d'apnées-hypopnées (IAH) et de la présence éventuelle d'une maladie cardio-vasculaire grave associée (hypertension artérielle résistante, fibrillation auriculaire récidivante, insuffisance ventriculaire gauche sévère ou maladie coronarienne mal contrôlée, antécédent d'accident vasculaire cérébral).

Lorsque l'IAH est supérieur à 30, la PPC est recommandée en première intention.

Lorsque l'IAH est compris entre 15 et 30, la PPC est recommandée s'il existe au moins 10 micro-éveils par heure de sommeil ou une maladie cardio-vasculaire grave associée. En l'absence de ces facteurs de risque ou si la PPC n'est pas bien tolérée l'OAM est recommandée car elle est plus efficiente. Lorsque l'IAH est inférieur à 15, aucune intervention thérapeutique n'est préconisée autre que les mesures hygiéno-diététiques.

► Pour en savoir plus, consulter [l'évaluation clinique et économique des dispositifs médicaux et prestations associées pour prise en charge du syndrome d'apnées-hypopnées obstructives du sommeil \(SAHOS\)](#).

NEUROSTIMULATION MÉDULLAIRE : ÉVALUATION DES SYSTÈMES IMPLANTABLES

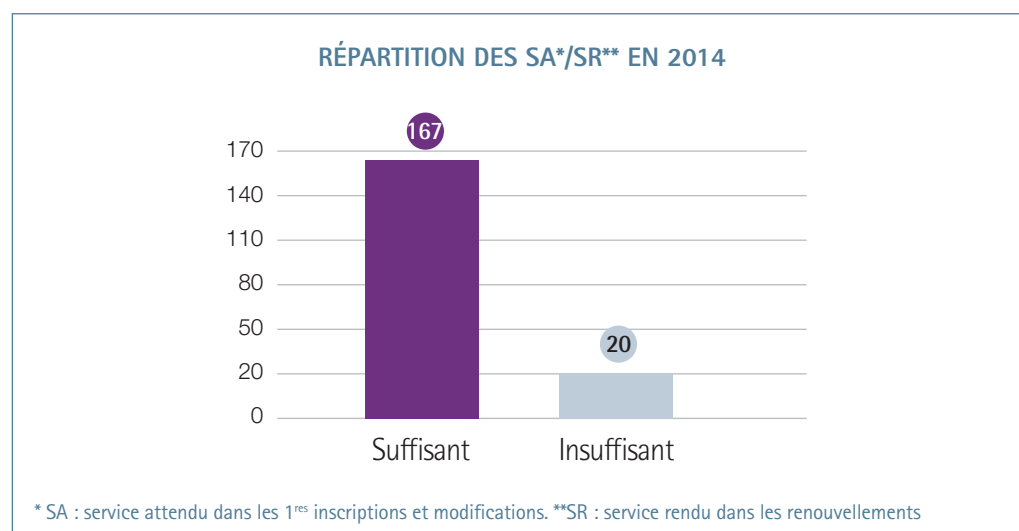
La mise à disposition de nouvelles générations de neurostimulateurs médullaires implantables dans le traitement des douleurs chroniques a conduit la CNEDiMTS à réaliser une évaluation technologique de ces DM.

La CNEDiMTS considère que ces DM ont une place dans la prise en charge des douleurs chroniques d'origine neuropathique et ischémique secondaires à une maladie de Buerger, après échec des alternatives thérapeutiques. L'implantation définitive doit être précédée par un bilan neurologique et une période de test montrant, sur une échelle validée, une réduction des douleurs d'au moins 50 %. Les neurostimulateurs rechargeables doivent être réservés aux patients nécessitant un niveau élevé de stimulation.

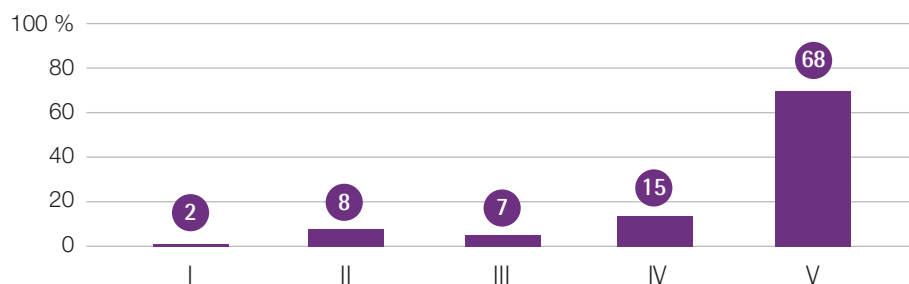
► Pour en savoir plus, consulter le [rapport d'évaluation des systèmes implantables de neurostimulation médullaire](#).

Demandes enregistrées et avis rendus : répartition selon le type de demande

| | Première inscription | Renouvellement d'inscription | Modification des conditions d'inscription | Autre demande (radiation, modification administrative) |
|---|----------------------|------------------------------|---|--|
| Le service évaluation des dispositifs a enregistré 247 demandes | 122 | 68 | 49 | 8 |
| La CNEDiMTS a rendu 195 avis en réponse à des demandes déposées par les fabricants | 78 | 58 | 46 | 13 |



RÉPARTITION DES ASA*/ASR** EN 2014



* ASA : amélioration du service attendu. **ASR : amélioration du service rendu

Évaluation des groupes homogènes de produits en 2014

Révisions des descriptions génériques

- Prothèse d'épaule
- DM contraceptifs
- Syndrome d'apnées-hypopnées obstructives du sommeil (SAHOS) – dispositifs médicaux pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associées
- Forfait de mobilisation thoracique et d'aide à la toux (forfait 7)

Phases contradictoires suite à la parution d'un avis de projet de nomenclature

- Oxygénothérapie
- Nutrition orale
- Prothèses de hanche

Saisine du ministère

- Neurostimulateurs médullaires pour le traitement des douleurs rebelles

Saisine du CEPS

- Lits médicaux disposant de la fonction proclive-déclive

Autosaisines (acte associé à l'inscription du DM)

- Dispositifs de fermeture percutanée de l'appendice auriculaire gauche
- Ciment pour acte de kyphoplastie

PROTHÈSES DE HANCHE : ÉLABORATION DE LA NOMENCLATURE DÉFINITIVE

Dans le cadre de la révision des descriptions génériques un projet des nouvelles conditions de prise en charge des prothèses de hanche par l'Assurance maladie a été publié au Journal officiel en 2013.

Cette publication a ouvert la phase contradictoire avec les industriels et les professionnels de

santé concernés qui ont adressé leurs observations à la CNEDiMTS.

À l'issue de la phase contradictoire, la CNEDiMTS a proposé trois modalités de remboursement différentes pour les prothèses de hanche :

- de rembourser le couple de frottement métal-polyéthylène conventionnel sous description générique et de le considérer comme le couple de référence en raison du recul clinique disponible sur ce couple de frottement ;

14

rapports d'évaluation
technologique (1 guide
méthodologique,
6 rapports d'évaluation et
7 argumentaires d'avis)

32

avis dont 24 pour
l'Union nationale
des caisses d'assurance
maladie (UNCAM)⁶

2

fiches bon usage

3

rencontres précoces



- de maintenir l'exigence de données cliniques spécifiques pour certains implants en vue de leur remboursement sous nom de marque. Il s'agit des cotyles à insert à double mobilité ; des implants en polyéthylène hautement réticulé ; des implants métal-métal et des tiges à col modulaire ;
- de prendre en charge sous description générale les implants en céramique d'alumine composite avec un recueil de données de survie d'implant à long terme.

► Pour en savoir plus, consulter le [rapport d'évaluation des prothèses de hanche](#).

MOBILISATION THORACIQUE ET AIDE À LA TOUX : ÉLARGISSEMENT DES INDICATIONS ET ACTUALISATION DE LA LPPR

Les pathologies neuromusculaires consécutives à une lésion, primitive ou secondaire, de l'unité motrice (motoneurone + fibres musculaires) entraînent une réduction de la force et de l'endurance des muscles respiratoires. L'encombrement bronchique et l'inefficacité de la toux qui en résultent s'accompagnent d'une altération de la qualité de vie et d'une augmentation d'épisodes infectieux. De même, chez les patients avec lésions médullaires (tétraplégie, paraplégie), l'atteinte respiratoire, dépendante du niveau lésionnel, provoque à terme la survenue d'atélectasies pulmonaires, de pneumopathies pouvant engager le pronostic vital.

Avec l'augmentation de l'espérance de vie des patients avec pathologies neuromusculaires pris en charge par l'Assurance maladie, et le meilleur dépistage des troubles respiratoires dans des populations avec pathologies neurologiques chez lesquels un déficit mécanique de la toux peut exister, les conditions de remboursement des dispositifs médicaux aidant à la toux et à la mobilisation thoracique n'étaient plus adaptées à la pratique.

La CNEDIMTS recommande une nomenclature médicale plus adaptée. On distingue les relaxateurs de pression destinés à l'aide instrumentale mécanique à la mobilisation thoracique d'une part, et les in-exsufflateurs destinés à l'aide à la

toux et au désencombrement d'autre part. La prise en charge de ces dispositifs est désormais recommandée pour les patients avec pathologies neurologiques ou neuromusculaires, congénitales ou acquises.

► Pour en savoir plus, consulter le rapport d'évaluation des technologies de santé « [Forfait hebdomadaire 7 : forfait de mobilisation thoracique et d'aide à la toux](#) ».

Technologies de santé et actes

La HAS évalue des matériels, des équipements et des procédures ou stratégies utilisés par des professionnels de santé dans un but préventif, diagnostique ou thérapeutique.

Les objectifs principaux sont d'éclairer la décision publique par un avis argumenté prenant en compte les différentes dimensions du sujet, ou encore d'apporter une mise au point des connaissances des recommandations argumentées sur un sujet à un moment donné. En 2014, la HAS a poursuivi entre autres son travail sur la chirurgie ambulatoire, établi une cartographie des risques liés à la mésothérapie et évalué l'intérêt de la détection du génome des entérovirus dans les suspicions de méningites virales.

CHIRURGIE AMBULATOIRE : CRITÈRES D'ÉLIGIBILITÉ DE LA PRISE EN CHARGE

La chirurgie ambulatoire ayant vocation à devenir la modalité de prise en charge de référence, l'évaluation du patient repose sur la recherche d'éléments qui motiveraient une hospitalisation conventionnelle. Depuis 2011, la HAS s'est engagée avec l'ANAP dans un programme de soutien au développement de la chirurgie ambulatoire. Le rapport publié en 2014 par la HAS réaffirme que le recours à la chirurgie ambulatoire repose sur une décision médicale partagée avec le patient fondée sur le triptyque patient-acte-structure. L'anticipation et l'organisation selon un protocole local sont les garants de la qualité et de la sécurité des soins.

- L'évaluation préopératoire du patient (facteurs médicaux, sociaux et environnementaux), quel que soit son âge, inclut sa compréhension des informations partagées.

- L'acte chirurgical, qui peut nécessiter une anesthésie de mode variable, doit être compatible avec une sortie le jour même. Les douleurs postopératoires doivent être contrôlables, la prise alimentaire rapide, et les soins postopératoires doivent être gérables par le patient et son entourage ou par un réseau de soins à domicile. Le partage des informations avec le médecin traitant est obligatoire.

⁶ Articles L. 161-39 alinéa 2 et L. 162-1-7 alinéa 1 du Code de la sécurité sociale.

- La structure où cet acte se déroulera (expérience de l'équipe, ressources disponibles, organisation de la structure pour la prise en charge ambulatoire, etc.).

► Pour en savoir plus, consulter le rapport d'évaluation des technologies de santé « [Éléments d'appréciation en vue de la prise en charge d'un patient en chirurgie ambulatoire](#) ».

MÉSOTHÉRAPIE : DES RISQUES INFECTIEUX AVÉRÉS



La mésothérapie à visée esthétique (MVE) est une pratique qui consiste à effectuer de multiples injections d'un ou plusieurs produits dans la peau (acide hyaluronique, vitamines, etc.) dans de nombreuses indications telles que le vieillissement cutané, la cellulite, la chute de cheveux, etc.

Des cas d'infection ont conduit la Direction générale de la santé à demander à la HAS une évaluation des risques liés à cette pratique. La HAS a conclu à l'existence de dangers potentiels incluant :

- des risques infectieux par bactéries typiques ou mycobactéries atypiques ;
- des risques « pharmacologiques » à type de réactions granulomateuses, systémiques et allergiques ;
- des conséquences psychopathologiques.

L'absence de standardisation des procédures en termes de nature des produits et des mélanges injectés n'a pas permis d'en établir la prévalence. Les systèmes de vigilance actuels de la MVE ne sont pas fonctionnels.

La HAS a tenu à rappeler que la préparation extemporanée de mélanges de produits médicaux ne peut se faire qu'en pharmacie et que l'utilisation de médicaments hors AMM est strictement encadrée avec une nécessité d'en informer le patient.

► Pour en savoir plus, voir le rapport « [Évaluation des risques liés aux pratiques de mésothérapie à visée esthétique](#) ».

MÉNINGITE : PRÉCISION DES CONDITIONS DE DÉTECTION DU GÉNOME DES ENTÉROVIRUS

La gravité des méningites bactériennes justifie un traitement antibactérien rapide. La plupart des méningites sont d'origine virale et principalement dues à un entérovirus (EV) avec un pronostic favorable. Pour obtenir un diagnostic rapide la détection par amplification génique du génome des EV dans le liquide céphalo-rachidien (LCR) a été proposée.

La Caisse nationale de l'assurance maladie des travailleurs salariés (CNAMTS) et la Société française de microbiologie (SFM) ont déposé une saisine conjointe pour l'évaluation de cet acte de biologie médicale par la HAS.

La HAS a conclu que la détection du génome des EV par amplification génique est un outil diagnostique qui peut être utilisé en cas de méningite aiguë d'étiologie incertaine. Le résultat obtenu dans les 24 heures facilite la décision du clinicien pour arrêter un traitement probabiliste et autoriser la sortie du patient si son état général et son environnement social le permettent.

► Pour en savoir plus, consulter le rapport « [Évaluation de la détection du génome des entérovirus dans le liquide céphalorachidien par amplification génique dans les méningites](#) ».

■ Évaluation médico-économique et de santé publique

L'objectif de l'évaluation économique est de comparer les différentes options envisageables en fonction de leur capacité à engendrer les meilleurs résultats possibles à partir des ressources à mobiliser, au service des décideurs en vue d'une allocation optimale des ressources.

On parle à ce propos de recherche de l'efficience. Depuis un an, la HAS a mis en œuvre l'évaluation de l'efficience des produits de santé. Sont concernés par ce dispositif les produits de santé qui revendiquent une ASMR ou une ASA de niveau I, II ou III et qui sont susceptibles d'avoir « un impact significatif sur les dépenses de l'Assurance maladie compte tenu de [leur] incidence sur l'organisation des soins, les pratiques professionnelles ou les conditions de prise en charge des malades et, le cas échéant, de [leur] prix ».

Dans le même temps, la HAS a poursuivi son évaluation de l'efficience des stratégies diagnostiques et thérapeutiques ainsi que des actions de santé publique, comme la prise en charge de l'insuffisance rénale terminale ou le dépistage du cancer du sein.

3

rapports d'évaluation
médico-économique

4

recommandations en
santé publique

15

avis d'efficience

15

avis courts rendus à
l'UNCAM

2

guides méthodologiques

1

projet EUnetHTA⁷

5

dialogues précoces,
early dialogues SEED⁷

ÉVALUATION DES PRODUITS DE SANTÉ

AVIS D'EFFICIENCE SUR LES PRODUITS DE SANTÉ : UNE PRISE EN COMPTE DANS LE PRIX DES TRAITEMENTS

En pratique, 66 dossiers ont été déposés, 21 retenus et 15 premiers avis d'efficacité ont été validés et transmis au Comité économique des produits de santé (CEPS).

Les avis d'efficacité, par les nouvelles données qu'ils apportent au CEPS, participent à la définition du prix des produits concernés. Parmi les différents éléments utilisés pour fixer le prix d'un traitement par le CEPS, le critère de l'efficacité vient donc désormais compléter le critère médico-technique, ouvrant ainsi la perspective d'une évaluation des produits de santé tenant compte des bénéfices attendus pour l'individu et pour la collectivité.

VALEURS DE RÉFÉRENCE POUR L'ÉVALUATION ÉCONOMIQUE EN SANTÉ : LANCER LE DÉBAT DÉMOCRATIQUE

Le calcul économique permet d'évaluer le résultat de santé et le coût générés par un produit de santé, comparativement à l'ensemble de ses alternatives médicalement pertinentes.

Lorsque le produit de santé est plus efficace et moins cher que ses comparateurs, l'interprétation est évidente ; le produit est efficace. En revanche, lorsqu'il est plus efficace et plus cher, l'interprétation du résultat du calcul économique en termes d'efficacité n'est plus immédiate. Il peut exister une règle d'interprétation du résultat fondée sur l'identification d'une valeur de référence.

Le produit de santé est dit efficace si le résultat du calcul économique (exprimé en coût par année de vie gagnée ou en coût par QALY gagné) est inférieur à cette valeur. Si le calcul économique permet de documenter le coût du gain en santé produit par une innovation, la question de l'acceptabilité de ce coût pour la collectivité n'est pas tranchée puisque aucune valeur de référence n'est à ce jour spécifiée en France. La question de la détermination d'une valeur de référence et de sa place dans le processus de décision pour le remboursement et la fixation des prix des produits de santé se pose alors.

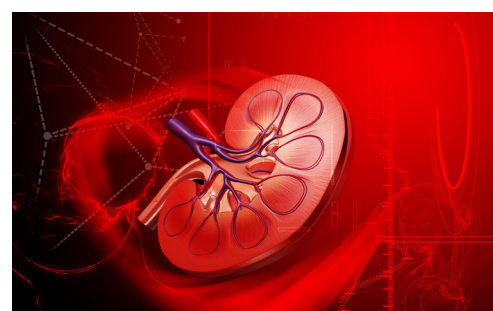
La HAS a donc engagé un travail de recherche et d'analyse documentaire ayant pour but de faire le point sur les questions opérationnelles soulevées par la détermination d'une valeur de référence permettant d'interpréter le résultat d'une analyse coût-résultat dans les décisions de prix et de remboursement des produits de santé.

Elle propose des éléments pouvant permettre d'ouvrir un débat démocratique sur ce sujet.

► Pour en savoir plus, consulter le document « Valeurs de référence pour l'évaluation économique en santé ».

ÉVALUATION DES ACTIONS DE SANTÉ PUBLIQUE ET DE L'ORGANISATION DES OFFRES DE SOINS

ÉVALUATION MÉDICO-ÉCONOMIQUE DES STRATÉGIES DE PRISE EN CHARGE DE L'INSUFFISANCE RÉNALE CHRONIQUE TERMINALE EN FRANCE



Dans un contexte d'augmentation du coût de la prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale (IRCT) en France, la HAS et l'Agence de la biomédecine ont modélisé les possibilités de changement dans la trajectoire de soins des patients et évalué leurs conséquences d'un point de vue clinique et économique. Dix modalités de traitement de l'IRCT ont été prises en considération dans l'évaluation. Partant de la place importante de l'hémodialyse en centre dans les trajectoires des patients relevées dans les données du registre REIN, et considérant qu'une partie des patients pouvaient être pris en charge différemment sans perte de chance, l'évaluation a voulu déterminer l'impact médico-économique de stratégies alternatives définies selon quatre axes : développement de la transplantation rénale ; développement de la dialyse hors centre ; préférence des patients pour des traitements qui favorisent leur autonomie et prise en charge à proximité du domicile des patients.

Les conclusions du rapport confirment que le développement de la transplantation rénale dans tous les groupes d'âge est une stratégie efficace par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées.

Au-delà de la transplantation, limitée par le nombre de greffons, les travaux montrent qu'il est possible de faire évoluer la place des différentes modalités de traitement en développant la dialyse hors centre et qu'il existe plusieurs stratégies de dialyse alternatives, moins chères que la situation observée pour une efficacité équivalente.

⁷ Cf. page 45 du rapport annuel 2014.

► Pour en savoir plus, consulter le rapport « [Évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale en France](#) ».

DÉPISTAGE DU CANCER DU SEIN EN FRANCE : IDENTIFICATION DES FEMMES À HAUT RISQUE ET MODALITÉS DE DÉPISTAGE



Le cancer du sein est le plus fréquent des cancers chez la femme et celui responsable du plus grand nombre de décès. Pour les femmes de 50 à 74 ans sans autre facteur de risque que l'âge, un programme national de dépistage organisé des seins et d'une mammographie de dépistage tous les 2 ans. À la demande de l'INCa et dans le cadre du Plan Cancer 2009-2013, la HAS a élaboré des recommandations sur le dépistage du cancer du sein chez les femmes à haut risque.

Dans un premier temps, la HAS a travaillé sur l'identification des facteurs de risque (FdR) du cancer du sein permettant de distinguer des FdR justifiant potentiellement, du point de vue épidémiologique, un dépistage spécifique. Dans un second temps, ces facteurs de risque ont fait l'objet d'un travail spécifique visant à identifier des stratégies efficaces, sûres et efficientes pour ces facteurs de risque. Des stratégies de dépistage spécifiques ont été proposées pour les quatre situations suivantes :

- antécédent personnel de cancer du sein et de carcinome canalaire *in situ* ;
- antécédent d'irradiation thoracique médicale à haute dose (antécédent de maladie de Hodgkin) ;
- antécédent personnel d'hyperplasie canalaire ou lobulaire atypique et de carcinome lobulaire *in situ* ;
- antécédent familial de cancer du sein avec score d'indication à la consultation d'oncogénétique (score d'Eisinger) ≥ 3 et pas d'identification d'une mutation BRCA1 ou 2 dans la famille (ou recherche non réalisée).

► Pour en savoir plus, consulter les [recommandations en santé publique « Dépistage du cancer du sein en France : identification des femmes à haut risque et modalités de dépistage »](#).

Bonne pratique professionnelle

La HAS a pour mission de produire des recommandations et des outils favorisant leur utilisation par les professionnels de santé.

L'objectif est d'informer les professionnels de santé, les patients et les usagers du système de santé sur l'état de l'art et les données acquises de la science afin d'améliorer la prise en charge et la qualité des soins. En 2014, la HAS a travaillé notamment sur la sortie de maternité, le repérage de la maltraitance infantile, la dépression chez l'adolescent, ainsi que sur l'arrêt du tabac et la prescription des antibiotiques.

SORTIE DE MATERNITÉ APRÈS ACCOUCHEMENT : CONDITIONS ET ORGANISATION DU RETOUR À DOMICILE DES MÈRES ET DE LEURS NOUVEAU-NÉS

La HAS a publié en 2014 de nouvelles recommandations relatives aux conditions et à l'organisation du retour à domicile des mères et de leurs nouveau-nés pour mieux garantir la sécurité de la mère et de l'enfant.

En préalable de ses recommandations, la HAS définit deux notions clés :

- celle de sortie standard : entre 72 et 96 heures après un accouchement par voie basse et entre 96 et 120 heures après un accouchement par césarienne pour la naissance d'un nouveau-né unique sans complications ;
- celle de sortie précoce : au cours des 72 premières heures après un accouchement par voie basse ou au cours des 96 premières heures après un accouchement par césarienne. Dans cette situation, l'accord de la mère et/ou du couple est un préalable.

La HAS détaille les modalités du suivi de la mère et de l'enfant une fois de retour à la maison et insiste sur la nécessité d'anticiper l'organisation de la sortie de maternité pour une meilleure continuité des soins.

► Pour en savoir plus, consulter la recommandation de bonne pratique « [Sortie de maternité après accouchement : conditions et organisation du retour à domicile des mères et de leurs nouveau-nés](#) ».

MALTRAITANCE CHEZ L'ENFANT : REPÉRAGE ET CONDUITE À TENIR

Plus de 80 % des mauvais traitements sur un enfant sont infligés au sein de la famille. La maltraitance est caractérisée par son début précoce et sa chronicité.

Lorsqu'un professionnel de santé suspecte une maltraitance chez un enfant, il peut être amené

7

recommandations de bonne pratique, dont 1 mise à jour

5

fiches mémo

4

brochures d'information pour les patients, dont 1 d'aide à la décision médicale partagée et 1 en partenariat avec l'ANSM⁸

1

cahier des charges et 1 protocole type

3

protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS)

3

guides méthodologiques

⁸ Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé.



pour le protéger à le faire hospitaliser immédiatement. La HAS a réalisé un travail pour aider le médecin à repérer et à prendre en charge les enfants victimes de violence.

La réaction du professionnel dépend du risque pour l'enfant :

- en cas de risque de danger important ou bien sûr d'urgence vitale, le médecin doit alerter le procureur de la République, *via* le tribunal de grande instance (TGI) ;
- en cas de doute, le médecin ne doit pas rester seul et doit se faire conseiller par d'autres professionnels, de santé ou de la protection de l'enfance. Ces situations relèvent plutôt de la compétence du conseil général et doivent faire l'objet d'une « information préoccupante » (IP) auprès de la cellule départementale de recueil d'évaluation et de traitement des informations préoccupantes (CRIP) de son département. La transmission d'une IP permet au département de mettre en place des actions de protection et d'aide dont ce mineur et sa famille peuvent bénéficier.

► Pour en savoir plus, consulter la fiche mémo « [Maltraitance chez l'enfant : repérage et conduite à tenir](#) » ainsi que l'[outil repérage et signalement de la maltraitance des enfants](#).

MANIFESTATIONS DÉPRESSIVES À L'ADOLESCENCE : REPÉRAGE, DIAGNOSTIC ET PRISE EN CHARGE EN SOINS DE PREMIER RECOURS

On estime que près de 8 % des adolescents entre 12 et 18 ans souffriraient d'une dépression. Or à cet âge, la dépression passe souvent inaperçue.

C'est pourquoi la HAS a publié, pour la première fois, des recommandations pour aider les médecins de premier recours, acteurs clés du repérage, à établir le bon diagnostic et à proposer une prise en charge adaptée à chaque situation.

L'une des premières étapes du repérage de la dépression est de la dissocier de la déprime, vécue par une majorité de jeunes durant l'adolescence.

Pour établir le diagnostic de dépression, les symptômes doivent durer au moins 15 jours et être au minimum au nombre de cinq, comprenant un des deux symptômes cardinaux : humeur dépressive (ou irritable) ou perte d'intérêt (ou de plaisir).

Le médecin évaluera l'intensité de la dépression (légère, modérée ou sévère) et ses caractéristiques symptomatiques (mélancolique, atypique, anxieuse, mixte, psychotique). Selon la sévérité de la dépression, différents types de psychothérapies sont recommandés (thérapies de soutien ou spécifiques).

► Pour en savoir plus, consulter la recommandation de bonne pratique « [Manifestations dépressives à l'adolescence : repérage, diagnostic et prise en charge en soins de premier recours](#) ».

ARRÊT DE LA CONSOMMATION DE TABAC : DU DÉPISTAGE INDIVIDUEL AU MAINTIEN DE L'ABSTINENCE EN PREMIER RECOURS



Première cause de mortalité évitable en France, le tabagisme est considéré comme responsable de 90 % des cancers du poumon et de 60 000 décès par an en France. Ce problème majeur mobilise nombre d'acteurs tant administratifs, médicaux, qu'éducatifs. La lutte contre le tabagisme est donc une des priorités de santé publique.

La HAS a ainsi été saisie pour actualiser les recommandations publiées par l'Afssaps en 2003 « Les stratégies thérapeutiques médicamenteuses et non-médicamenteuses de l'aide à l'arrêt du tabac » et a fait le point sur les méthodes de sevrage tabagique efficaces, ainsi que sur la cigarette électronique.

La HAS propose des outils pratiques pour aider les médecins de premier recours à suivre et accompagner leurs patients à chaque étape : des premières intentions d'arrêt du tabac jusqu'au maintien de l'abstinence.

► Pour en savoir plus, consulter la recommandation de bonne pratique « [Arrêt de la consommation de tabac : du dépistage individuel au maintien de l'abstinence en premier recours](#) ».

PRINCIPES GÉNÉRAUX ET CONSEILS DE PRESCRIPTION DES ANTIBIOTIQUES EN PREMIER RECOURS

Afin d'éviter la prescription inappropriée d'antibiotiques, source de pression de sélection, qui aboutit à l'émergence des résistances bactériennes et à des impasses thérapeutiques, la HAS a publié une fiche mémo.

Il est conseillé aux professionnels de santé de :

- réfléchir, avant de prescrire, aux effets bénéfiques et néfastes pour le patient et pour l'écologie bactérienne ;

- éviter une prescription inutile d'antibiotique ;
- suivre les conseils de prescription.

Contribuant ainsi à préserver l'efficacité de 3 antibiotiques (ou familles d'antibiotiques), particulièrement générateurs de résistances bactériennes : l'association amoxicilline-acide clavulanique, les céphalosporines de 3^e génération et les fluoroquinolones.

► Consulter la fiche mémo « [Principes généraux et conseils de prescription des antibiotiques en premier recours](#) ».

Certification, indicateurs et information médicale

| | |
|--|-----------|
| ■ Certification des établissements de santé | 25 |
| - V2014 : la HAS forme les experts-visiteurs aux nouvelles méthodes | 26 |
| - Compte qualité : un dispositif d'accompagnement pour les établissements de santé | 26 |
| - Expérimentation de la méthode du patient-traceur en établissement de santé | 26 |
| - Qualité et sécurité des soins dans le secteur de naissance | 27 |
| - Qualité de vie au travail dans les établissements de santé | 27 |
| ■ Indicateurs de qualité et de sécurité des soins | 27 |
| - Recueil des indicateurs IPAQSS 2014 (données 2013) | 28 |
| - Chirurgie de l'obésité : lancement de la seconde campagne d'évaluation de la qualité | 28 |
| - Courrier de fin d'hospitalisation : modification de l'indicateur national | 29 |
| - Scope santé : le site d'information sur les établissements évolue | 29 |
| ■ Moyens d'information médicale | 30 |
| - Mise à jour du référentiel de certification de la « visite médicale » | 30 |
| - Certification des logiciels d'aide à la prescription (LAP) | 30 |
| - Agréments des bases de données sur les médicaments | 30 |

La HAS a notamment pour mission d'évaluer et d'améliorer la qualité des soins et la sécurité des patients dans les établissements de santé et en médecine de ville. Elle y contribue d'une part en certifiant les établissements de santé, et d'autre part en produisant et en recueillant des indicateurs de qualité et de sécurité des soins. Elle contribue également à améliorer la qualité de l'information délivrée aux professionnels de santé.

Certification des établissements de santé

La certification est une procédure d'évaluation des établissements de santé publics et privés effectuée par des professionnels mandatés par la HAS.

Cette procédure apprécie le système de management de la qualité et des risques, et la dynamique d'amélioration de la qualité et de la sécurité des soins mise en œuvre par les établissements.

En 2014, la HAS a lancé la nouvelle procédure de certification V2014 en accompagnant les experts-visiteurs et établissements de santé.

Elle a aussi tiré les enseignements de l'expérimentation de la méthode du patient traceur et publié des travaux sur la qualité et la sécurité des soins dans le secteur de naissance ainsi que sur la qualité de vie au travail dans les établissements de santé.

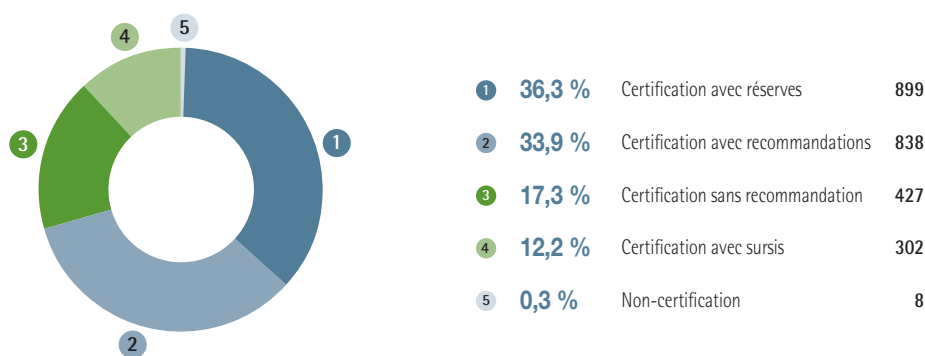
**Certification V2010
au 31 décembre 2014**

2 474
établissements certifiés
V2010

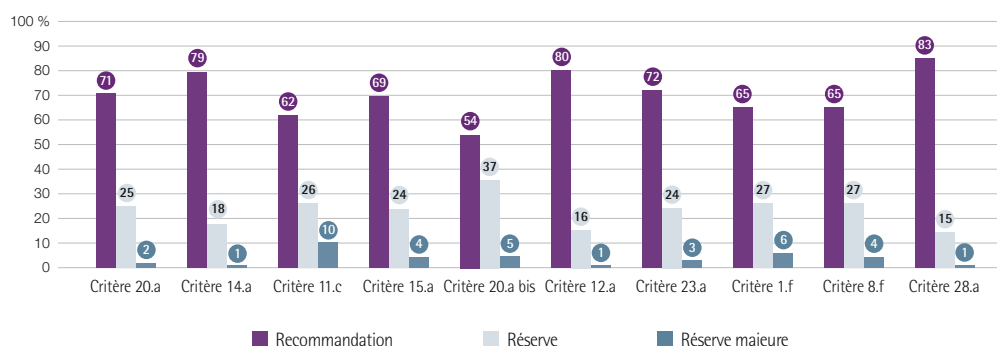
497
experts-visiteurs en activité

434
établissements visités

Répartition des niveaux de certification (2 474 établissements de santé certifiés)



PALMARÈS DES 10 CRITÈRES LES PLUS CONCERNÉS PAR LES DÉCISIONS



Critère 20.a : Management de la prise en charge médicamenteuse du patient ; Critère 14.a : Gestion du dossier du patient ; Critère 11.c : Information du patient en cas de dommage lié aux soins ; Critère 15.a : Identification du patient à toutes les étapes de sa prise en charge ; Critère 20.a bis : Prise en charge médicamenteuse du patient ; Critère 12.a : Prise en charge de la douleur ; Critère 23.a : Éducation thérapeutique du patient ; Critère 1.f : Politique et organisation de l'évaluation des pratiques professionnelles (EPP) ; Critère 8.f : Gestion des événements indésirables ; Critère 28.a : Mise en œuvre des démarches d'évaluation des pratiques professionnelles (EPP).

**Centre d'information
sur la procédure**

9 956
demandes traitées (mail,
téléphone, courrier)

28
réunions d'information
V2014

V2014 : LA HAS FORME LES EXPERTS-VISITEURS AUX NOUVELLES MÉTHODES

Alors que les précédentes évolutions de la procédure de certification des établissements s'organisaient autour d'une évolution du manuel de certification, la V2014 repose sur un changement des méthodes que les experts-visiteurs doivent s'approprier.

La mise en œuvre des visites V2014 constitue donc un challenge particulier en termes de formation des experts-visiteurs.

Le service certification des établissements de santé (SCES) a produit dès 2013 un effort de formation inédit pour s'assurer que l'ensemble des experts-visiteurs intègre la logique systémique de la V2014 et maîtrise des méthodes et outils novateurs.

Les évolutions du dispositif de formation ont comporté le déploiement progressif d'une plate-forme de formation à distance, et des programmes de formation présentielle permettant des mises en situation concrètes et le renforcement des interactions entre pairs.

En termes de contenu, trois modules successifs alternant formations présentielle et à distance (plus de 30 heures) ont été conçus à destination des experts-visiteurs :

- la compréhension des principes et méthodes de gestion des risques en établissement ;
- la maîtrise des nouvelles méthodes d'investigation ;
- les modalités de réalisation concrète de la visite de certification.

COMPTE QUALITÉ : UN DISPOSITIF D'ACCOMPAGNEMENT POUR LES ÉTABLISSEMENTS DE SANTÉ



Avec la V2014, la porte d'entrée dans la certification n'est désormais plus l'autoévaluation conduite pour la certification mais le compte qualité qui aide à la structuration de systèmes de management de la qualité et des risques au sein des établissements et sert à leur évaluation en visite V2014.

La HAS a donc mis toute une série d'outils à disposition des professionnels de santé pour qu'ils s'approprient et élaborent au mieux le compte qualité de leur établissement. Plusieurs modalités pédagogiques ont été utilisées : vidéos institutionnelles, témoignages de professionnels, diaporamas interactifs, guides, etc. La dernière publication de décembre 2014 s'appuie notamment sur un retour d'expérience des 100 premiers comptes qualité reçus. Une partie est consacrée à l'utilisation du compte qualité dans le cadre de la préparation de la visite et sa mobilisation par les experts-visiteurs en visite. Une importante séquence présente des cas pratiques permettant d'illustrer la méthodologie mise en place au travers du compte qualité. Ce dossier est conclu par un focus sur les réponses aux questions le plus fréquemment posées auprès d'i-certification.

► Pour en savoir plus, consulter la publication sur le [compte qualité](#).

EXPÉRIMENTATION DE LA MÉTHODE DU PATIENT-TRACEUR EN ÉTABLISSEMENT DE SANTÉ

La HAS a mis en place une expérimentation de la méthode du patient-traceur qui s'est déroulée entre février et juin 2014. Treize établissements de santé ont été retenus, de statuts divers et de différentes régions.

Ces établissements devaient mettre en œuvre grâce à un guide méthodologique expérimental au moins trois évaluations « patients-traceurs » et faire participer les représentants des usagers et la commission des relations avec les usagers et de la qualité de la prise en charge (CRUQPC) à l'expérimentation.

50 patients-traceurs ont été réalisés au total, en médecine, chirurgie, obstétrique (MCO) dont dialyse et cancérologie, en soins de suite et de réadaptation (SSR), en psychiatrie-santé mentale, et ont concerné différents modes de prise en charge (admission par les urgences, hôpital de jour, hospitalisation programmée, etc.). Le patient a été rencontré lors de 47 patients-traceurs. Les proches de patients adultes ont été rencontrés à 4 reprises. Dix patients-traceurs ont concerné des enfants ou des adolescents ou des bébés.

En moyenne, chaque patient-traceur a donné lieu à 4 ou 5 actions d'amélioration. La thématique principale de ces actions d'amélioration a été la continuité et la coordination des soins.

À l'issue de cette expérimentation, le guide méthodologique « Le patient-traceur en établissement de santé – Méthode d'amélioration de la qualité et de la sécurité des soins » a été mis à disposition des établissements de santé.

► Pour en savoir plus, consulter le [rapport de l'expérimentation et le guide du patient-traceur](#).

QUALITÉ ET SÉCURITÉ DES SOINS DANS LE SECTEUR DE NAISSANCE



Le secteur de naissance a été introduit dans les pratiques exigibles prioritaires de la certification V2014 des établissements de santé, dans le cadre de l'extension progressive du champ du critère « Secteurs d'activité à risque majeur (critère 26.b) ».

En effet, à côté des grossesses et des accouchements dont le déroulement est normal, divers facteurs de risque peuvent compromettre la sécurité de la mère et de l'enfant à naître :

- des risques maternels et/ou fœtaux dont l'identification en amont de la naissance doit être optimisée ;
- des situations critiques, imprévisibles, survenant pendant le travail, l'accouchement ou la délivrance ;
- des défaillances de l'organisation, du travail en équipe (en particulier de la communication) et/ou des pratiques professionnelles, lors de la prise en charge.

Un guide méthodologique sur la qualité et la sécurité des soins dans le secteur de naissance et sa synthèse sont donc proposés pour accompagner d'une part l'équipe pluridisciplinaire du secteur de naissance, lors de la définition de sa démarche d'amélioration de la qualité et de la sécurité des soins, et d'autre part les experts-visiteurs de la HAS, lors de leur visite sur site.

L'objectif est de contribuer à la création de conditions favorables à une prise en charge optimale de la parturiente et de l'enfant, définie notamment par la réduction de la morbidité et de la mortalité évitables de la mère et de l'enfant à naître.

► Pour en savoir plus, consulter le guide « [Qualité et sécurité des soins dans le secteur de naissance](#) ».

QUALITÉ DE VIE AU TRAVAIL DANS LES ÉTABLISSEMENTS DE SANTÉ

Plus que dans d'autres secteurs d'activité, les professionnels dans le domaine de la santé sont confrontés au travail morcelé, à l'interruption des tâches, à une forte sollicitation psychologique, à des évolutions technologiques et à des modifications organisationnelles qui ont un impact

sur leur qualité de vie au travail. Considérant la relation entre conditions d'exercice du travail, bien-être des professionnels et qualité des soins, et après avoir intégré la qualité de vie au travail dans le manuel de certification des établissements de santé V2010, la HAS a mené, en collaboration avec l'Agence nationale pour l'amélioration des conditions de travail (Anact), des travaux afin de permettre le déploiement de cette thématique dans les établissements de santé.

La qualité de vie au travail a comme objectif de concilier les modalités de l'amélioration des conditions de travail et de vie pour les professionnels et la performance collective de l'entreprise. Elle fait valoir que la perception qu'ont les professionnels de la qualité de vie au travail dépend de leur capacité à s'exprimer et à agir sur le contenu de leur travail. Elle met en avant le rôle du personnel et de ses représentants en tant qu'acteurs de la construction des solutions proposées, notamment organisationnelles, aux côtés des directions, du management et des experts.

Dans le cadre de la certification V2014, l'introduction systématique de la thématique qualité de vie au travail dans le compte qualité a pour objectif d'amener l'ensemble des établissements à s'interroger sur la manière dont ils appréhendent et font vivre le lien entre qualité de vie au travail et qualité des soins, en fonction de leurs enjeux propres.

► Pour en savoir plus, consulter la « [Fiche qualité de vie au travail - compte qualité](#) ».

■ Indicateurs de qualité et de sécurité des soins

La HAS développe, avec les professionnels, des indicateurs de qualité et de sécurité des soins, utilisés par les établissements comme outils d'amélioration de la qualité. Elle est engagée avec le ministère de la Santé, depuis 2008, dans la mise en œuvre du recueil de ces indicateurs. Suite au transfert à la HAS des indicateurs du tableau de bord des infections nosocomiales (TBIN) et de satisfaction des patients hospitalisés en MCO (I-SATIS) en 2015, la HAS devient l'opérateur unique des campagnes de recueil des indicateurs de qualité et de sécurité des soins nationaux.

L'année 2014 a été marquée par le recueil des indicateurs transversaux obligatoires, l'actualisation de l'indicateur « Délai d'envoi du courrier de fin d'hospitalisation », ainsi que par le recueil d'indicateurs liés à des thèmes optionnels, c'est-à-dire à la discrétion des établissements de santé, tels que la prise en charge préopératoire des patients candidats à une chirurgie bariatrique.

Indicateurs recueillis en 2014 sur des données de 2013

Recueil obligatoire

- Dossier du patient en MCO : 5 indicateurs recueillis – 1 192 établissements de santé (ES) (99 %* éligibles) ont réalisé le recueil de ces indicateurs – 130 934 dossiers évalués.
- Dossier du patient en SSR : 5 indicateurs recueillis – 1 405 ES (99 %*) ont réalisé le recueil de ces indicateurs – 113 997 dossiers évalués.
- Dossier du patient en HAD : 5 indicateurs recueillis – 270 ES (97 %*) ont réalisé le recueil de ces indicateurs – 16 817 dossiers évalués.
- Dossier du patient en santé mentale : 3 indicateurs recueillis – 433 ES (99 %*) ont réalisé le recueil de ces indicateurs – 32 347 dossiers évalués.
- Dossier d'anesthésie en MCO : 1 indicateur – 988 ES (98 %*) ont réalisé le recueil de ces indicateurs – 58 947 dossiers analysés (anesthésie générale ou locorégionale).
- Réunion de concertation pluridisciplinaire en cancérologie : 1 indicateur – 772 ES (99 %*) ont réalisé le recueil de ces indicateurs – 37 652 dossiers analysés (prise en charge initiale d'un primodiagnostic de cancer).

Recueil optionnel (à la discrétion des établissements de santé)

- Chirurgie de l'obésité chez l'adulte : prise en charge préopératoire (MCO) : 7 indicateurs – 152 ES (30 % des ES concernés) ont réalisé le recueil de ces indicateurs.
- Conformité des demandes d'examens d'imagerie (tous secteurs d'activité confondus) : 1 indicateur – 170 ES (23 % des ES concernés) ont réalisé le recueil de ces indicateurs (recueil en 2014 sur des données de 2014).

* Pourcentage pour les ES pour lesquels le recueil est obligatoire (ES éligibles).

RECUEIL DES INDICATEURS IPAQSS 2014
(DONNÉES 2013)

Les recueils nationaux obligatoires ont eu lieu au premier semestre 2014 sur les thèmes transversaux suivants :

- l'évaluation de la qualité du dossier patient : secteurs MCO (5^e campagne), SSR (4^e campagne), santé mentale et HAD (3^e campagne) ;
- l'évaluation de la qualité du dossier anesthésique (MCO, 5^e campagne) avec deux nouveaux indicateurs évaluant la prise en charge de la douleur post-opératoire en salle de surveillance post-interventionnelle (MCO) ;
- la réunion de concertation pluridisciplinaire en cancérologie (MCO, 3^e campagne).

Ces indicateurs font l'objet d'un contrôle qualité du recueil, permettant de renforcer leur fiabilité, qui a été réalisé par les ARS de juin à septembre 2014.

La diffusion publique sur le site Scope santé a eu lieu en novembre 2014, à l'exception des deux nouveaux indicateurs du thème « Évaluation de la qualité du dossier anesthésique », et du nouvel indicateur intitulé « Document de sortie », qui seront proposés à la diffusion publique en 2016. Les recueils optionnels se sont déroulés au deuxième semestre 2014 et concernent :

- l'indicateur transversal « Conformité des demandes d'examens d'imagerie » ;
- les indicateurs de spécialité du thème « Prise en charge préopératoire pour une chirurgie de l'obésité chez l'adulte ».

► Pour en savoir plus, consulter le [calendrier du recueil des indicateurs](#).

CHIRURGIE DE L'OBÉSITÉ : LANCEMENT DE
LA SECONDE CAMPAGNE D'ÉVALUATION
DE LA QUALITÉ

En 2014, la HAS a mené la seconde campagne de recueil des indicateurs de qualité de la prise en charge préopératoire des patients candidats à une chirurgie bariatrique.

Elle a mis à disposition 7 indicateurs de pratique clinique, identiques à ceux de 2013 afin de permettre un suivi des démarches d'amélioration sur cette pratique. Ces indicateurs portent sur la phase préopératoire indispensable pour la sécurité des patients et la réussite à long terme de ce type de chirurgie.

Les établissements de santé ont été appelés à s'évaluer sur :

- l'évaluation et la prise en charge des principales comorbidités ;
- le bilan œsogastroduodénal par endoscopie ;
- le bilan nutritionnel et vitaminique ;
- l'évaluation psychologique/psychiatrique ;
- la stratégie de prise en charge décidée lors de la concertation pluriprofessionnelle ;
- la communication au médecin traitant de la décision pluriprofessionnelle ;
- la qualité de l'information préopératoire minimale du patient.

Jusqu'à fin décembre 2014, les établissements de santé ont pu saisir sur la plate-forme de recueil en ligne QUALHAS les données recueillies dans les dossiers des patients tirés au sort.

Une restitution immédiate de leurs résultats était proposée à la fin de la saisie. 152 établissements volontaires ont participé soit 30 % des

établissements pratiquant cette chirurgie (25 % en 2013), représentant environ 50 % de l'activité nationale. Le rapport de la campagne de recueil de l'année sera publié au cours du premier semestre de 2015.

► Pour en savoir plus, consulter la page du site de la HAS dédiée au deuxième recueil des indicateurs du thème optionnel « [Prise en charge préopératoire pour une chirurgie de l'obésité chez l'adulte \(OBE\)](#) ».

COURRIER DE FIN D'HOSPITALISATION : MODIFICATION DE L'INDICATEUR NATIONAL



Assurer la continuité des soins et la sécurité du patient à la sortie d'une hospitalisation réduit le risque de réhospitalisation en permettant un partage d'information entre l'hôpital et les structures d'aval. Un indicateur national « Délai d'envoi du courrier de fin d'hospitalisation » (DEC) évalue la qualité du courrier de fin d'hospitalisation et son délai d'envoi dans les 8 jours suivant la sortie du patient. Cet indicateur est recueilli depuis 2008 par tous les établissements MCO concernés.

Pour soutenir le renforcement des exigences de communication entre les professionnels hospitaliers et de ville, la HAS a été chargée en 2014 de définir un référentiel « des informations relatives au séjour et nécessaires à la continuité et à la sécurité des soins en sortie d'hospitalisation ».

L'indicateur DEC évolue en un nouvel indicateur intitulé « Qualité du document de sortie » construit à partir de ce référentiel.

L'actualisation de l'indicateur DEC va être réalisée en deux étapes.

1) Dans un premier temps, le délai de remise au patient ou d'envoi au médecin destinataire a été ramené à 0 jour tout en maintenant un contenu identique à celui de l'indicateur DEC (indicateur « Document de sortie »). Cet indicateur a fait l'objet d'une première mesure nationale en 2014, et la diffusion publique est prévue en 2016. Les résultats 2014 montrent que l'envoi d'un courrier de fin d'hospitalisation complet le jour de la sortie est de 37 % en MCO.

2) Dans un second temps, les exigences de contenu du document de sortie sont renforcées afin qu'il soit plus complet et sécurise mieux la sortie du patient. Le nouvel indicateur « Qualité du document de sortie » est en cours d'expérimentation. La généralisation du nouvel indicateur aura lieu en 2016. La première diffusion publique des résultats de ce nouvel indicateur est prévue en 2018.

► Pour en savoir plus, consulter la page du site HAS dédiée à l'[expérimentation du recueil de l'indicateur « Qualité du document de sortie », IPAQSS 2014](#).



LE SITE D'INFORMATION SUR LES ÉTABLISSEMENTS ÉVOLUE

Le site Scope santé informe les usagers sur la qualité des prises en charge dans les hôpitaux et les cliniques. Un an après son lancement, Scope santé a évolué. La 2^e version du site a été mise à disposition à l'occasion de la semaine de la sécurité des patients fin novembre 2014 et propose des évolutions majeures :

- l'intégration des derniers résultats des indicateurs de qualité et de sécurité des soins ;
- l'actualisation des données d'activité ;
- l'intégration de 25 nouvelles spécialités ;
- un affichage uniquement par site géographique ;
- un moteur de recherche géographique amélioré ;
- un site au format tablette.

Le 20 novembre 2014, Scope santé a reçu l'un des trois prix Communication & Entreprises pour son innovation dans le domaine de la présentation des données en santé grâce à son utilisation de la data visualisation.

► Pour en savoir plus, consulter le site [Scope santé](#).

Données présentées

+ de 4 000

établissements de santé publics
et privés recensés

230

données d'activité présentées

70

spécialités médicales disponibles

231

données sur la qualité publiées

Fréquentation du site

167 000

visiteurs différents

320 540

visites

44

LAP ambulatoires certifiés

15

LAP hospitaliers certifiés

3

bases de données sur les médicaments agréées V2

Moyens d'information médicale

La HAS est chargée de missions de certification dans le domaine de l'information médicale. Ces missions doivent contribuer à améliorer la qualité de l'information délivrée aux professionnels de santé.

Elles concernent la visite médicale des laboratoires pharmaceutiques, les logiciels d'aide à la prescription et à la dispensation, et les bases de données sur les médicaments.

MISE À JOUR DU RÉFÉRENTIEL DE CERTIFICATION DE LA « VISITE MÉDICALE »

Le 15 octobre 2014, le CEPS et le LEEM ont signé une nouvelle charte. La HAS va donc mettre à jour la procédure de certification qui en découle.

Les principales modifications introduites dans la charte impactant la certification sont :

- l'extension de son champ : elle concerne non plus seulement la « visite médicale » (VM) mais l'information par démarchage ou prospection visant à la promotion qui s'adresse aux professionnels de santé prescrivant, dispensant ou utilisant des médicaments, quel qu'en soit le lieu ;
- la mise en place de règles spécifiques pour la VM en établissement de santé ;
- des modifications des exigences concernant la formation des personnes ayant une activité d'information par démarchage ou prospection ;
- des modifications liées à l'évolution de la réglementation.

La charte introduit par ailleurs la mise en place d'un observatoire de la visite médicale organisé par le CEPS et le LEEM et donne une place plus grande au sujet « participation des entreprises au bon usage du médicament », notamment concernant l'utilisation hors AMM de leurs spécialités.

Une note de cadrage détaille les objectifs de la mise à jour et décrit la méthode de travail validée par le Collège de la HAS le 4 décembre 2014, ainsi que le calendrier prévisionnel. L'élaboration de la nouvelle procédure de certification se fera en trois phases : partage d'expérience dans des groupes de travail, écriture d'un projet par la HAS, consultation des parties prenantes.

Dans l'attente de la publication du nouveau référentiel, celui de 2009 est le seul en vigueur.

Parallèlement, la HAS assure la maintenance de la certification : gestion des plaintes et réponses aux questions des entreprises et des organismes certificateurs principalement, représentation aux comités de surveillance annuels de ces organismes.

► Pour en savoir plus, consulter la [note de cadrage sur la mise à jour du référentiel de certification de l'information par démarchage ou prospection \(visite médicale\)](#).

CERTIFICATION DES LOGICIELS D'AIDE À LA PRESCRIPTION (LAP)



La loi du 13 août 2004 relative à l'assurance maladie a chargé la HAS d'établir une procédure de certification des logiciels d'aide à la prescription (LAP). Elle a été complétée par la loi du 29 décembre 2011 relative au renforcement de la sécurité sanitaire du médicament et des produits de santé.

En 2014, plus de 75 % des LAP de médecine ambulatoire actuellement utilisés sont certifiés selon le référentiel de la HAS. Une nouvelle version de cette certification est prévue en 2015 afin de rendre systématique l'inscription de la DCI sur chaque prescription de médicament et afin de permettre l'association d'aide à la décision à certaines classes de médicaments.

La certification des LAP hospitaliers a débuté le 1^{er} avril 2014 à un rythme soutenu car les demandes de certification sont nombreuses.

La HAS est en cours de finalisation du référentiel de certification des logiciels d'aide à la dispensation (LAD) d'officine.

AGRÈMENTS DES BASES DE DONNÉES SUR LES MÉDICAMENTS

Les éditeurs de LAP et de LAD qui désirent postuler à une des certifications de la HAS doivent recourir à une base de données sur les médicaments (BdM) agréée par la HAS.

En 2014, la HAS a délivré les premiers agréments de la version 2 de la charte qualité des bases de données sur les médicaments.

Au 31 décembre 2014 :

- 3 bases de données sur les médicaments sont agréées version 2 ;
- 2 bases de données sur les médicaments sont agréées version 1.

Outils pour la qualité et la sécurité des soins

| | |
|--|-----------|
| ■ Démarches qualité et pertinence des soins | 33 |
| - Césarienne programmée : synthèse de l'expérimentation pour optimiser la pertinence du parcours de la patiente | 33 |
| - Programme psychiatrie et santé mentale | 33 |
| - Radioprotection : améliorer le suivi des patients en radiologie interventionnelle | 34 |
| - DPC : 24 fiches méthodes validées, réunions d'information, séminaire de retour d'expérience, lettres d'information | 34 |
| ■ Parcours de soins | 34 |
| - Coopération entre professionnels (article 51) : de nouvelles perspectives | 34 |
| - Parcours de santé des personnes âgées (article 70) : amélioration du repérage des patients fragiles | 35 |
| - Maladie coronarienne : rendre optimal le parcours de soins | 36 |
| - Soins primaires : une check-list de concertation pluriprofessionnelle | 36 |
| - Sortie d'hospitalisation : prévenir les réhospitalisations | 36 |
| - Organisation des soins : mettre en place des fonctions d'appui aux professionnels de soins primaires | 36 |
| - Soins primaires : un référentiel d'analyse et de progression - Matrice de maturité | 37 |
| ■ Sécurité du patient et accréditation | 37 |
| - Travail en équipe : l'expérimentation PACTE dans une dynamique positive | 37 |
| - Saed : un guide pour faciliter la communication entre professionnels de santé | 38 |
| - L'accréditation en équipe démarre | 38 |
| - Deux nouvelles fiches points clés et solutions pour la sécurité du patient | 38 |
| - Événements indésirables associés aux soins « remarquables » : des publications avec les organismes agréés | 39 |
| - Renforcer la sécurité des soins en ville | 39 |

La HAS conçoit, développe et promeut des méthodes, des outils, des publications et des dispositifs dans l'objectif d'améliorer la qualité de la prise en charge des patients et la sécurité des soins. Ces productions s'adressent soit aux professionnels du secteur de la santé afin de les guider et de soutenir leurs projets d'amélioration, soit directement aux patients et à leurs proches pour les informer et les éclairer.

Cette année, les livrables et actions de la HAS dans ce domaine ont concerné principalement les démarches qualité et la pertinence des soins, les parcours de soins, et la sécurité du patient, dont l'accréditation des médecins et des équipes médicales.

■ Démarches qualité et pertinence des soins

Dans le cadre de son rôle de contribution à la régulation du système de santé par la qualité et l'efficacité, la HAS produit des outils pour encourager les démarches qualité en santé et la pertinence des soins.

En 2014, elle a publié notamment la synthèse de l'expérimentation sur la césarienne programmée, ainsi que des travaux dans le cadre du programme Psychiatrie et santé mentale, et un guide sur la radioprotection en radiologie interventionnelle. Elle a contribué à une journée de bilan sur le projet international DUQuE. Enfin, la HAS a également validé 24 fiches méthodes de développement professionnel continu (DPC) à destination des organismes de DPC et des professionnels de santé.

CÉSARIENNE PROGRAMMÉE : SYNTHÈSE DE L'EXPÉRIMENTATION POUR OPTIMISER LA PERTINENCE DU PARCOURS DE LA PATIENTE

En France, près d'une femme sur cinq accouche par césarienne. Face à l'hétérogénéité des pratiques et afin d'optimiser la pertinence des césariennes programmées à terme, une expérimentation a été lancée en décembre 2012 par la Direction générale de l'offre de soins (DGOS) et la HAS.

Cette expérimentation a bénéficié d'une forte mobilisation des professionnels : 165 maternités (soit environ un tiers des maternités françaises) se sont engagées.

Concrètement, les pratiques professionnelles des maternités engagées ont évolué au cours de l'expérimentation, comme en ont témoigné les équipes médicales lors des séminaires d'étape (janvier 2014) et de clôture (novembre 2014) de l'expérimentation. Celle-ci permet donc de tirer les enseignements suivants :

- l'amélioration de la pertinence des soins est un sujet qui mobilise fortement les professionnels de santé ;
- l'action conjointe des institutions et des organisations professionnelles est indispensable pour accompagner les équipes de professionnels de santé ;

- privilégier le « pas à pas », en pensant « simple » « faisable » et « utile » pour le patient, est la clé du succès de la démarche.

► Pour en savoir plus, consulter la synthèse de l'expérimentation « [Césarienne programmée à terme](#) ».

PROGRAMME PSYCHIATRIE ET SANTÉ MENTALE

La HAS a établi un programme de travail transversal dans le domaine de la psychiatrie et de la santé mentale autour de trois axes thématiques :

1. la prise en charge de la dépression ;
2. les parcours des personnes en situation de handicap psychique ;
3. les droits et la sécurité en psychiatrie.

Sur le premier thème, en 2014, la HAS a publié une note de cadrage afin d'actualiser les recommandations de bonne pratique « Prise en charge d'un épisode dépressif isolé de l'adulte en ambulatoire » publiées par l'Agence nationale d'accréditation et d'évaluation en santé (Anaes) devenue HAS en 2002. Elle a également présenté le projet d'élaboration d'une fiche mémo « Troubles bipolaires : repérage et diagnostic en premier recours » et publié une recommandation de bonne pratique en novembre 2014 : « Manifestations dépressives à l'adolescence : repérage, diagnostic et prise en charge en soins de premier recours ». Sur le troisième thème, un groupe de travail chargé d'élaborer un guide « Prévenir et prendre en charge les moments de violence dans l'évolution clinique des patients adultes lors des hospitalisations en psychiatrie » a été mis en place.

Le suivi de ce programme de travail pluriannuel (2013-2016) est assuré par un comité présidé par le Dr Yvan Halimi et regroupant les institutions, les organisations professionnelles, les fédérations d'établissements et les associations d'usagers. La 2^e réunion du comité de suivi a eu lieu en novembre 2014 et a été l'occasion de faire le point sur les travaux et projets en cours, mais aussi d'aborder le sujet de la certification des établissements de santé en psychiatrie.

► Pour en savoir plus, consulter la page du site de la HAS dédiée au [programme « Psychiatrie et santé mentale »](#).

Pertinence

3

notes de problématique :

- l'arthroscopie de l'épaule ;
- la chirurgie du rachis ;
- l'extraction des dents de sagesse.

Césarienne programmée à terme : expérimentation en région par 165 maternités et 1 séminaire de fin de projet

1

réunion du comité de suivi « psychiatrie et santé mentale »

5

réunions du groupe de travail « prévenir et prendre en charge les moments de violence dans l'évolution clinique des patients adultes lors des hospitalisations en service de psychiatrie »

5

partenariats scientifiques en psychiatrie et santé mentale

DPC

24

fiches méthodes

4

réunions

d'information/échanges

500 participants dont

environ 350 ODPC

RADIOPROTECTION : AMÉLIORER LE SUIVI DES PATIENTS EN RADIOLOGIE INTERVENTIONNELLE



Protocoles de coopération entre professionnels (Art. 51)

10

protocoles validés

Article 70⁹

1

séminaire d'évaluation des expérimentations (55 participants)

Publication d'un rapport d'évaluation des expérimentations menées dans le cadre de l'article 70

Les actes de radiologie interventionnelle (et actes radioguidés) permettent de proposer des actes diagnostiques ou thérapeutiques moins invasifs que la chirurgie ou inaccessibles à celle-ci. Cette technique n'est cependant pas sans risques, selon l'état de santé du patient mais également les risques opératoires. Par ailleurs c'est une technique exposant fortement aux rayonnements ionisants.

La HAS a donc publié un guide en 2012 sur la radiologie interventionnelle dans le cadre de son guide : « Radioprotection du patient et analyse des pratiques – DPC et certification des établissements de santé ».

En 2014, elle a publié le guide complémentaire « Améliorer le suivi des patients en radiologie interventionnelle et actes radioguidés. Réduire le risque d'effets déterministes », qui met l'accent sur l'évaluation du suivi des patients, notamment concernant les effets déterministes.

► Pour en savoir plus, consulter le guide « [Améliorer le suivi des patients en radiologie interventionnelle et actes radioguidés](#) ».

DPC : 24 FICHES MÉTHODES VALIDÉES, RÉUNIONS D'INFORMATION, SÉMINAIRE DE RETOUR D'EXPÉRIENCE, LETTRES D'INFORMATION

Le DPC est un dispositif d'amélioration continue de la qualité et de la sécurité des soins associant la formation continue et l'analyse des pratiques professionnelles.

Il s'adresse à l'ensemble des professionnels de santé et constitue une obligation individuelle qui s'inscrit dans une démarche permanente d'amélioration de la qualité des soins. Le DPC est pris en compte dans le cadre de la certification V2014.

En 2014, la HAS a organisé quatre réunions d'échanges et d'information vers les organismes de DPC (ODPC) qui ont réuni environ 500 participants dont 2/3 en ODPC, soit un public cible d'environ 350 ODPC.

Le Collège de la HAS a validé les 24 fiches méthodes de DPC après une période de mise à disposition.

Ces fiches sont utilisables par les organismes de DPC et les professionnels de santé. La HAS a également organisé un séminaire en juin 2014, fondé sur le retour d'expérience des professionnels, et a proposé 11 lettres électroniques cette année dans ce domaine.

► Pour en savoir plus, consulter la [page du site de la HAS dédiée au DPC](#).

Parcours de soins

Le progrès médical et l'allongement de l'espérance de vie ont pour corollaire l'augmentation des maladies chroniques, enjeu majeur en termes de santé publique et d'impact économique. La HAS vise à promouvoir des parcours de la personne respectueux des bonnes pratiques, adapté à chaque situation et dont les différentes interventions sont coordonnées entre elles.

En 2014, elle a notamment poursuivi son travail de validation des protocoles de coopération entre professionnels, publié un rapport d'évaluation des expérimentations sur les parcours de santé des personnes âgées, élaboré un guide sur la maladie coronarienne, et publié des outils pour la coordination sur la *check-list* de concertation, la sortie d'hospitalisation mais aussi les fonctions d'appui.

COOPÉRATION ENTRE PROFESSIONNELS (ARTICLE 51) : DE NOUVELLES PERSPECTIVES

L'article 51 de la loi HPST du 21 juillet 2009 permet la mise en place, à titre dérogatoire et à l'initiative des professionnels sur le terrain, de transferts d'actes ou d'activités de soins et de réorganisation des modes d'intervention auprès des patients.

Ces initiatives locales prennent la forme d'un protocole de coopération qui est transmis à l'ARS. Celle-ci vérifie la cohérence du projet avec le besoin de santé régional, avant de le soumettre à la validation de la HAS.

⁹ Loi n° 2011-1906 du 21 décembre 2011 de financement de la sécurité sociale pour 2012.

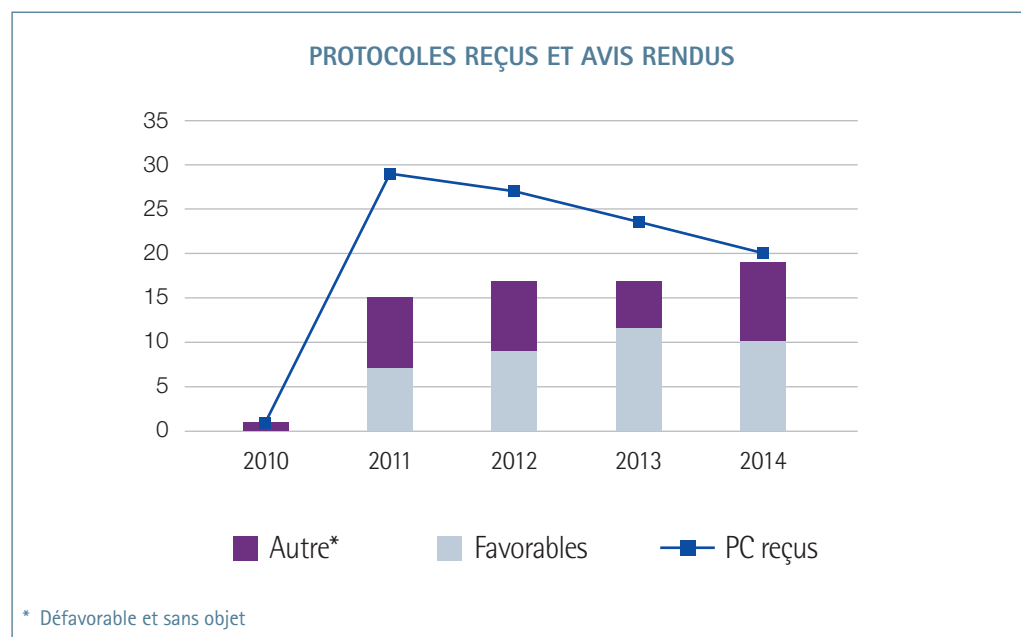
En 2014, le dispositif « article 51 » a connu de nouvelles perspectives par :

- la mise en place du Collège des financeurs à la fin de l'année ;
- l'évolution des textes législatifs s'orientant vers l'élaboration de cahiers des charges nationaux et un élargissement du champ des pratiques des infirmières (pratiques avancées).

Les ARS, en 2014, ont transmis 20 protocoles à la HAS (soit 91 protocoles depuis 4 ans).

La HAS s'est exprimée sur 19 protocoles, parmi lesquels 10 avis favorables.

Les protocoles reçus en 2014 se sont concentrés sur quatre profils professionnels : majoritairement infirmiers (IDE), manipulateurs en électro radiologie, orthoptistes et aides-soignant(e)s.



PARCOURS DE SANTÉ DES PERSONNES ÂGÉES (ARTICLE 70) : AMÉLIORATION DU REPÉRAGE DES PATIENTS FRAGILES

En décloisonnant l'ambulatoire, le médico-social et l'hospitalier, la coordination des professionnels permet d'éviter les ruptures dans la prise en charge du patient âgé.

L'article 70 de la LFSS 2012 a donc proposé des expérimentations visant à améliorer l'organisation et la coordination des parcours de santé des personnes âgées afin de prévenir les recours évitables à l'hospitalisation et de coordonner les soins en sortie d'hospitalisation. La HAS, évaluateur de ces projets, a publié son rapport d'évaluation pour 2013 au printemps

2014 et a organisé un séminaire de partage d'expérience en décembre 2014, réunissant institutionnels, pilotes des projets et leurs ARS.

Après 2 ans de mise en œuvre des expérimentations « article 70 », la HAS constate un certain nombre d'avancées, en particulier une progression du repérage des patients fragiles, de l'utilisation des outils produits par la HAS tels que le plan personnalisé de santé (PPS) ou les fiches points clés et solutions relatives à l'organisation des parcours.

L'institution constate également une évolution positive de l'exercice coordonné concernant 9 équipes sur 11 avec des partenariats effectifs, des outils formalisés et contextualisés par les équipes en vue des expérimentations.

La HAS souhaite cependant alerter les décideurs publics sur la suite à donner aux projets qui n'ont pu entamer de démarche depuis le précédent rapport d'évaluation et propose de mettre un terme à leur financement. Pour les autres projets, la question de leur avenir se pose, sachant que la LFSS pour 2012 prévoit un financement pour 5 ans maximum.

► Pour en savoir plus, consulter la [page du site de la HAS dédiée à la Coordination des soins](#).



18

actualisations de listes d'actes et de prestations pour les ALD

7

guides du parcours de soins

7

fiches points clés et solutions – organisation des parcours

7

guides méthodologiques

5

outils d'accompagnement des parcours de soins

5

avis HAS sur des référentiels de la CNAMTS

147 198

guides patients commandés par l'Assurance maladie en 2014

MALADIE CORONARIENNE : RENDRE OPTIMAL LE PARCOURS DE SOINS

Troisième affection de longue durée la plus fréquente après le diabète et les maladies malignes, avec une prévalence qui augmente avec l'âge, la maladie coronarienne stable (MCS) concerne plus d'un million de personnes.

La HAS a publié en 2014 un guide et des outils destinés à rendre optimal le parcours de soins des personnes atteintes de cette maladie.

Le guide fait la promotion d'une démarche diagnostique en cas de douleur thoracique. Cette approche devrait permettre de rendre pertinent le recours aux examens paracliniques (en particulier la coronarographie) et aux urgences hospitalières.

► Pour en savoir plus, consulter [les outils du parcours de soins de la maladie coronarienne stable](#).

SOINS PRIMAIRES : UNE CHECK-LIST DE CONCERTATION PLURIPROFESSIONNELLE

Des soins primaires forts, organisés autour de la médecine générale, sont considérés dans toute la littérature internationale comme une solution incontournable pour répondre aux défis auxquels doit faire face le système de santé des pays développés : vieillissement de la population, augmentation du nombre de malades chroniques traités en ambulatoire...

Dans ce cadre, les expérimentations « personnes âgées en risque de perte d'autonomie » (PAERPA) concernent les personnes âgées de 75 ans et plus, encore autonomes mais dont l'état de santé est susceptible de s'altérer pour des raisons d'ordre médical et/ou social.

Mettre en place une réelle coordination des soins et une concertation de l'ensemble des professionnels impliqués est un enjeu majeur de l'organisation des soins en France.

Dans cette perspective, la HAS a élaboré plusieurs outils, dont le PPS, plan d'action formalisé par plusieurs professionnels de santé, sous la responsabilité du médecin traitant. Il contient notamment la *check-list* de concertation, outil permettant aux médecins généralistes d'animer une concertation pluriprofessionnelle en raisonnant par problèmes, et non plus par maladies.

Elle recense d'une part les problèmes sanitaires et d'organisation des soins et d'autre part les problèmes sociaux et relatifs au contexte de vie des patients. Élaborée et testée à l'occasion des expérimentations PAERPA, elle concerne potentiellement l'ensemble des situations rencontrées en soins primaires.

Afin de faciliter la prise en charge des personnes âgées type PAERPA, la HAS a également élaboré un cahier des charges précisant les conditions

de mise en œuvre d'une éducation thérapeutique du patient (ETP) pour ces personnes et leur entourage.

► Pour en savoir plus, consulter [la page du site de la HAS dédiée à la mise en œuvre des parcours](#).

SORTIE D'HOSPITALISATION : PRÉVENIR LES RÉHOSPITALISATIONS

La sortie d'hospitalisation du patient est un moment crucial dans son parcours de soins. En effet, de son bon déroulement dépendra la santé de ce dernier. Pour éviter des réhospitalisations dues à une mauvaise coordination des soins, la HAS a publié en 2014 deux fiches points clés et solutions.

L'une porte sur la prévention des réhospitalisations après une exacerbation de bronchopneumopathie chronique obstructive (BPCO), l'autre sur la prévention des réhospitalisations d'un patient diabétique avec plaie du pied.

L'enjeu est de définir les actions à mener pendant l'hospitalisation, au moment de la sortie et au décours de l'hospitalisation pour réduire le risque de réhospitalisation de ces patients.

► Pour en savoir plus, consulter les fiches points clés et solutions « [Comment prévenir les ré-hospitalisations après une exacerbation de bronchopneumopathie chronique obstructive ?](#) » et « [Comment prévenir les réhospitalisations d'un patient diabétique avec plaie du pied ?](#) ».

ORGANISATION DES SOINS : METTRE EN PLACE DES FONCTIONS D'APPUI AUX PROFESSIONNELS DE SOINS PRIMAIRES



La mise en place de fonctions d'appui consiste à proposer aux professionnels de soins primaires des aides pour organiser les parcours des patients en situation complexe. Il peut s'agir de prestations ponctuelles (comme l'évaluation multidimensionnelle des personnes âgées) ou plus durables (comme une assistance personnalisée au parcours des personnes en grande difficulté sanitaire ou sociale).

Leur déploiement est une mission des ARS : il fait suite à une évaluation des besoins et est cohérent avec le projet régional de santé.

La HAS a donc élaboré une fiche traitant du contenu des fonctions d'appui et des facteurs conditionnant leur efficacité, y compris en termes d'organisation. Ce déploiement doit tenir compte des cinq conditions d'efficacité repérées dans la littérature :

- l'inscription dans une dynamique d'intégration territoriale, apportant des outils communs pour évaluer et orienter les personnes ;
- la localisation du dispositif d'appui en proximité des médecins et des équipes de santé primaire ;
- un ciblage approprié des patients pouvant en bénéficier ;
- l'aide à l'organisation des transitions hôpital/domicile, intervention qui a un fort niveau de preuve sur le recours aux soins ;
- la transmission d'outils, de savoirs et de savoir-faire aux professionnels de santé.

► Pour en savoir plus, consulter la fiche « [Comment organiser les fonctions d'appui aux professionnels de soins primaires](#) ».

SOINS PRIMAIRES : UN RÉFÉRENTIEL D'ANALYSE ET DE PROGRESSION – MATRICE DE MATURITÉ

L'organisation des soins primaires est une des stratégies incontournables pour optimiser les parcours de santé. Toutefois, passer d'un exercice « isolé » à un exercice regroupé n'est pas toujours facile car cela oblige les professionnels à transformer leur pratique et l'organisation de leur travail.

Ainsi, la HAS a publié une matrice de maturité. L'objectif de ce référentiel est d'aider les équipes pluriprofessionnelles de soins primaires, formalisant un exercice coordonné pluriprofessionnel, à évaluer et à améliorer leur organisation de façon à avoir un impact bénéfique sur la prise en charge des patients. Il est organisé autour de 4 axes : le travail en équipe pluriprofessionnel, le système d'information, l'implication des patients et le projet de santé.

► Pour en savoir plus, consulter la [page du site de la HAS dédiée à la Matrice de maturité](#).

■ Sécurité du patient et accréditation

Étroitement liée à la notion de qualité des soins, l'ambition de la sécurité du patient est d'éviter à ce dernier une inversion du rapport bénéfice/risque durant sa prise en charge provoquée par un événement indésirable.

La HAS s'est investie dans ce domaine depuis sa création en développant des actions multiples et pluriannuelles favorisant une élévation progressive du niveau de culture des acteurs dans le domaine de la sécurité.

À ce titre, la HAS développe depuis 2006 auprès de 18 spécialités médicales et chirurgicales dites « à risque », un dispositif d'accréditation des médecins permettant d'améliorer les pratiques par des enseignements issus de l'analyse des événements indésirables qui surviennent.

Environ 10 000 médecins sont engagés dans ce processus d'amélioration continue de leur pratique et 75 000 événements indésirables ont été analysés et versés dans une base de retour d'expérience.

Cette année a été particulièrement marquée par la promotion du travail en équipe, l'amélioration de la communication entre professionnels, la diffusion d'enseignements issus de l'analyse des événements indésirables associés aux soins et des outils pour renforcer la sécurité des patients notamment « en ville ».

TRAVAIL EN ÉQUIPE : L'EXPÉRIMENTATION PACTE DANS UNE DYNAMIQUE POSITIVE

Des études internationales ont démontré le lien vertueux entre l'amélioration du travail en équipe et le niveau de sécurité de la prise en charge des patients.

En s'appuyant sur ces résultats scientifiques, la HAS a lancé en 2013 le programme d'amélioration continue du travail en équipe (PACTE), pour aider les professionnels à travailler en équipe.

Il s'agit d'un programme collaboratif et pluri professionnel qui propose des méthodes et des outils aux équipes quel que soit leur secteur d'activité.

Une expérimentation du programme a été lancée en 2014 avec 18 équipes volontaires travaillant en établissement de santé.

La première étape de cette expérimentation a consisté pour les équipes à réaliser un auto-diagnostic de leur fonctionnement, pour identifier d'éventuels points faibles et définir des points d'amélioration à mettre en œuvre dans la suite de la démarche.

Accompagnées par la HAS, les équipes ont également réalisé une enquête sur leur niveau de culture de sécurité et ont bénéficié de plusieurs sessions d'animation d'équipe appelées CRM-santé (*Crew Ressource Management Santé*).

► Pour en savoir plus, consulter la [page du site de la HAS dédiée à PACTE](#).

Sécurité du patient

18

équipes réalisent
l'expérimentation PACTE
(Programme d'amélioration
continue du travail en
équipe)

**Dispositif
d'accréditation des
médecins et des
équipes médicales**

18

organismes agréés pour
l'accréditation des médecins

1 076

certificats d'accréditation
en 2014 sur un total de
13 346 certificats délivrés
depuis le début de la
démarche

9 386

médecins actifs dans
la démarche d'accréditation
dont 1 923 engagés
(non encore accrédités)
et 7 463 accrédités
au 31 décembre 2014

8

médecins experts des
OA-Accréditation formés
en 2014 sur un total de 432
depuis le début de
la démarche

10 742

EPR analysés en 2014 sur
un total de 74 926 EPR
enregistrés dans la base REX

1

production en lien
avec l'axe 1 du PNSP¹⁰ :
- un guide Saed (Situation,
antécédents, évaluation,
demande).

¹⁰ Programme national pour
la sécurité des patients.

SAED : UN GUIDE POUR FACILITER LA COMMUNICATION ENTRE PROFESSIONNELS DE SANTÉ



Le défaut de communication entre professionnels constitue une des principales causes profondes des événements indésirables en milieu de soins.

Face à cette situation, la HAS a élaboré un outil de communication intitulé « Situation, antécédents, évaluation, demande » (Saed), adaptation française de l'outil anglo-saxon « *Situation Background Assessment Recommendation* » (SBAR).

Il s'agit d'un outil mnémotechnique qui permet à un professionnel de santé de structurer sa communication orale auprès d'un autre professionnel.

L'objectif principal de cet outil est de prévenir les événements indésirables pouvant résulter d'erreurs de compréhension lors d'une communication entre professionnels, mais également de faciliter la mise en œuvre d'une communication documentée claire et concise, et d'éviter les oublis.

► Pour en savoir plus, consulter la [page du site de la HAS dédiée à Saed](#).

L'ACCREDITATION EN ÉQUIPE DÉMARRE

Depuis 2006 le décret définissant l'accréditation a prévu une réalisation possible de l'accréditation « en équipes médicales exerçant en établissements de santé » en précisant qu'il s'agit de médecins d'une même spécialité. Cependant, de 2007 à 2014, seules les démarches individuelles se sont réalisées.

Sept ans plus tard, fortes de l'expérience acquise dans l'accréditation, certaines spécialités ont exprimé le souhait de réaliser des démarches en équipe et défini avec la HAS les bases de cette organisation.

Ainsi l'anesthésie-réanimation et la gastro-entérologie interventionnelle ont lancé leurs

premières équipes dont deux ont été validées par le Collège de la HAS en octobre 2014.

Les fondamentaux de l'accréditation sont retrouvés dans l'approche en équipe puisque les médecins de l'équipe mettront en œuvre un programme annuel défini par leur spécialité.

Ce programme demande, comme le programme individuel, la mise en œuvre de recommandations, la réalisation d'activités et l'analyse puis la déclaration d'événements indésirables associés aux soins (EIAS).

Il intègre aussi une dimension de travail collectif et parfois sur certaines actions spécifiquement demandées aux équipes, en mettant par exemple un accent sur le partage d'information, la coordination des acteurs ou l'homogénéité des pratiques.

Les EIAS sont également sélectionnés et analysés par l'équipe en revue de mortalité et de morbidité (RMM) puis déclarés à l'organisme agréé. Ce programme d'accréditation en équipe, comme le programme individuel répond aux exigences du DPC obligatoire.

► Pour en savoir plus, consulter la [page du site de la HAS dédiée à l'accréditation en équipe](#).

DEUX NOUVELLES FICHES POINTS CLÉS ET SOLUTIONS POUR LA SÉCURITÉ DU PATIENT

La base de retour d'expérience du dispositif d'accréditation des médecins et des équipes médicales, appelée base REX, collecte des événements porteurs de risque (EPR), et plus largement des événements indésirables associés aux soins (EIAS).

Cette base est une source privilégiée pour tirer des leçons de l'expérience. Les enseignements qui en sont issus se traduisent notamment par l'élaboration de « solutions pour la sécurité du patient » (SSP) outil d'amélioration des pratiques, de réduction des événements indésirables et d'atténuation des conséquences.

Les fiches points clés et solutions pour la sécurité du patient sont des coproductions HAS/Organismes agréés pour l'accréditation portant sur des risques précis.

En 2014, deux nouvelles fiches ont été publiées :

- **Comment réagir face à la présence d'humidité dans des boîtes d'instruments stériles après incision du patient ?** Fiche réalisée avec Orthorisq, la Sofcot, l'AFS (Association française de stérilisation) et la SF2H (Société française d'hygiène hospitalière) ;
- **Comment réduire les risques associés à la création d'un pneumopéritoine en chirurgie digestive ?** Fiche réalisée avec la Fédération de chirurgie viscérale et digestive (FCVD).

► Pour en savoir plus, consulter la [page du site de la HAS dédiée aux « Fiches points clés et solutions pour la sécurité du patient »](#).

ÉVÉNEMENTS INDÉSIRABLES ASSOCIÉS AUX SOINS « REMARQUABLES » : DES PUBLICATIONS AVEC LES ORGANISMES AGRÉÉS

La maîtrise de la sécurité dans la santé passe par une meilleure connaissance des événements indésirables qui surviennent pour en tirer des leçons et renforcer les organisations et les parcours de soins.

L'ambition, en publiant des événements qui sont survenus dans la pratique des médecins participant au dispositif d'accréditation sélectionnés pour leur caractère pédagogique, analysés de façon approfondie, sans incriminer ni culpabiliser, est d'ouvrir la conscience des professionnels sur les risques qui les entourent, démontrer l'intérêt de l'analyse de ces événements et ainsi contribuer à améliorer la culture sécurité dans la santé.

Deux fiches ont été publiées en 2014 avec l'OACHIRPED (organisme agréé pour la chirurgie pédiatrique) :

- une erreur d'identité au bloc opératoire pédiatrique ;
- une erreur d'administration d'un soluté de perfusion polyionique.

► Pour en savoir plus, consulter la [page du site de la HAS dédiée aux EIAS remarquables](#).

RENFORCER LA SÉCURITÉ DES SOINS EN VILLE



La sécurité du patient concernant également les soins de ville, la HAS a publié en 2014 deux nouvelles brochures, l'une destinée aux professionnels de santé exerçant hors établissement de santé, et l'autre destinée au patient.

- La brochure « Événement indésirable associé aux soins (EIAS) » propose d'adopter une définition unique pour caractériser un événement indésirable associé aux soins. C'est une condition indispensable pour que les professionnels de santé exerçant hors établissement de santé puissent identifier correctement les situations dans lesquelles la sécurité des patients est mise en jeu et également pour disposer d'un langage commun permettant des échanges entre eux.

- La brochure « Parler avec son pharmacien » conseille aux patients de dialoguer avec leur pharmacien, ce qui peut leur permettre d'éviter des erreurs et de mieux comprendre leurs traitements. Elle permet également une prise de conscience de l'importance de communiquer avec son pharmacien, que ce soit à propos de l'orthographe de son nom, mais aussi de ses réticences et inquiétudes concernant son traitement, ou encore de signaler un changement de médicament, de régime alimentaire, des effets inattendus ressentis, etc.

► Pour en savoir plus, consulter les brochures « [Événement indésirable associé aux soins \(EIAS\)](#) » et « [Parler avec son pharmacien](#) ».

2

productions « ville » en lien avec l'axe 1 du PNSP :

- une brochure patient « Parler avec son pharmacien » ;
- une brochure « Définition des événements indésirables associés aux soins (EIAS) hors établissements de santé ».

La HAS

| | |
|---|----|
| ■ Organisation | 41 |
| ■ Missions | 44 |
| ■ Relations internationales | 45 |
| ■ Associations de patients et d'usagers | 48 |
| ■ Communication et information des publics | 50 |
| ■ Textes législatifs et réglementaires parus en 2014/2015 | 54 |
| ■ Fonctionnement | 56 |
| ■ Compte financier 2014 | 60 |



Organisation

Statut

La HAS est une autorité publique indépendante à caractère scientifique. Son budget exécuté en dépense s'est élevé à 50,6 M€ pour l'année 2014 contre 54,7 M€ en 2013.

La HAS est organisée autour de :

- un Collège de 8 membres, présidé par le Pr Jean-Luc Harousseau ;
- 6 commissions spécialisées ;
- 3 directions opérationnelles, un secrétariat général et des services, dirigés par M. Dominique Maigne ;
- 400 collaborateurs ;
- une file active de 2 800 experts, associations de patients et professionnels de santé externes, près de 550 experts-visiteurs.

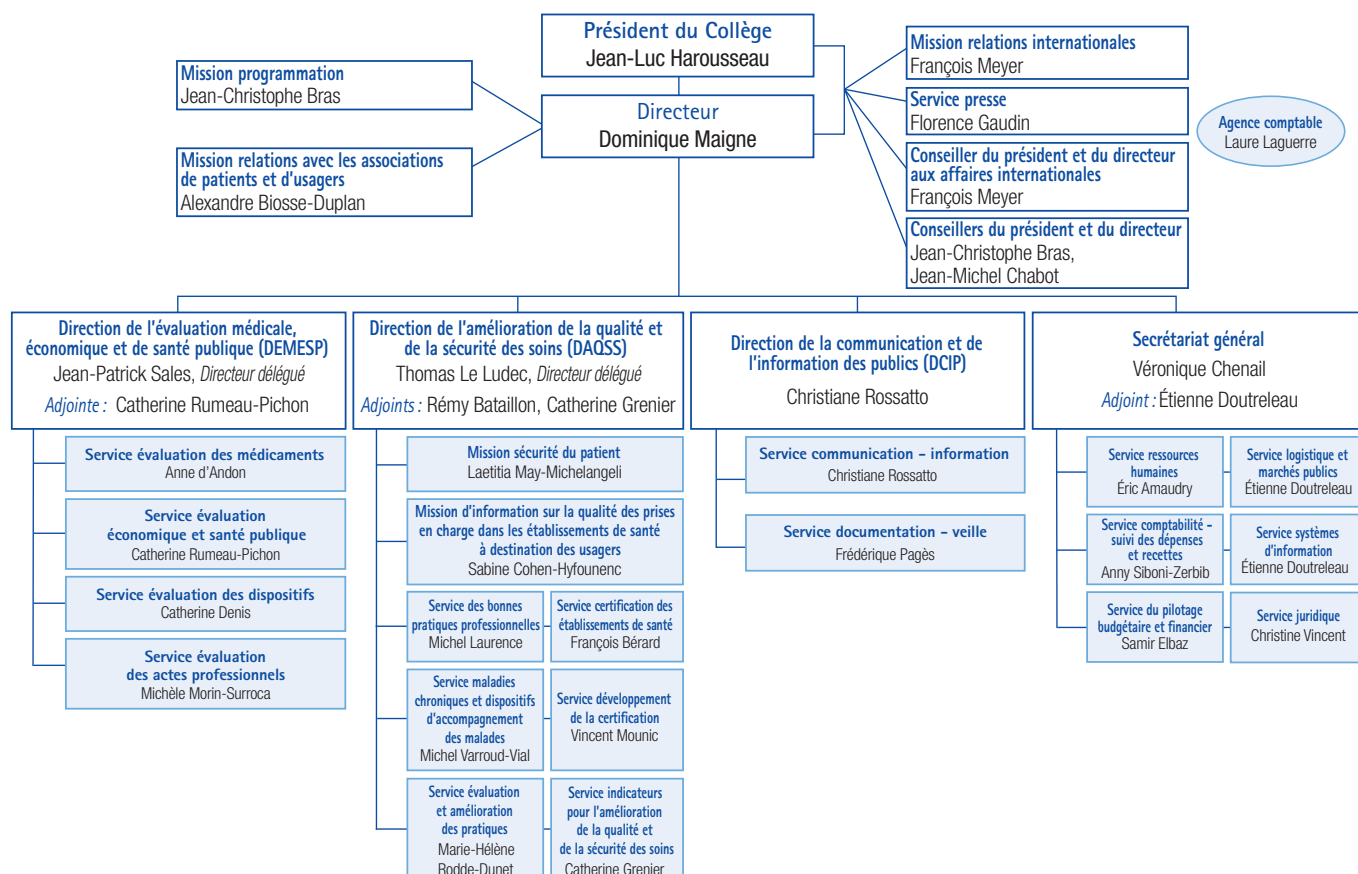
Gouvernance

Un Collège renouvelé

Le Collège est responsable des orientations stratégiques, de la programmation et de la mise en œuvre des missions assignées à la HAS par le législateur. Instance délibérante de la HAS, il est garant de la rigueur et de l'impartialité de ses productions.

Le Collège délibère sur les avis, recommandations et décisions de certification, la procédure de certification des établissements de santé, mais aussi sur le budget annuel et les comptes, les règlements intérieurs (Collège, commissions, services), le règlement comptable et financier, les emprunts et les placements des réserves.

Organigramme 2014



Retrouvez tous les **organigrammes** de la HAS par direction, sur www.has-sante.fr

En 2014,
le Collège a rendu :

261

décisions scientifiques
et administratives

118

avis

1 062

décisions portant sur
la certification des ES

Il est composé de huit membres, nommés par décret du président de la République, deux sur proposition du président de la République, deux sur celle du président du Sénat, deux sur celle du président de l'Assemblée nationale et deux sur celle du président du Conseil économique, social et environnemental. La durée du mandat est de 6 ans, renouvelable une fois. Le Collège est renouvelé par moitié tous les 3 ans.

En janvier 2014, trois nouveaux membres du Collège de la HAS ont été nommés : M. Yvonnick Morice, directeur d'hôpital, ancien directeur général du CHU de Lille depuis 2011 ; le Pr Jacques Belghiti, professeur à l'université Paris VII, qui dirige le service de chirurgie et de transplantation hépatique de l'hôpital Beaujon (Clichy) depuis 1995 ; le Pr Loïc Guillevin, professeur à l'université Paris V, chef de pôle de médecine interne de l'hôpital Cochin (Paris).

Par ailleurs, le mandat du Pr Jean-Michel Dubernard a été renouvelé. Les membres nouvellement nommés ont rejoint, au sein du Collège de la HAS, le Pr Jean-Luc Harousseau, président du Collège, M. Alain Cordier, et les Drs Cédric Grouchka et Jean-François Thébaut.

De nouvelles commissions

En lien avec le Collège, les commissions spécialisées sont chargées d'instruire les dossiers constitués par les services opérationnels dans les différents domaines de compétence de la HAS. Chacune d'elles est obligatoirement présidée par un membre du Collège et possède son propre règlement intérieur précisant son mode de fonctionnement. Chaque commission travaille en étroite relation avec un ou plusieurs services de la HAS.

En 2014, afin d'assurer une meilleure cohérence avec son projet stratégique, la HAS a réduit le nombre de ses commissions de 7 à 6. La commission des recommandations de bonne pratique, la commission des parcours de soins et des maladies chroniques ainsi que la commission de l'amélioration des pratiques professionnelles et de la sécurité du patient ont été remplacées, leurs attributions se répartissant désormais entre la commission des pratiques et des parcours d'une part et la commission des stratégies de prise en charge d'autre part. Par ailleurs, une mission sur les comparaisons internationales en matière d'accréditation et une mission sur l'information du grand public et des patients ont été confiées respectivement à Jean-Michel Dubernard et Cédric Grouchka.

Commission de la transparence (CT)

Missions

- Évaluer les médicaments qui ont une autorisation de mise sur le marché (AMM), lorsque le laboratoire qui les commercialise souhaite obtenir leur inscription sur la liste des médicaments remboursables, et quantifier le progrès thérapeutique qu'ils apportent par rapport à l'existant. Donner un avis aux ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale sur la prise en charge des médicaments.
- Réévaluer périodiquement les médicaments déjà commercialisés et revoir leur place dans les stratégies thérapeutiques en fonction des résultats qu'ils ont obtenus et des progrès thérapeutiques.
- Contribuer au bon usage des médicaments.

Retrouvez la **composition de la CT** sur le site de la HAS.



Le Collège, de gauche à droite : Pr Jacques Belghiti, Dr Jean-François Thébaut, Pr Loïc Guillevin, M. Alain Cordier, Pr Jean-Luc Harousseau, Pr Jean-Michel Dubernard, M. Yvonnick Morice, Dr Cédric Grouchka.

Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS)

Missions

- Rendre un avis sur le remboursement des dispositifs médicaux (DM) ou d'autres produits à visée diagnostique, thérapeutique ou de compensation du handicap, ainsi que sur la prise en charge des actes professionnels.
- Évaluer les effets bénéfiques des technologies de santé et les mettre en balance avec les risques liés à leur utilisation.
- Émettre un avis sur les conditions de prescription, de réalisation ou d'emploi des actes, produits ou prestations de santé.
- Déterminer leur place dans la stratégie thérapeutique.
- Contribuer au bon usage des DM et des actes.

Retrouvez la **composition de la CNEDiMTS** sur le site de la HAS.

Commission évaluation économique et de santé publique (CEESP)

Missions

- Produire des recommandations de santé publique.
- Émettre un avis sur les conditions de prescription, de réalisation ou d'emploi des actes, produits ou prestations de santé ainsi que sur leur efficience.
- Valider les études médico-économiques mettant en balance les effets bénéfiques des technologies de santé avec les ressources mobilisées.

Retrouvez la **composition de la CEESP** sur le site de la HAS.

Commission certification des établissements de santé (CCES)

La commission a pour mission de préparer les délibérations du Collège concernant :

- la procédure de certification des établissements de santé ;
- les orientations, les outils, les modalités et le suivi de la procédure de certification des établissements de santé (article R. 161-74 du Code de la sécurité sociale) ;
- les décisions relatives au niveau de certification des établissements de santé ;
- les orientations concernant le développement et le recueil des indicateurs de qualité et de sécurité des soins et leur utilisation dans la procédure de certification ;
- les actions d'amélioration de la qualité et de la sécurité des soins.

Outre les missions figurant ci-dessus, la Commission peut se voir confier par le Collège des travaux, études ou consultations que celui-ci juge utiles à la préparation de ses délibérations.

Retrouvez la **composition de la CCES** sur le site de la HAS.

Commission des pratiques et des parcours (CPP)

La commission des pratiques et des parcours a pour mission d'éclairer le Collège sur les conditions de l'appropriation et la mise en œuvre par les professionnels des recommandations, guides, outils et méthodes d'amélioration de la qualité des soins et de la sécurité des patients, élaborés ou validés par la HAS, dans le cadre :

- des parcours de soins des personnes atteintes de maladies chroniques ;
- de l'organisation des soins, notamment des soins primaires ;
- de l'utilisation des nouvelles technologies ;
- de l'accréditation des médecins et du développement professionnel continu ;
- des protocoles de coopération ;
- de la pertinence des actes ;
- des programmes d'éducation thérapeutique.

Retrouvez la **composition de la CPP** sur le site de la HAS.

Commission des stratégies de prise en charge (CSPC)

La commission des stratégies de prise en charge, en coordination avec les trois commissions réglementaires qui interviennent dans l'évaluation des produits de santé, a pour mission de préparer les délibérations du Collège portant notamment sur :

- les recommandations proposées aux professionnels de santé ou aux pouvoirs publics en termes de bonne pratique ou d'organisation des soins ;
- les recommandations relatives au bon usage des produits de santé et à leur efficience ;
- l'élaboration de stratégies de prise en charge.

Pour la conduite de sa mission, la commission peut s'appuyer sur les travaux des services ou d'organismes professionnels ou de groupes de travail. Elle peut également procéder à l'audition d'experts ou de parties prenantes.

La commission donne un avis sur :

- la méthode d'élaboration et le contenu des recommandations qui lui sont soumises ;
- les actions à mettre en œuvre pour favoriser l'impact de ces recommandations ;
- les perspectives complémentaires pouvant être proposées au Collège de la HAS.

Elle peut également se voir confier par le Collège des travaux, études ou consultations que celui-ci juge utiles à la préparation de ses délibérations.

Retrouvez la **composition de la CSPC** sur le site de la HAS.



Missions

6 jeux de données mis en données ouvertes en 2014

Dotée d'une mission générale de contribution à la régulation du système de santé par l'amélioration de la qualité en santé et l'efficience, la HAS a vu le champ de ses missions s'élargir depuis 2005, par de nombreuses modifications législatives. Ces missions sont définies aux articles L. 161-37 et suivants du Code de la sécurité sociale.

Elles peuvent être regroupées en deux activités principales :

- évaluation et recommandation ;
- accréditation et certification.

La HAS conçoit et met également à disposition des acteurs de santé des **outils, guides et méthodes** afin d'améliorer leur prise en charge ou la mise en œuvre de leurs projets.

Évaluation et recommandation

La HAS évalue d'un point de vue médical et économique les produits, actes, prestations et technologies de santé, en vue de leur remboursement.

Elle élabore des recommandations de bonne pratique clinique, des recommandations de santé publique, des études médico-économiques, des guides de prise en charge, à destination des professionnels et des patients. Elle rend également des avis dans le cadre de sa mission d'aide à la décision des pouvoirs publics.

Accréditation et certification

La HAS certifie les établissements de santé et contribue à la sécurité du patient par l'accréditation des praticiens de certaines disciplines médicales sur la base du volontariat. Elle participe également à l'amélioration de la qualité de l'information médicale sur Internet et dans la presse, elle certifie la visite médicale, ainsi que les logiciels d'aide à la prescription.

L'institution a été dotée dès 2004 d'une mission d'information « des professionnels de santé et du public sur le bon usage des soins et les bonnes pratiques » et doit notamment informer le public sur la qualité de la prise en charge dans les établissements de santé. En partenariat avec le ministère de la Santé et en collaboration avec l'Agence technique d'information sur l'hospitalisation, la HAS a donc créé un site dédié à l'information des usagers sur la qualité des prises en charge dans les établissements de santé : www.scopesante.fr.

Professionnels de santé, patients, étudiants en médecine ou industriels peuvent trouver sur le site de la HAS des outils, guides et méthodes, pour les accompagner dans leur pratique, leur prise en charge ou leurs projets : DPC, ETP, protocoles de coopération entre professionnels, parcours de soins, guides patient, programmes personnalisés de soins, information sur le dépôt d'un dossier d'évaluation d'un produit de santé, questions de l'ECN, etc.

► Pour en savoir plus, consulter l'[animation interactive de la HAS sur ses missions](#).

Participation à l'open data

Dans la continuité de sa politique de transparence, et pour s'inscrire dans la politique d'ouverture et de partage des données publiques prônée par le gouvernement, la HAS a procédé à la mise en ligne de fichiers de données ouvertes (*open data*).

Après la mise en ligne en juillet 2014 de données publiques sur la certification des établissements, les indicateurs qualité et sécurité des soins, et les résultats d'évaluation des médicaments, la HAS a publié en décembre 2014 trois nouveaux jeux de données :

- **les données d'évaluation du dispositif médical.** Il s'agit des données issues du travail d'évaluation des dispositifs médicaux mené par la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS). Elles comprennent le « service attendu » et l'« amélioration du service attendu » des dispositifs ;
- **les données des logiciels de prescription certifiés.** Ces fichiers structurés présentent la liste des logiciels certifiés (pour la médecine ambulatoire et pour l'hôpital) ;
- **les données sur l'accréditation des médecins.** Ce fichier répertorie les médecins accrédités (médecins exerçant en établissement(s) de santé une activité ou une spécialité dite « à risque »), avec leur spécialité, date d'accréditation, etc. Ces données sous licence ouverte sont accompagnées de fiches de synthèse explicitant leur contenu et sont régulièrement actualisées.

► Pour en savoir plus, consulter la [page du site de la HAS sur les données publiques et l'open data](#).



Relations internationales

À l'international, la HAS opère une veille sur ses métiers et leur environnement et poursuit sa stratégie d'influence en Europe dans les domaines de l'évaluation des technologies de santé, de la qualité en santé et de la sécurité des patients.

L'institution participe ainsi à des projets internationaux pluriannuels. En 2014, elle s'est investie dans huit projets pluriannuels internationaux dont trois dans le domaine de l'évaluation des technologies de santé ou *Health Technology Assessment* (HTA) et cinq dans celui de la qualité des soins et la sécurité des patients.

La HAS contribue également aux principaux réseaux et colloques internationaux dans ses domaines d'activité et accueille les délégations des pays désireux de connaître les travaux de l'institution, principalement dans les domaines de l'évaluation des technologies de santé, de la certification des établissements de santé ou de l'évaluation des pratiques professionnelles.

LES DIALOGUES PRÉCOCES EUROPÉENS, INITIATIVE HAS DANS LE DOMAINE DE L'HTA : VERS UN MODÈLE PÉRENNE

La HAS a pris l'initiative d'organiser les tout premiers « dialogues précoces » ou « *early dialogues* » européens entre les entreprises développant des produits de santé et un groupe d'agences nationales et régionales d'HTA. Ces rencontres visent à améliorer la qualité des données produites au cours du développement des technologies de santé concernées (médicaments, dispositifs médicaux, diagnostic *in vitro*). Ces dialogues précoces s'inscrivent dans la réflexion de la HAS sur les méthodes et les données nécessaires pour l'évaluation des technologies de santé en vue du remboursement.

Les dialogues précoces permettent aux industriels de santé de présenter un plan détaillé de développement de leur produit aux institutions d'HTA et de leur poser des questions précises relatives à ce plan. Le but est de réduire le risque que les données produites soient mal adaptées à l'évaluation en vue du remboursement (par exemple si le comparateur choisi n'est pas adapté, ou si le critère d'évaluation choisi n'est pas le plus pertinent).

La principale valeur ajoutée des dialogues précoces pilotés par la HAS repose sur les échanges entre les agences d'HTA participantes, permettant de confronter les points de vue sur les exigences nationales et de les faire évoluer lorsque le consensus est possible.

En 2014, la HAS a été particulièrement active dans le domaine des *early dialogues*, dans le cadre de la deuxième action conjointe EUnetHTA mais aussi du projet SEED (*Shaping European Early Dialogues for health technologies*), appel d'offres de la Commission européenne pour la conduite de 10 *early dialogues* remporté par la HAS et ses partenaires du consortium SEED.

La poursuite de l'activité *early dialogues* a été confirmée par le réseau permanent des agences HTA européennes ou *HTA network* (HTAN) mis en place en octobre 2013 et dont le programme de travail 2016-2019 est en cours d'élaboration. Le *HTA network*, créé en 2013, constitue l'instance de gouvernance des collaborations dans le domaine de l'HTA (art. 15 de la directive 2011/24 relative à l'application des droits des patients en matière de droits transfrontaliers).

La HAS a également pris part à des expériences pilotes de participation d'agences d'HTA à des avis scientifiques de l'agence européenne du médicament (*European Medicines Agency* – EMA). Il s'agit d'ouvrir une réunion d'avis scientifique de l'EMA à quelques agences d'HTA, choisies par l'industriel. Celui-ci ajoute aux questions posées à l'EMA des questions destinées aux agences d'HTA. Chaque agence d'HTA donne son avis. L'ensemble des avis donnés (EMA, agences d'HTA nationales) est ensuite pris en compte par l'industriel pour son développement.

Les projets européens dans le domaine de l'HTA

• EUnetHTA JA2 (*European Network for HTA Joint Action 2*)

Cette action conjointe qui a débuté en octobre 2012 pour une durée de 3 ans s'inscrit dans la suite de la précédente (EUnetHTA 2010-2012). Elle est majoritairement financée par la Commission européenne et mobilise 37 partenaires associés et 14 partenaires collaborateurs dans 28 pays. La HAS est leader de la thématique relative au développement méthodologique et à la production des données nécessaires pour l'évaluation des technologies de santé. Ce thème comporte différentes actions.

Deux d'entre elles visent à fournir des indications aux industriels sur le type de données à recueillir au cours du développement de nouveaux produits de santé, soit pour un produit donné (*early dialogues*), soit pour une maladie donnée (*disease specific guideline* sur l'arthrose). L'autre action est le développement de nouvelles *guidelines* méthodologiques destinées aux institutions d'HTA. Trois *guidelines* méthodologiques ont été développées en 2014 en complément des trois premières produites en 2013.

Dans le domaine des études complémentaires ou études post-inscription, en 2014, la HAS a coordonné la production de deux guides méthodologiques et lancé une étude de faisabilité de demande conjointe d'étude complémentaire par les agences d'HTA.

La HAS a également coordonné le développement de la base de données EVIDENT créée dans le cadre de la première action conjointe d'EUnetHTA et permettant l'échange d'informations sur les demandes de données complémentaires entre les agences d'HTA du réseau EUnetHTA. L'accès de la base de données EVIDENT au public est prévu à fin 2015. Enfin, la HAS supervise le travail coordonné par le NICE sur le *template* (format) européen commun des dossiers d'évaluation des médicaments et des dispositifs.

La plupart des thématiques d'EUnetHTA JA2, notamment l'activité *early dialogues*, devraient se poursuivre dès 2016 dans le cadre d'une troisième action conjointe.

► Pour en savoir plus : www.eunetha.eu.

• GetReal (2013-2015)

Ce projet, d'une durée de 3 ans (2013-2015), est un partenariat européen public-privé financé pour moitié par la Commission européenne. La HAS participe à ce projet au sein du consortium GetReal.

L'objectif de GetReal est de permettre la prise en compte de données cliniques en vie réelle (*real life clinical data*) dès la phase de développement d'un médicament afin d'améliorer l'adéquation des données produites à l'évaluation en vue de l'enregistrement et du remboursement.

► Pour en savoir plus : www.imi-getreal.eu.

Les projets internationaux de la HAS dans le domaine de la qualité des soins et de la sécurité des patients

• PaSQ (*Patient Safety and Quality of Care*)

Cette action conjointe cofinancée par la Commission européenne et les institutions participantes réunit pour une durée de 3 ans (2012-2015) les 28 États membres de l'Union européenne et la Norvège. Les principaux acteurs européens et organisations internationales intéressés par le thème sont associés à ce travail coordonné par la HAS.

PaSQ vise l'amélioration de la qualité des soins et de la sécurité des patients grâce au partage de bonnes pratiques et d'expériences de mise en œuvre. Près de 400 bonnes pratiques d'amélioration de la sécurité des patients et de la qualité des soins sont accessibles sur la base de données PaSQ (www.pasq.eu) et 5 bonnes pratiques sélectionnées par les partenaires du projet sont mises en œuvre dans 217 hôpitaux dans 20 pays volontaires. 35 réunions d'échange ont été organisées dans les États membres de l'Union européenne.

Elles ont permis aux pays intéressés par certaines bonnes pratiques accessibles dans la base de données PaSQ d'inviter les experts les ayant mises en œuvre pour leur faire part de leur expérience de terrain. Les 61 partenaires

SEED (SHAPING EUROPEAN EARLY DIALOGUES FOR HEALTH TECHNOLOGIES) (2013-2015)

À la suite d'un appel d'offres de la Commission européenne le projet présenté par la HAS au nom d'un consortium de 14 agences d'HTA a été sélectionné. Le consortium SEED réunit 14 agences européennes HTA, la HAS en assure la coordination. Le projet SEED a débuté en 2013 pour une durée de 2 ans au cours desquels dix pilotes *early dialogues* (7 médicaments, 3 dispositifs médicaux) doivent être réalisés. De plus le consortium SEED présentera à la Commission européenne ses recommandations pour un modèle pérenne de conduite des *early dialogues* en Europe.

En 2014, la HAS a coordonné la mise en place des outils nécessaires à la réalisation des *early dialogues* (guide de procédures, *briefing books*, code de conduite) et mené à bien cinq *early dialogues* (4 médicaments, 1 dispositif médical). Ces cinq *early dialogues* ont suivi soit une procédure « multi-HTA » (avec les 14 agences HTA du consortium SEED), soit une procédure parallèle « EMA-multi HTA » (avec les 14 agences HTA du consortium SEED et l'Agence européenne du médicament). Les cinq *early dialogues* restants sont programmés pour le premier semestre 2015. Un modèle pérenne pour la réalisation des *early dialogues* sera proposé à la Commission européenne fin 2015.

L'activité *early dialogue* a vocation à se poursuivre après la fin du projet SEED, dans le cadre d'une troisième action conjointe inscrite dans le programme de travail du réseau permanent des agences d'HTA européennes ou *HTA network* (HTAN) mis en place en octobre 2013 et dont le programme de travail 2015-2020 est en cours de finalisation. L'HTA network constitue l'instance de gouvernance des collaborations futures dans le domaine de l'HTA (art. 15 de la directive 2011/24 relative à l'application des droits des patients en matière de droits transfrontaliers).

Pour en savoir plus : www.earlydialogues.eu/has

de cette action conjointe ont rédigé une proposition de pérennisation du réseau PaSQ autour de quatre thèmes principaux : l'implication du patient, les systèmes de notification et d'apprentissage, les systèmes d'amélioration de la qualité et la mise en œuvre de bonnes pratiques.

► Pour en savoir plus : www.pasq.eu.

• MUSE (*Machine Understanding for interactive Story tElling*)

MUSE, projet d'une durée de 3 ans (2012-2015) est subventionné par le programme cadre européen de recherche FP7, catégorie technologies de l'information (ICT). MUSE réunit 5 partenaires (Belgique, Slovaquie, Royaume-Uni, Pays Bas et France) et vise à développer de nouvelles

technologies de diffusion de l'information en santé, notamment auprès du patient, sous forme ludique et interactive. Cette information est élaborée à partir des recommandations de la HAS, leader de la thématique « *Guidelines* pour l'information des patients ».

► Pour en savoir plus : www.muse-project.eu

• HIGH5s - Agir pour la sécurité des patients (2009-2015)

Ce projet a été lancé en 2006 par l'Alliance mondiale pour la sécurité du patient de l'OMS. Depuis 2009, la HAS s'y investit, avec l'appui du ministère de la Santé.

L'objectif est d'améliorer la sécurité du patient grâce à la mise en œuvre de protocoles opérationnels innovants standardisés et l'évaluation de leur impact dans les établissements de santé volontaires des huit pays participants. Ces protocoles concernent la prévention des erreurs de site et de procédure en chirurgie et la sécurité de la prescription médicamenteuse aux points de transition des parcours de soins.

► Pour en savoir plus : www.has-sante.fr/portail/jcms/r_1498429/fr/initiative-oms-high-5s et www.who.int/patientsafety/implementation/solutions/high5s/en.

• DUQuE (*Deepening our Understanding of Quality Improvement in Europe*) (2011-2014)

Mené dans le cadre du 7^e programme cadre de recherche et de développement technologique (FP7) de l'Union européenne, DUQuE a pour objectif de cerner l'impact et l'efficacité des stratégies d'amélioration de la qualité et de la sécurité des soins mises en place dans les établissements de santé.

Huit pays ont participé au recueil des données prévu dans le cadre du projet et coordonné pour la France et la Fédération des organismes régionaux et territoriaux pour l'amélioration des pratiques et des organisations (FORAP). Les résultats du projet DUQuE ont été présentés lors d'un colloque organisé par la HAS en mai 2014.

► Pour en savoir plus : [Impact - Le projet DUQuE \(Deepening our understanding of quality improvement in Europe\) - recherche européenne](#).

• Enquêtes du *Commonwealth Fund* (CWF)

Le *Commonwealth Fund* (CWF) est une organisation américaine à but non lucratif, dont le mandat consiste à soutenir la prise de décision dans le domaine de la santé par la production de recherches comparatives sur les systèmes de santé. Depuis 2008, la HAS participe aux enquêtes internationales menées par le CWF.

Ces enquêtes portant sur la **perception de la qualité et de la sécurité des soins** sont réalisées dans une dizaine de pays, alternativement auprès du public en général, de personnes de plus de 55 ans ou de médecins généralistes. De 1 000 à 2 000 personnes par pays ont été interrogées dans le cas du public et de 500 à 1 000 dans le cas des médecins généralistes. En France, le comité de pilotage est constitué de représentants de la HAS, de la CNAMTS et plus récemment de l'IRDES.

Chaque année, en novembre, les résultats d'enquête sont discutés lors du séminaire annuel international organisé par le CWF à Washington et publiés dans le rapport annuel du CWF Mirror, « *Mirror on the wall* » et dans le journal *Health Affairs*. Le séminaire annuel organisé par le CWF à Washington porte sur les politiques de santé relatives à la qualité et à la sécurité des soins et réunit 65 participants invités dont les ministres de la santé ou leur représentant.

► Pour en savoir plus : www.commonwealth-fund.org/Surveys.



Associations de patients et d'usagers

Participation des associations de patients et d'usagers aux travaux

Depuis la mise en œuvre d'un cadre juridique favorisant l'implication des représentants des patients et des usagers dans ses travaux en 2008, la mission des relations avec les associations de patients et d'usagers (Mrapu) s'attache à une mise en œuvre effective de la participation. Inventorier les groupes de travail auxquels les associations ont contribué permet de produire, à l'échelle de la HAS, un indicateur de démocratie sanitaire.

En 2014, les travaux de la HAS ont impliqué 191 participations associatives (certaines associations ont contribué à plusieurs travaux).

Au-delà de leur participation aux travaux, les associations sont également ponctuellement conviées aux événements presse qui annoncent la publication. Leur parole est ainsi associée à celle de l'institution.

Ces chiffres ne comprennent en revanche pas les associations de patients appelées à contribuer aux travaux en tant que parties prenantes dans le cadre de la charte de l'expertise¹¹. Ces consultations se tiennent alors en dehors de toute participation à l'expertise proprement dite et ne font pas l'objet d'indemnisation des représentants associatifs. En 2014, les associations concernées par l'évaluation des nouveaux traitements contre l'hépatite C ont été auditionnées dans ce contexte.

Participation des associations de patients et d'usagers aux groupes de travail de la HAS

| Direction | 2010 | 2011 | 2012 | 2013 | 2014 |
|--------------|-----------|-----------|-----------|-----------|-----------|
| DAQSS | 81 | 71 | 78 | 53 | 66 |
| DEMESP | 15 | 25 | 19 | 7 | 20 |
| Autres | 0 | 0 | 1 | 3 | 0 |
| Total | 96 | 96 | 98 | 63 | 86 |

Montant des aides versées en 2013 par les industries aux associations : 5,5 M€

La HAS a reçu mission de publier les montants déclarés par les industries de santé des aides versées aux associations de patients¹². L'année 2013 se caractérise par une augmentation du nombre des déclarations, la hausse du nombre d'associations aidées et une réduction du montant global des aides versées.

En 2013, les industries de santé ont déclaré à la HAS avoir versé 5,5 M€ aux associations de patients et d'usagers. Pour la première fois depuis l'instauration de ce dispositif, le montant global des aides s'inscrit en baisse, de 6 %

comparé à 2012. Le secteur du médicament est à l'origine de cette baisse à hauteur de 9 % de sa contribution. Pour autant, il maintient sa forte présence avec 5,2 M€, soit 93 % des aides versées. La contribution du secteur des dispositifs médicaux et dispositifs médicaux *in vitro* augmente de 9 % à 0,34 M€, ce qui la ramène à son niveau de 2011.

Depuis 2012, les données déclarées par les industriels de santé dans le cadre de la loi Sécurité sanitaire du 29 décembre 2011 sont disponibles en ligne¹³. La HAS rappelle que sa mission, limitée aux seules associations de patients et d'usagers, n'a pas vocation à perdurer.

¹¹ Décret n° 2013-413 du 21 mai 2013 portant approbation de la charte de l'expertise sanitaire prévue à l'article L. 1452-2 du Code de la santé publique.

¹² Mission issue de l'article 84 de la loi HPST, article L. 1114-1 du CSP, dernier alinéa.

¹³ Accessibles sur www.transparence.gouv.fr.

| Répartition des aides par secteur (en %) | 2009 | 2010 | 2011 | 2012 | 2013 |
|--|------|------|------|------|------|
| Médicaments à usage humain | 94,6 | 90 | 92,7 | 94,6 | 93 |
| Dispositifs médicaux et dispositifs médicaux de diagnostic <i>in vitro</i> | 4,2 | 6,1 | 6,0 | 5,25 | 6,1 |
| Autres | 1,1 | 3,9 | 1,3 | 0,14 | 0,9 |

Courriers des usagers : 20 % de croissance sur un an

La croissance continue caractérise l'évolution des demandes reçues par courrier et courriels des usagers :

| Année | Nombre total de demandes | Évolution |
|-------|--------------------------|-----------|
| 2014 | 642 | + 20 % |
| 2013 | 540 | + 44 % |
| 2012 | 375 | - 7 % |
| 2011 | 403 | + 10 % |
| 2010 | 368 | + 20 % |
| 2009 | 309 | |

Les usagers représentent 80 % des demandeurs, les professionnels 10 %, les autres demandes relevant d'autres acteurs ou n'étant pas identifiables. Cette répartition est stable sur les 2 dernières années.

Avec 150 demandes, la certification des établissements de santé représente toujours le premier poste mais baisse en pourcentage sur 3 ans : 23 % en 2014 contre 31 % en 2013 et 40 % en 2012.

Le deuxième poste est constitué des demandes hors périmètre HAS (237 soit 37 %) qui impliquent une réorientation vers d'autres structures publiques nationales (ministère et agences) avec lesquelles des circuits de traitement sont en place. Une réorientation des plaintes portant sur des établissements de santé vers les ARS, lorsque celles-ci relèvent de leur champ de compétences, s'instaure.

Le troisième poste concerne le médicament et les dispositifs médicaux qui représentent 12 % des demandes avec une nette prédominance du médicament (10 %). Certaines demandes portent sur la disponibilité d'un médicament ou d'un dispositif et sont réorientées vers l'ANSM.



Communication et information des publics

La politique de communication et d'information de la HAS a continué à contribuer à l'effort de visibilité de l'institution pour communiquer toujours plus avec les professionnels de santé, notamment avec l'organisation de manifestations nationales et régionales. La HAS a également tenu à rendre ses productions plus lisibles, mais aussi plus accessibles, *via* la mise en ligne de la version mobile de son site Internet. Les activités presse ont montré une nouvelle fois l'intérêt croissant des médias (et de leur lectorat) pour les questions de santé publique.

1

colloque national
« Contribuer
à la régulation
par la qualité
et l'efficience »

2

événements en région
Rencontres régionales :
Marseille
le 6 février 2014
et Strasbourg
le 25 mars 2014

6

participations à
des congrès nationaux

1

nouveau dossier spécial
« Orthopédie et
traumatologie »

3

actualisations
de dossiers spéciaux
« Anesthésie-réanimation »,
« Imagerie médicale »,
« Gynécologie-obstétrique »

■ Événementiel : visibilité nationale, proximité régionale

Contribuer aux débats nationaux sur les thèmes d'actualité du système de santé, et se rapprocher de ses publics, tels sont toujours les objectifs de la politique événementielle.

La HAS a organisé en 2014 un colloque national à la Cité internationale universitaire de Paris, dédié à son projet stratégique « Contribuer à la régulation par la qualité et l'efficience ». Face aux défis que représentent les pathologies chroniques, le vieillissement de la population et le coût des innovations, la HAS souhaite en effet participer à la nécessaire évolution du système de santé pour répondre aux besoins des Français.

Elle s'est dotée d'un projet visant à contribuer à la régulation tant par la qualité et la sécurité des soins que par l'efficience, entendue comme l'utilisation optimale des ressources collectives et individuelles mobilisées.

La HAS a donc fait le point sur ses derniers travaux et dialogué avec le NICE, institution britannique homologue, à l'occasion de ce colloque. Les débats et réflexions se sont articulés autour de trois temps :

- l'efficience au service de la régulation : illustration par les produits de santé ;
- les parcours de soins pour garantir l'efficience des prises en charge ;
- la pertinence des pratiques professionnelles pour dépenser mieux.

Les questions d'organisation et de soutenabilité des systèmes de santé ainsi que l'évaluation économique des traitements ne sont plus des sujets purement nationaux.

En 2014, se sont également tenues deux rencontres régionales : à Marseille en février, et à Strasbourg en mars. Articulées autour d'une séance plénière sur la sécurité du patient et les défis à relever en région, ces rencontres ont permis d'étudier plus précisément des problématiques actuelles :



- les parcours de soins, enjeu de transformation pour la ville et l'hôpital ;
- les conditions de mise en œuvre des recommandations sur la pertinence des soins et des actes ;
- « Scope santé », le site d'information sur la qualité de prise en charge dans les établissements de santé à destination du grand public ;
- l'actualité de la certification.

Depuis 2011, ce sont donc six rencontres régionales qui se sont tenues, au cours desquelles la HAS est allée à la rencontre des professionnels de terrain de toute la France, permettant d'avoir un retour direct sur ses travaux.

► Pour en savoir plus, consulter la [page « Événements » du site Internet de la HAS](#).

■ Congrès et dossiers spéciaux : liens avec les organismes professionnels

La HAS a participé en 2014 à des congrès nationaux tels que le congrès de la médecine générale France, les Salons de la santé et de l'autonomie (SSA), les Journées françaises de radiologie (JFR), le congrès de la Société française de chirurgie orthopédique et traumatologique et les Journées nationales du Collège national des gynécologues et obstétriciens français (CNGOF).

Les salons sont aussi l'occasion de lancer un nouveau dossier spécial ou de promouvoir sa réactualisation. Les dossiers spéciaux, conçus avec les représentants des organismes de la spécialité traitée dans le dossier (collège national, société savante, etc.), permettent d'informer sur les productions de la HAS et de les faire commenter par des experts de la spécialité favorisant ainsi leur appropriation. Depuis 2009, huit dossiers spéciaux ont été réalisés : gynécologie-obstétrique, anesthésie-réanimation,

cardiologie, chirurgie thoracique et cardio-vasculaire, imagerie médicale, pneumologie, rhumatologie et orthopédie & traumatologie. En 2014, un nouveau dossier spécial a été lancé et trois ont été réactualisés.

► Pour en savoir plus, consulter la page « [Congrès-salons](#) » du site Internet de la HAS ainsi que la rubrique « [Dossiers spéciaux](#) » dans le webzine de la HAS.

Internet : une version mobile du site pour une meilleure accessibilité



La HAS, en tant qu'autorité publique indépendante, émet une information de référence et a l'obligation de rendre publiques ses publications scientifiques.

Le site Internet, principal canal de diffusion, a pour objectif de mettre à disposition les productions de l'institution de manière organisée pour en faciliter la lisibilité et l'accessibilité.

Il est organisé en trois piliers métiers :

- Évaluation et recommandation ;
- Certification et accréditation ;
- Outils, guides et méthodes.

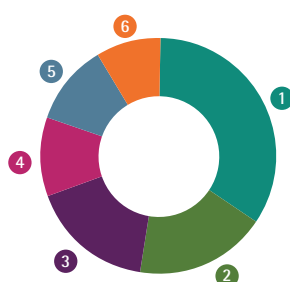
Il est par ailleurs possible d'être informé des nouvelles publications de la HAS par différents moyens tels que alertes e-mail par thèmes

médicaux ou types de publications, flux RSS, lettres d'information électroniques, réseaux sociaux.

Une étude ayant montré que 15 % des visites sur le site provenaient de terminaux mobiles, la HAS a développé une version mobile de son site à la fin de l'année 2014. Cette version propose :

- une présentation simple et structurée ;
- un accueil avec accès thématiques ;
- un moteur de recherche et un menu de navigation toujours accessibles ;
- des repères simples et des raccourcis.

RÉPARTITION DES PAGES VUES PAR ESPACE



- 1 34 % Évaluation Et Recommandation
- 2 18 % Outils, Guides Et Méthodes
- 3 17 % Accréditation Et Certification
- 4 11 % HAS
- 5 11 % Webzine
- 6 9 % Page d'accueil et pied de page

Internet

4 900 000

visites soit près
de **13 400** visites
par jour en moyenne

14 700 000

pages vues
soit une moyenne de
40 000 pages vues par jour

12 200 000

fichiers téléchargés soit
33 400 téléchargements
en moyenne par jour

Réseaux sociaux (au 31 décembre 2014)



18 600 followers
sur Twitter



7 745 fans
sur Facebook



287 vidéos,
69 284 vidéos
vues (**189 000**
vidéos vues depuis
l'ouverture de notre
chaîne)



47 présentations,
136 699 vues sur
Slideshare



7 000 abonnés
sur LinkedIn

Webzine

18 %
de visites en +
par rapport à 2013

588 163
visites soit **1 611** visites
par jour

1 223 591
pages vues soit **3 352** pages
vues par jour

Magazine en ligne : décrypter l'actualité de la HAS

Depuis fin 2011, un webzine concentre la communication sur un support unique en regroupant toutes les lettres périodiques de l'institution.

Il facilite l'accès aux contenus des différents articles, grâce à une double entrée par rubrique et par lettre.

La rédaction d'articles sous un angle journalistique permet de décrypter l'actualité de la HAS.

Il est possible de s'abonner au webzine pour recevoir périodiquement les nouveaux articles et les commenter.

En 2014, une enquête de lectorat et une réflexion sur la gamme lettres et sur le webzine ont été menées afin d'évaluer la perception des internautes.

Les principaux objectifs de ce travail étaient d'améliorer les supports dans une logique utilisateur et de rechercher une optimisation des moyens.

Les résultats de ce travail montrent que les contenus du webzine qui sont à privilégier sont les retours d'expérience et les points de vue des experts de la HAS.

En 2015 les modalités d'intégration des articles dans le webzine devraient évoluer.

Ressources documentaires

La majorité des travaux de la HAS s'appuie sur une analyse des données de la littérature scientifique et le service documentation - veille a pour fonction de rechercher les publications utiles à ces travaux.

En 2014, 279 (242 en 2013) études ont nécessité des recherches et veilles bibliographiques et au total 12 334 (10 471 en 2013) articles ont été fournis pour analyse dans le cadre de ces études.

Le service documentation réalise également une veille sur l'environnement de la HAS et son image par le biais d'une revue de presse quotidienne. En 2014, 8 451 articles ont été mis en revue de presse dont 4 319 citaient la HAS.

Les sujets donnant le plus lieu à des retombées presse sont les évaluations des médicaments (596 articles) et la certification des établissements de santé (368 articles) et les trois études ayant le plus suscité d'articles sont : la recommandation sur l'arrêt du tabac (240 articles), la recommandation de 2012 sur l'autisme de l'enfant (206 articles) et la recommandation sur le dépistage du cancer du sein chez la femme à haut risque (179 articles).

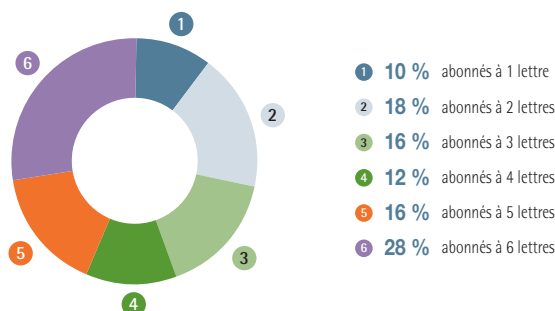
Activité presse en 2014

En 2014, le service presse a accompagné la valorisation des productions de la HAS et sa stratégie avec une cinquantaine de communiqués et sept conférences de presse sur des sujets divers.

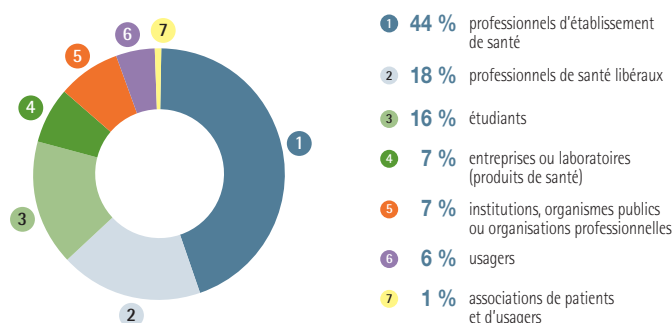
L'année s'est ouverte avec une conférence de presse sur un sujet de santé publique majeur, le sevrage tabagique.

Pour améliorer la diffusion des recommandations sur le rôle important du médecin généraliste dans la lutte contre le tabagisme, le service a réalisé une animation disponible sur le site Internet de la HAS et sur les réseaux sociaux.

NOMBRE D'ABONNEMENTS PAR PERSONNE



RÉPARTITION DES ABONNÉS PAR SECTEUR

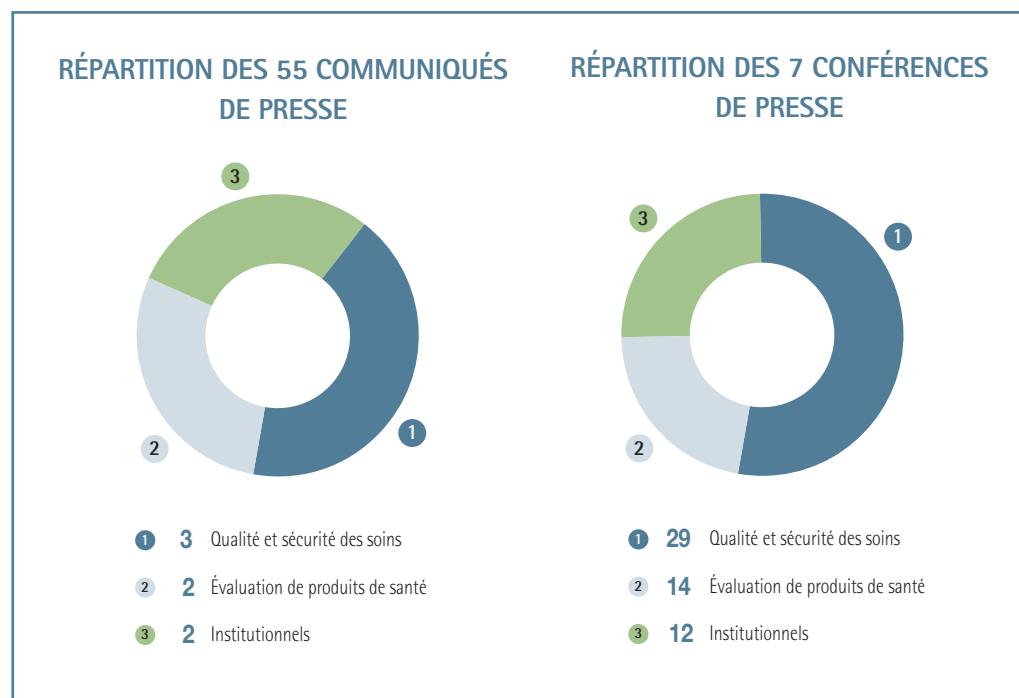


Abonnés aux lettres périodiques

| Lettres | Décembre 2014 | Évolution* |
|------------------------------------|---------------|------------|
| « HAS – Dernières publications »** | 33 761 | 7,76 % |
| « Actualités & Pratiques »** | 33 508 | 8,21 % |
| « I & DPC »** | 28 451 | 4,26 % |
| « Lettre d'information HAS »**** | 20 522 | 12,67 % |
| « Sécurité du Patient »*** | 14 862 | 8,92 % |
| « Certification & Actualités »**** | 10 800 | 32,60 % |

* Augmentation en pourcentage du nombre d'abonnés entre le 1^{er} janvier 2014 et le 1^{er} janvier 2015.

** Lettre mensuelle. *** Lettre bimestrielle. **** Lettre trimestrielle.



De même, l'année s'est conclue par une conférence de presse sur un sujet sociétal majeur : la maltraitance infantile.

Pour accompagner la HAS dans sa politique de diffusion aux professionnels de santé de nouveaux outils sur le repérage et le signalement des cas de maltraitance chez l'enfant (bébé secoué, maltraitance physique ou sexuelle), le service a travaillé en partenariat avec des relais professionnels et institutionnels (ministères de la Santé, de l'Éducation nationale, AP-HP, Cnom, associations d'aide aux victimes, etc.).



Tout au long de l'année, le service presse a également accompagné l'institution dans son positionnement stratégique sur l'évaluation médico-économique et son développement des avis d'efficience.

Plusieurs temps de communication ont ainsi été organisés autour de la position du Collège sur le coût des nouveaux traitements de l'hépatite C, sur les avis d'efficience élaborés sur les produits de santé ainsi que sur une comparaison avec notre homologue britannique, le NICE.

Plusieurs moyens de communication ont également été utilisés : conférences de presse, communiqués, rencontres informelles avec les journalistes, réunion pédagogique sur nos méthodes, etc.

► Pour en savoir plus, consulter l'[Espace Presse](#) du site Internet de la HAS.



Textes législatifs et réglementaires parus en 2014/2015

Lois, décrets et arrêtés

- Loi n° 2014-1654 du 29 décembre 2014 de finances pour 2015.
- Loi n° 2014-1554 du 22 décembre 2014 de financement de la sécurité sociale pour 2015.
- Décret du 17 janvier 2014 portant nomination de membres du collège de la Haute Autorité de santé.
- Décret n° 2014-94 du 31 janvier 2014 abrogeant diverses dispositions relatives aux ressources de la Haute Autorité de santé mentionnée à l'article L. 161-37 du code de la sécurité sociale.
- Décret n° 2014-367 du 24 mars 2014 relatif à la formation des chiropracteurs et à l'agrément des établissements de formation en chiropraxie.
- Décret n° 2014-1359 du 14 novembre 2014 relatif à l'obligation de certification des logiciels d'aide à la prescription médicale et des logiciels d'aide à la dispensation prévue à l'article L.161-38 du code de la sécurité sociale.
- Arrêté du 11 février 2014 fixant les conditions dans lesquelles l'établissement de santé met à la disposition du public les résultats publiés chaque année des indicateurs de qualité et de sécurité des soins.
- Arrêté du 24 mars 2014 relatif à la formation des chiropracteurs et à l'agrément des établissements de formation en chiropraxie.
- Arrêté du 1^{er} août 2014 modifiant l'arrêté du 19 août 1970 portant création d'une commission des comptes de la santé.
- Arrêté du 23 octobre 2014 modifiant l'arrêté du 31 décembre 2009 relatif à la procédure applicable aux protocoles de coopération entre professionnels de santé.
- Arrêté du 29 décembre 2014 fixant pour l'année 2014 le montant de la dotation des régimes obligatoires d'assurance maladie versée à la Haute Autorité de santé.

Principales décisions de la HAS

a. Décisions publiées au Journal officiel de la République française.

- Décision n° 2014.0013/DP/SG du 5 mars 2014 du président de la Haute Autorité de santé relative à l'indemnisation des experts-visiteurs.
- Décision n° 2014-0202/DC/MSP du 8 octobre 2014 du collège de la Haute Autorité de santé adoptant la procé-

dure d'accréditation des médecins et des équipes médicales.

- Décision n° 2014.0031/DP/SG du 26 novembre 2014 du président de la Haute Autorité de santé relative à l'indemnisation des experts-visiteurs.
- Décision n° 2014.0250/DC/SJ du 10 décembre 2014 adoptant le règlement intérieur du collège.
- Décision n° 2015.0003/DC/MSP du 7 janvier 2015 du collège de la Haute Autorité de santé adoptant le cahier des charges des organismes agréés pour l'accréditation des médecins et des équipes médicales.
- Décision n° 2015.0002/DC/MSP du 7 janvier 2015 du collège de la Haute Autorité de santé adoptant la procédure d'agrément des organismes pour l'accréditation des médecins et des équipes médicales.

b. Décisions publiées au Bulletin santé – protection sociale – solidarité

- Décision n° 2014-0010 DC/DG du 5 février 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination du président de la commission d'évaluation économique et de santé publique.
- Décision n° 2014-0011 DC/DG du 5 février 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination du président de la commission de la transparence.
- Décision n° 2014-0012 DC/DG du 5 février 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination du président de la commission de la certification des établissements de santé.
- Décision n° 2014-0013 DC/DG du 5 février 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination du président de la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et technologies de santé.
- Décision n° 2014-0019 DP/SG du 30 avril 2014 du président de la Haute Autorité de santé portant organisation générale des services de la Haute Autorité de santé.
- Décision n° 2014-0025/DC du 19 février 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant prolongation dans leurs fonctions des membres de la commission de certification des établissements de santé.
- Décision n° 2014-0026/DC/DG du 19 février 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant indemnisation des membres du comité déontologie et indépendance de l'expertise.

- Décision n° 2014-0027 DC/SBPP du 19 février 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination d'un membre de la commission recommandations de bonne pratique.
- Décision n° 2014-0040 DC/MJ du 5 février 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant adoption du règlement intérieur de la commission évaluation économique et santé publique (CEESP).
- Décision n° 2014-0052 DC/SEM du 5 mars 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination des membres de la commission de la transparence prévue à l'article R. 163-15 du code de la sécurité sociale.
- Décision n° 2014-0066 DC/SEM du 19 mars 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination d'un membre de la commission de la transparence prévue à l'article R. 163-15 du code de la sécurité sociale.
- Décision n° 2014-0081 DC/SCES du 9 avril 2014 du collège de la Haute Autorité de santé adoptant le règlement intérieur de la commission de certification des établissements de santé.
- Décision n° 2014-0127 DC/SCES du 18 juin 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination des membres de la commission de certification des établissements de santé.
- Décision n° 2014-0206 DC/SCES du 15 octobre 2014 du collège de la Haute Autorité de santé modifiant le règlement intérieur de la commission de certification des établissements de santé adopté par décision n° 2014-0081 DC/SCES du 9 avril 2014.
- Décision n° 2014-0229 DC/SED du 12 novembre 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination d'un membre de la Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et technologies de santé mentionnée à l'article L. 165-1 du code de la sécurité sociale.
- Décision n° 2014.0251/DC du 10 décembre 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination du président de la commission des pratiques et des parcours.
- Décision n° 2014.0252/DC du 10 décembre 2014 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination du président de la commission des stratégies de prise en charge.
- Décision n° 2015.0006/DC du 21 janvier 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination des membres de la commission des stratégies de prise en charge.
- Décision n° 2015.0007/DC/SJ du 21 janvier 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination des membres de la Commission d'évaluation économique et santé publique.



Fonctionnement

■ Ressources humaines

L'année 2014 a été marquée par le développement de la démarche GPEEC (gestion prévisionnelle des emplois, des effectifs et des compétences) et sa diffusion dans un grand nombre de processus RH, désormais orientés vers une logique « compétences ».

Ainsi, le processus de recrutement a-t-il vu évoluer le formulaire d'expression du besoin de recrutement et le formulaire d'expression de la candidature.

Outre le fait que ces deux formulaires s'appuient sur des fiches emplois définies au regard des métiers de l'institution, ils se fondent aussi sur une approche « compétences » dans l'analyse du besoin de recrutement et l'expression des candidatures.

L'évaluation du personnel a également été impactée par la mise en œuvre de la GPEEC et par l'introduction des fiches emplois. De fait, les agents ont été invités à prendre appui sur leur fiche emploi de référence pour leur évaluation 2014.

S'agissant de la formation, les besoins exprimés sont désormais analysés à la faveur des fiches emplois de référence venant définir les compétences attendues. 784 actions de formation ont été conduites en 2014.

Enfin, la mise en œuvre de la GPEEC s'est traduite par le paramétrage et l'intégration du répertoire des fiches emplois dans le système d'information sur les ressources humaines.

D'autres activités en lien avec la démarche GPEEC ont été conduites : la réalisation d'un module *e-learning*, l'élaboration d'un référentiel des activités et des compétences managériales notamment.

Le recrutement et la mobilité interne sont demeurés très actifs en 2014, puisque au regard d'un effectif global de 400 agents, 28 recrutements (dont 11 à durée déterminée) sont intervenus et 13 agents de l'institution ont évolué au sein de celle-ci. Vingt stagiaires, dont 7 au titre d'un stage d'internat, ont également rejoint la HAS.

En 2014, 33 réunions des instances de représentation du personnel ont eu lieu et 18 réunions de la direction avec les organisations syndicales ont permis de discuter de 11 thématiques relatives à la gestion des ressources humaines.

■ Systèmes d'information

L'année 2014 se caractérise par la consolidation de l'infrastructure existante, notamment l'augmentation du volume des disques, la sécurisation des environnements, l'extension du wi-fi au 1^{er} étage (siège), le déploiement d'une nouvelle flotte de téléphones, et la migration des photocopieurs. Les projets de communication unifiée (*Exchange*) et de « sécurité » ont été confirmés.

Les activités de l'unité applications se sont concentrées sur la maintenance des applications informatiques de la HAS et sur la mise en œuvre d'évolutions, notamment :

- le déploiement des premières fonctionnalités SARA V2014 (rapport de visite, compte qualité) et l'élaboration des spécifications pour le rapport de certification ;
- le lancement de la refonte de l'application SIAM (système d'information de l'accréditation des médecins) avec une date prévisionnelle de mise en production au dernier trimestre 2015 ;
- l'intégration de la mission sécurité du patient au périmètre d'EVAMED ;
- la mise en production du site Internet mobile de la HAS en décembre 2014 ;
- la refonte de la page d'accueil de SIDOC (portail documentaire) avec l'appui d'une assistance à maîtrise d'ouvrage ;
- la mise en place du nouveau logiciel budgétaire et comptable (WIN M9) ;
- le renouvellement du marché de la tierce maintenance applicative (juin 2014) de l'application GRaAL (gestion rationalisée des avis de lecture) – et la mise en place d'un webservice entre GRaAL et REFEX ;
- la virtualisation des serveurs SIRH et le paramétrage de la GPEEC.

■ Logistique et marchés publics

Pôle logistique

Axe environnemental

En janvier 2014, dans le cadre de l'amélioration des conditions de travail, le pôle logistique a mis en œuvre le réaménagement de bureau de 145 collaborateurs. Seize services ont été impactés sur les deux sites. Cette démarche avait pour but d'une part une meilleure synergie entre les services métiers et d'autre part de se projeter,

dans la perspective du regroupement de la HAS sur un site unique fin 2015. Dans le cadre du renouvellement du parc d'impression, le dimensionnement des équipements de reprographie et copieurs d'étage a été revu : 15 copieurs d'étage au lieu de 19, en adaptant le niveau de performance des matériels (standardisation des équipements, numérisation couleur, etc.).

Cette démarche est en adéquation avec l'évolution des demandes d'impressions : 7 111 500 copies en 2013 contre 5 307 660 en 2014, soit une baisse d'environ 30 %.

La consommation de papier a diminué dans le même temps de 20 %, passant ainsi de 20 ramettes par collaborateur par an en 2013 à 15 ramettes en 2014.

Le flux des affranchissements de courrier a été divisé de moitié en 5 ans.

Les actions en faveur du développement durable ont été prises en compte, par la mise en œuvre de l'affranchissement en lettre verte, ce qui représente 78 % des envois (réduction des coûts et moyens de transport moins polluants).

Pôle achats et marchés publics

Le pôle achats et marchés publics a assuré sa mission de conseil et d'assistance auprès des directions et des services pour la passation de leurs marchés (24 procédures en 2014).

L'objectif du pôle est de concilier toujours mieux efficacité et sécurité juridique tout en optimisant les dépenses publiques et en préservant la qualité.

Dans le cadre du projet immobilier *Green Corner*, le pôle a mis en œuvre deux procédures de marchés pour des missions d'accompagnement d'une part, pour l'aménagement des espaces et, d'autre part, pour la définition et l'acquisition de mobiliers adaptés à ces nouveaux locaux.

Il a par ailleurs planifié l'ensemble des procédures de consultations liées à l'intégration de la HAS dans ce nouveau bâtiment (déménagement, contrat multitechnique, nettoyage, équipement informatique, aménagement des salles de réunions, téléphonie, etc.).

Section archives

Activité générique : 250 mètres linéaires versés, 255 mètres linéaires détruits et 1 454 documents communiqués et réintégrés.

Activité spécifique : deux fonds d'archives historiques ont été envoyés aux Archives nationales avec 1 742 dossiers d'archives décrits.

Ressources et pilotage de la performance de la HAS

Fixé à 59,549 M€, le budget primitif de la HAS pour 2014 est en recul de 1 % par rapport à l'exercice antérieur (60,235 M€).

Le taux d'exécution global s'établit à 90 % avec un niveau de dépenses à 53,421 M€, en baisse de 4 % par rapport à 2013. Cela s'explique par la baisse conjoncturelle des dépenses relatives à l'activité de certification des établissements de santé.

En effet, 2014 est l'année de transition vers la nouvelle démarche de certification fondée sur le compte qualité.

Ainsi, le volume d'activité enregistré correspond à la fin de la procédure V2010 avec un nombre de visites moins important. L'activité retrouvera son niveau à partir de 2015.

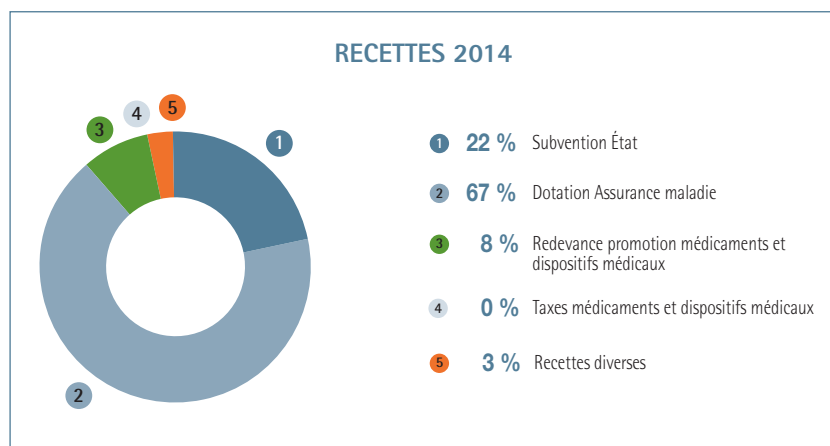
La HAS a aussi poursuivi ses efforts de maîtrise et de stabilisation des dépenses initiés en 2010.

Les dépenses d'investissement sont exécutées à hauteur de 2,759 M€. Elles sont principalement liées à l'évolution de l'application dédiée à la certification des établissements de santé avec la préparation du déploiement de la version « V2014 ».

D'ailleurs, anticipant cette évolution, le budget d'investissement a augmenté de 56 %, passant de 2,452 M€ à 3,431 M€ entre 2013 et 2014. Son taux d'exécution est de l'ordre de 80 % contre 38 % en 2013.

| Recettes | Exécution 2013 (€) | Budget (€) prévisionnel 2014 | Exécution 2014 (€) |
|--|--------------------|---------------------------------|--------------------|
| Subvention État | 4 768 000 | 14 388 583 | 11 011 200 |
| Dotation Assurance maladie | 19 476 000 | 38 717 166 | 34 468 000 |
| Redevance promotion médicaments et dispositifs médicaux* | 35 057 401 | | 3 952 357 |
| Taxes médicaments et dispositifs médicaux* | 3 718 132 | | 48 540 |
| Recettes diverses | 1 543 478 | 1 392 483 | 1 534 243 |
| TOTAUX | 64 563 011 | 54 498 232 | 51 014 339 |

* Ces taxes ne sont plus reversées à la HAS à partir de 2014. Toutefois la HAS a perçu en 2014 le reliquat au titre de l'exercice 2013.



En ce qui concerne les recettes, l'élaboration du budget 2014 a été impactée par la réforme des modalités de financement de la HAS prévue dans le cadre du PLFSS :

- la fraction de la taxe sur les dépenses de promotion des laboratoires sur les médicaments et les dispositifs est rebudgétisée dans le cadre d'une « enveloppe globale » ;
- les « taxes guichet » ne sont plus recouvrées par la HAS, les laboratoires continuent de déposer leurs dossiers à la HAS, mais le recouvrement des taxes est effectué par les services de la Direction générale des finances publiques (DGFiP), au profit de la CNAMTS.

Cette rebudgétisation entraîne une majoration de la subvention de l'État et de la dotation de l'Assurance maladie pour la HAS, respectivement augmentées de 10 M€ et 20 M€ en 2014.

Après application d'une réduction de 7 % au titre de la réserve de précaution et d'un gel supplémentaire, les subventions de l'État et de l'Assurance maladie sont respectivement passées de 14,389 M€ à 11,011 M€, et de 38,717 M€ à 34,468 M€. En conséquence, les recettes en 2014 s'établissent à 51,014 M€ dont le détail est présenté dans le tableau en page 57.

Appui juridique

Le service juridique a poursuivi ses activités de conseil et de contrôle interne auprès du Collège, des commissions spécialisées, de la direction et des services.

Il a, par ailleurs, élaboré des partenariats avec les sociétés savantes et conseils nationaux professionnels de spécialité en vue de renforcer la mise en œuvre par les professionnels de santé des recommandations, outils et méthodes élaborés par la HAS. Enfin, il a poursuivi sa mission d'information des collaborateurs de la HAS sur les évolutions législatives et réglementaires concernant l'exercice de leurs missions.

Tableau de bord de gestion

La dépense nette globale (après retraitement en comptabilité de gestion) est passée de 52,924 M€ en 2013 à 51,601 M€ en 2014, soit une baisse de 2,5 %.

Le déploiement de la V2014 a engendré une hausse des dépenses d'investissement dans le but de faire évoluer le logiciel dédié à l'activité de certification des établissements de santé. Le travail relatif à la montée en charge de la V2014 combiné à la fin de la V2010 a occasionné une baisse des dépenses liées aux visites de certification.

Le nombre de visites initiales a en effet été divisé par 2 par rapport à 2013, entraînant une baisse des dépenses de rémunération des experts visiteurs (- 1,210 M€), de déplacements et d'hébergement (- 0,612 M€) et de dédommagements des établissements de santé (- 0,393 M€).

Concernant les autres indicateurs de performance, en 2014 :

- le nombre d'avis rendus dans le cadre de l'activité d'évaluation des médicaments selon la procédure d'instruction complète atteint son plus haut niveau depuis plusieurs années (220) et a pour conséquence une baisse du coût unitaire qui passe de 18 k€ à 15 k€ ;
- le nombre d'avis sur les dispositifs médicaux augmente, avec un délai et un coût unitaire moyens stables ; le nombre de rapports d'évaluation des dispositifs médicaux est quant à lui en baisse, avec un délai et un coût unitaire de production en baisse également ;
- contrairement à l'an dernier, le nombre de recommandations en santé publique est en baisse, passant de 19 en 2013 à 7 en 2014. Cette évolution s'explique par le caractère cyclique de ce type de réalisation qui enregistre un délai moyen de production stable, autour de 21 mois ;
- le nombre de recommandations de bonnes pratiques publiées passe de 2 en 2013 à 7 en 2014 et celui des guides d'information du patient de 2 à 4 ;
- concernant les ALD, le nombre d'actualisations des actes et prestations est stable, avec un délai de production en baisse de 1 mois (140 jours contre 167 jours en 2013) et un coût de production en baisse également de près de 20 % ;
- d'autres types de productions sont montés en charge : les guides et documents d'accompagnement des parcours (12 contre 5 en 2013) ainsi que les fiches points clés et solutions (7 contre 2 en 2013).

Tableau de bord de gestion – Résultats 2014

| | | | | | | |
|------------|----------------------------------|-----------|-------|--|---|---|
| Global HAS | Dépense nette HAS <i>dont</i> | 51 601 k€ | 100 % | ÉVALUATION DES ACTES ET PRODUITS ET RECOMMANDATIONS Évaluation des médicaments Évaluation des dispositifs Évaluation des actes et technologies Recommandations en santé publique Recommandations professionnelles Outils de bonnes pratiques | PARCOURS ET PRATIQUES Listes d'actes et prestations Guides et documents d'accompagnement des parcours | ÉVALUATION HOSPITALIÈRE ET RISQUES Certification des établissements de santé Accréditation des médecins Amélioration de la qualité en santé publique |
| | Personnel permanent | 30 109 k€ | 58 % | | | |
| | <i>dont Métier</i> | 19 614 k€ | | | | |
| | Expert | 4 022 k€ | 8 % | | | |
| | <i>dont Métier</i> | 3 960 k€ | | | | |
| | Fonctionnement | 14 711 k€ | 29 % | | | |
| | Investissement | 2 759 k€ | 5 % | | | |

| DÉPENSE GLOBALE (en K€) | | 51 601 | 100 % | 20 785 | 40 % | 5 909 | 11 % | 24 908 | 48 % |
|-----------------------------|--------------------------|--------|--------|--------|--------|-------|--------|--------|--------|
| <i>dont</i> | | | | | | | | | |
| Métiers | Personnel permanent | 19 614 | 38,0 % | 9 928 | 50,6 % | 2 733 | 13,9 % | 6 953 | 35,4 % |
| | Personnel expert | 3 960 | 7,7 % | 677 | 17,1 % | 232 | 5,9 % | 3 051 | 77,0 % |
| | Exploitation courante | 7 217 | 14,0 % | 2 592 | 35,9 % | 598 | 8,3 % | 4 027 | 55,8 % |
| Supports | Personnel permanent | 5 874 | 11,4 % | 2 591 | 44,1 % | 855 | 14,6 % | 2 427 | 41,3 % |
| | Exploitation courante | 9 535 | 18,5 % | 2 820 | 29,6 % | 872 | 9,1 % | 5 843 | 61,3 % |
| Administration et pilotage* | Personnel + exploitation | 5 402 | 10,5 % | 2 176 | 40,3 % | 619 | 11,5 % | 2 608 | 48,3 % |

| PRODUCTIONS 2014 | Nbre | Délai (j) | Coût (k€) | Nbre | Délai (j) | Coût (k€) | Nbre | Délai (j) | Coût (k€) |
|---|------|-----------|-----------|------|-----------|-----------|-------|-----------|-----------|
| Avis sur les médicaments (procédure d'instruction complète) | 220 | 113 | 15 | | | | | | |
| Avis sur les dispositifs | 195 | 86 | 15 | | | | | | |
| Rapports d'évaluation des dispositifs médicaux (hors phase contradictoire et saisine) | 5 | 369 | 158 | | | | | | |
| Rapports d'évaluation des actes et technologies | 14 | 514 | 279 | | | | | | |
| Avis courts** | 32 | 66 | 6 | | | | | | |
| Rapports d'évaluation médico-éco/recommandations en santé publique | 7 | 634 | 384 | | | | | | |
| Référentiels concernant la durée d'arrêt de travail | 3 | 156 | 16 | | | | | | |
| Recommandations de bonnes pratiques (méthode RPC) | 7 | 486 | 297 | | | | | | |
| Guides d'information du patient | 4 | 122 | 30 | | | | | | |
| Fiches mémo | 5 | 236 | 37 | | | | | | |
| Listes d'actes et prestations actualisées | | | | 18 | 140 | 13 | | | |
| Guides du parcours de soins | | | | 7 | 247 | 135 | | | |
| Documents d'accompagnement des parcours | | | | 5 | 361 | 40 | | | |
| Fiches points clés et solutions | | | | 7 | 416 | 142 | | | |
| Avis HAS sur référentiels CNAMTS | | | | 5 | 74 | 15 | | | |
| Médecins accrédités*** | | | | | | | 1 076 | | |
| Thèmes concernés par le recueil d'indicateurs**** | | | | | | | 8 | | |
| Indicateurs recueillis**** | | | | | | | 28 | | |
| Visites de certification des établissements de santé***** | | | | | | | 307 | | 33 |

* Administration et pilotage = présidence + Collège + direction HAS + agence comptable ; ** 32 avis courts dont 24 suite à saisine de l'UNCAM et 8 en autosaisine ;

*** Il s'agit des certificats d'accréditation délivrés en 2014 sur un total de 13 346 délivrés depuis le début de la démarche. Au 31 décembre 2014, 9 386 médecins sont actifs dans la démarche d'accréditation, dont 7 463 accrédités et 1 923 engagés ; **** 28 indicateurs recueillis dont 20 obligatoires (6 thèmes concernés) et 8 optionnels (2 thèmes concernés) ;

***** Il s'agit des visites initiales, auxquelles s'ajoutent 127 visites de suivi, soit un total de 434 visites.

NB : le nombre de rapports/recommandations désigne les études publiées courant 2014, et ne tient pas compte des études en cours de production.



Compte financier 2014

Rapport de présentation

Article R. 161-90 du Code de la sécurité sociale

DU BUDGET AU COMPTE FINANCIER

Tableau de liaison entre prévisions budgétaires de dépenses et exécution selon le compte financier

La comparaison taux de prévision/exécution bâtie par compte à deux chiffres dans le tableau en annexe 1 situe les différences observées pour 2014 et le tableau en annexe 3 présente le poids relatif des dépenses en volume :

- le taux d'exécution en investissement est important et atteint 81 % et un volume de dépenses de 2,7 M€ alors qu'il était de plus ou moins 1 M€ sur les 2 dernières années. Cet exercice supporte principalement la mise en place des spécifications liées à la procédure de certification V2014 dans le logiciel SARA ;
- engagée depuis 2012 la contraction de l'exécution en fonctionnement se poursuit. Celle-ci est constatée aussi bien en volume où les dépenses ont été ramenées à 50,6 M€ en 2014 contre 54,7 millions en 2013 et 56,8 M en 2012 qu'en taux d'exécution qui dépasse à peine 90 % contre 94,66 % en 2013. Cette baisse est d'autant plus significative que la prévision budgétaire de 2014 était en retrait de 2 M€ au budget primitif ramenée à 1,6 M€ après décision modificative.

Le taux de consommation des crédits ouverts par le Collège au titre des charges courantes de fonctionnement tels que les frais de location, l'entretien, l'exploitation (chapitres 60 et 61) se situe avec un peu plus de 95 % à un niveau tout à fait correct démontrant des prévisions budgétaires ajustées.

Pour les services dits extérieurs agréant frais de mission, déplacements, représentation on constate surtout des réductions de dépenses entre 2013 et 2014.

Le poste honoraire (compte 6226) baisse en 2014, la dépense due à la réinstallation prochaine de la Haute Autorité de santé a été supportée sur l'exercice 2013, tout comme les subventions accordées (compte 6715) avec la mise en place de « Scope santé » en 2013.

Les postes liés à la mise en place de la version 2014 pour la certification qui démarre ont chuté en 2014 aussi bien pour les dédommagements

des établissements (compte 62142) de presque 50 % que pour les frais de mission des agents (compte 62561) d'un quart. Les rémunérations des personnels, les personnels mis à disposition et les charges salariales absorbent 70 % des charges de fonctionnement. Leur poids s'élève dans le total des coûts d'exploitation mais cela tient à la réduction des dépenses globales car en volume elles diminuent de 1,5 M€ soit 4 % de moins par rapport à l'exercice 2013, sachant qu'elles avaient également baissé en volume de presque 2 % entre 2012 et 2013.

L'origine et la structure des ressources effectives de la HAS (annexe 4)

Dotation ÉTAT : la subvention de l'État versée s'est élevée à 11 011 200 € pour un budget voté de 14 388 583 €.

Dotation CPAM : l'arrêté du 29 décembre 2014 fixe la dotation des régimes obligatoires de l'Assurance maladie versée à la HAS à la somme de 34 468 000 €. Cette somme intègre la dotation versée au titre de la procédure de certification prévue aux articles L. 6113-3, L. 6113-4 et L. 6322-1 du CSP pour un montant de 9 940 000 €.

La contribution au fonctionnement de la HAS s'élève à 24 528 000 € compensant la suppression du financement de la HAS par les contributions ACOSS.

Contribution ACOSS : la HAS percevait jusqu'à l'année 2013 une partie du produit de la contribution prévue aux articles L. 245-1 à L. 245-5-1 A du CSS et de la contribution des entreprises assurant la fabrication, l'importation ou la distribution en France de dispositifs médicaux à usage individuel, de tissus et cellules issus du corps humain.

En 2013, le rendement de cette taxe a procuré une ressource de 26 655 283,73 € après notification des encaissements à fin décembre 2013 et l'inscription d'un produit à recevoir de 8 402 116,80 € suite à la notification de l'ACOSS faite le 19 février 2014.

Les encaissements totaux perçus en 2014 se sont élevés à 12 354 473,35 €.

La différence entre le montant comptabilisé en 2013 au titre des produits à recevoir et le montant réellement constaté a donné lieu à la comptabilisation d'un titre de recettes sur l'exercice 2014 pour 3 952 356,55 €.

Ressources propres : jusqu'au 31/12/2013, la HAS percevait directement deux taxes, l'une prévue par l'article L. 5123-5 du CSP lors d'une

demande d'inscription, de renouvellement d'inscription ou de modification d'inscription de certains médicaments, et l'autre prévue par l'article L. 5211-5-1 du CSP concernant les demandes d'inscription ou de modification des conditions d'inscription de certains dispositifs médicaux à usage individuel.

L'article 11 de la loi de financement de la sécurité sociale pour 2014 a transféré, à compter du 1^{er} janvier 2014, le recouvrement de ces taxes à la Direction générale des finances publiques (DGFIP).

Le produit de ces taxes avait représenté pour 2013 un montant de 3 718 000 € dont la compensation est prévue à travers la subvention de l'État et la dotation de l'Assurance maladie.

Les flux de trésorerie de la HAS (annexe 2)

La trésorerie a généré en 2014 des revenus de placement de 42 091,15 € versés par l'ACOSS au titre des intérêts qu'elle perçoit sur les fonds conservés, par convention, pour le compte de la HAS.

LE COMPTE FINANCIER ET LA SITUATION FINANCIÈRE GLOBALE À FIN 2014

| Les résultats de l'activité 2014 (annexe 5) | |
|--|-------------------|
| Le compte d'exploitation 2014 restitue tous les flux financiers générés par les missions de la HAS : | |
| • Les créances constatées par un « titre » forment un produit global de : | + 51 014 339,47 € |
| • Les charges assumées représentent au total une dépense de : | - 50 661 406,18 € |
| Par différence le résultat d'exploitation ressort à : | + 352 933,29 € |
| Pour déterminer la capacité d'autofinancement (CAF) il convient de partir du résultat d'exploitation | + 352 933,29 € |
| D'intégrer les dotations qui ne génèrent pas de sorties de fonds et restent à disposition à savoir : | |
| • les amortissements pour : | + 1 157 130,62 € |
| De déduire : | |
| • la quote-part de subvention d'investissement sur RA : | - 37 135,20 € |
| • le produit de cession d'actif : | - 95,66 € |
| La capacité d'autofinancement s'établit donc à : | + 1 472 833,05 € |

| | |
|---|------------------|
| De la capacité d'autofinancement à l'augmentation du fonds de roulement | + 1 472 833,05 € |
| Les investissements (acquisitions de logiciels, matériels informatiques, concessions de droits et immobilisations corporelles), en valeur nette d'amortissements et de cessions, contribuent à la diminution de fonds de roulement pour : | - 2 739 610,41 € |
| En revanche, il convient : | |
| • d'ajouter l'excédent des échéances d'emprunt remboursées par rapport aux prêts consentis pour : | + 25,44 € |
| • d'ajouter le produit de cession d'actif : | + 95,66 € |
| En définitive le montant de l'insuffisance des recettes de l'année ampute le fonds de roulement qui diminue de : | - 1 266 656,26 € |

| La structure financière à la clôture de l'exercice 2014 (annexe 6) | |
|---|--|
| La qualité de la structure financière s'apprécie à partir du bilan. Ce document récapitule tous les droits et obligations de la HAS et décrit les moyens financiers dont l'institution a pu disposer pour exercer ses missions. | |
| L'équilibre global du bilan se construit à partir d'excédents ou de déficits intermédiaires dont l'analyse renseigne sur la situation financière et le degré de fluidité de la trésorerie. | |
| NB : L'agence comptable n'a pas connaissance d'éventuels engagements hors bilan (garanties, cautions accordées, etc.). | |

A/ Ressources et emplois à caractère stable : évolution 2012/2014

| | |
|--|-----------------------------|
| Les capitaux permanents dont la HAS pouvait disposer à fin 2012 atteignaient | 49 639 673,45 € |
| Le résultat d'exploitation de l'exercice 2013 | 9 864 174,23 € |
| Augmenté de la dotation aux amortissements de 2013 conservée pour renouveler et entretenir le patrimoine | + 1 875 978,73 € |
| Accru du financement rattaché à des actifs sur ressource affectée | + 14 280,96 € |
| Du produit de cession d'actif | 191,32 € |
| Déduction faite de la réintégration d'amortissement pour mise au rebut | - 36 786,88 € |
| Diminué de : • la quote-part rattachée à des actifs sur RA • du produit de cession d'actif | - 29 994,73 € - 191,32 € |
| Augmente la masse des « capitaux permanents » dont la HAS peut disposer en propre pour la porter fin 2013 à : | 61 327 325,76 € |
| Le résultat d'exploitation de l'exercice 2014 | 352 933,29 € |
| Augmenté de la dotation aux amortissements de 2014 | 1 157 130,62 € |
| Accru du produit de cession d'actif | 95,66 € |
| Déduction faite de la réintégration d'amortissement pour mise au rebut | - 88 500,08 € |
| Diminué de : • la quote-part rattachée à des actifs sur RA • du produit de cession d'actif | - 37 135,20 € - 95,66 € |
| Augmente la masse des « capitaux permanents » dont la HAS peut disposer en propre pour la porter fin 2014 à : | 62 711 754,39 € |
| Par ailleurs, les installations, matériels et mobiliers, accrus des actifs financiers que sont les prêts et dépôts versés forment, en valeur brute, un actif dit immobilisé de : | - 17 125 178,55 € |
| Cette consommation des capitaux permanents laisse un fonds de roulement net global (FRNG) disponible de : | 45 586 575,84 € |

B/ Besoin en fonds de roulement et niveau de fluidité de la trésorerie

Besoin en fonds de roulement (BFR)

Il est déterminé par :

| | |
|---------------------------------------|-------------------|
| L'excédent des créances à court terme | + 39 730 519,77 € |
| Sur les dettes à court terme | - 6 874 453,98 € |
| Soit : BFR positif de : | + 32 856 065,79 € |

Ainsi au 31/12/2014

| | |
|---|-------------------|
| Le fonds de roulement net global (FRNG) | + 45 586 575,84 € |
| Le besoin en fonds de roulement (BFR) | - 32 856 065,79 € |
| Assure une trésorerie nette de : | + 12 730 510,05 € |

Trésorerie nette :

À la clôture de l'exercice 2014 :

| | |
|--|-----------------|
| • Les placements | 0 € |
| • Les avoirs déposés au Trésor public | 13 746 551,17 € |
| • La caisse | 411,85 € |
| • Les chèques à l'encaissement | 0 € |
| • Moins les chèques émis | 1 016 452,97 € |
| • Constituent une trésorerie active de : | 12 730 510,05 € |

VOTES PROPOSÉS AU COLLÈGE

Au terme de ce rapport de présentation du compte financier 2014, il appartient au Collège de délibérer sur :

Le total général des opérations de l'exercice 2014 (sections de fonctionnement et d'investissement) qui est arrêté :

| | |
|---------------------------------|-----------------|
| En dépenses de fonctionnement à | 50 661 406,18 € |
| En recettes de fonctionnement à | 51 014 339,47 € |
| En dépenses d'investissement à | 2 739 610,41 € |

Le montant et l'affectation des résultats de l'exercice 2014 (1^{re} section)

| | |
|--|-------------------|
| Le résultat d'exploitation est arrêté à | 352 933,29 € |
| Ce montant abonde les réserves au 31/12/2013 | + 49 365 498,03 € |
| Pour atteindre au 31/12/2014 | 49 718 431,32 € |

À ces réserves s'ajoutent :

| | |
|---|-------------------|
| La recette de financement rattachée à des actifs sur ressource affectée | + 75 118,53 € |
| Les amortissements cumulés de | + 12 985 548,21 € |
| Diminués de la quote-part rattachée à des actifs sur ressource affectée | - 67 343,67 € |
| Constituant les ressources stables à hauteur de | 62 711 754,39 € |
| Les amortissements finançant l'actif immobilisé d'un montant cumulé de | - 17 125 178,55 € |
| Et sont disponibles pour | 45 586 575,84 € |

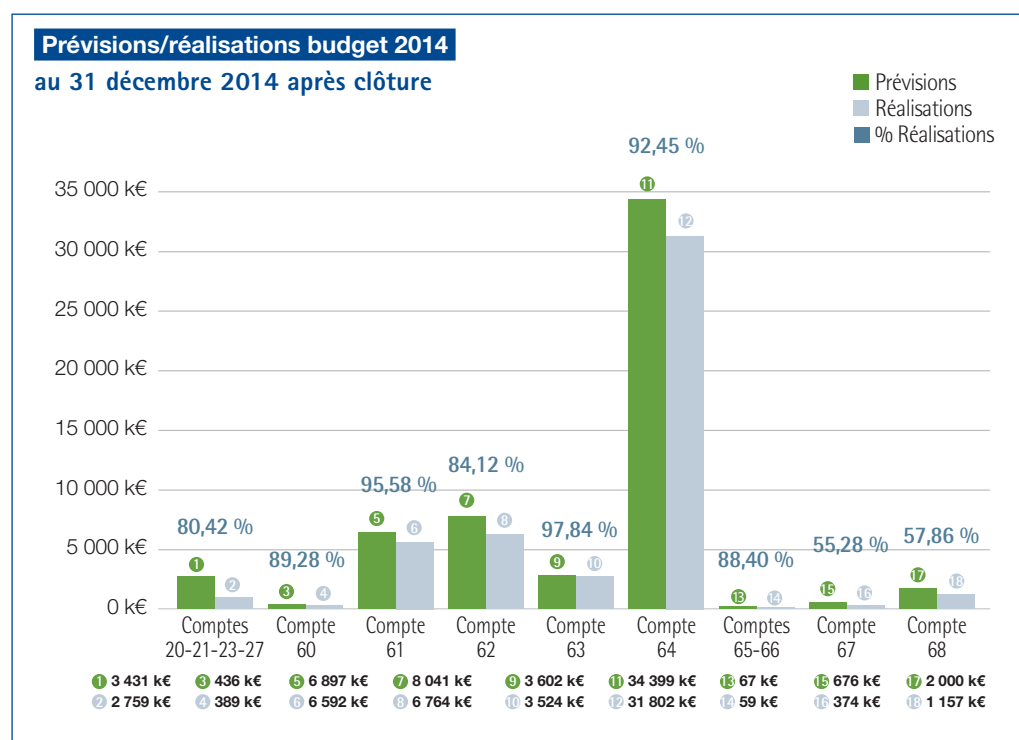
Les durées d'amortissement

Elles sont conformes au règlement comptable et financier de la HAS.

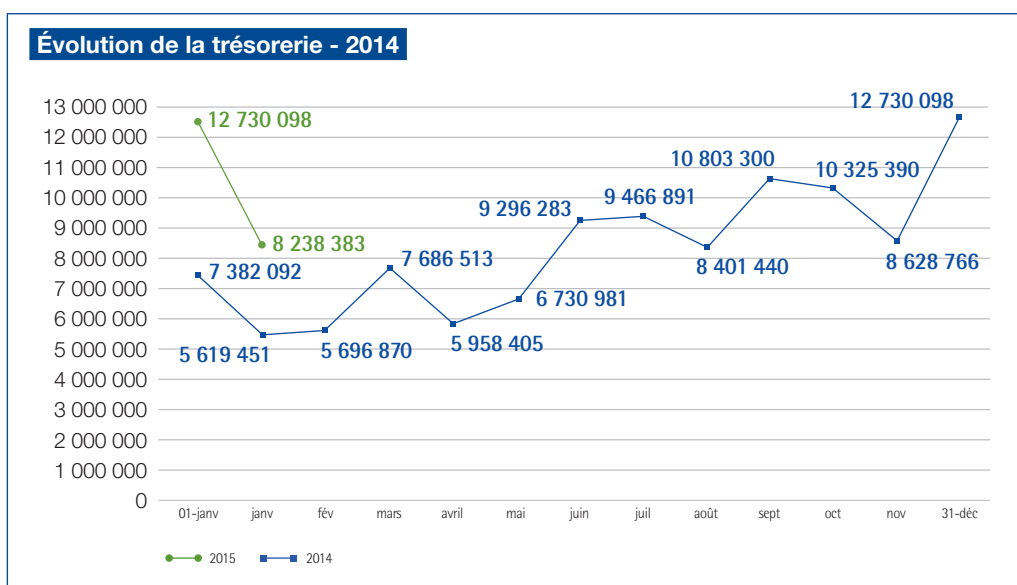
VOTE DU COLLÈGE

Le Collège de la Haute Autorité de santé, ayant valablement délibéré en sa séance du 1^{er} avril 2015, approuve à l'unanimité le compte financier 2014.

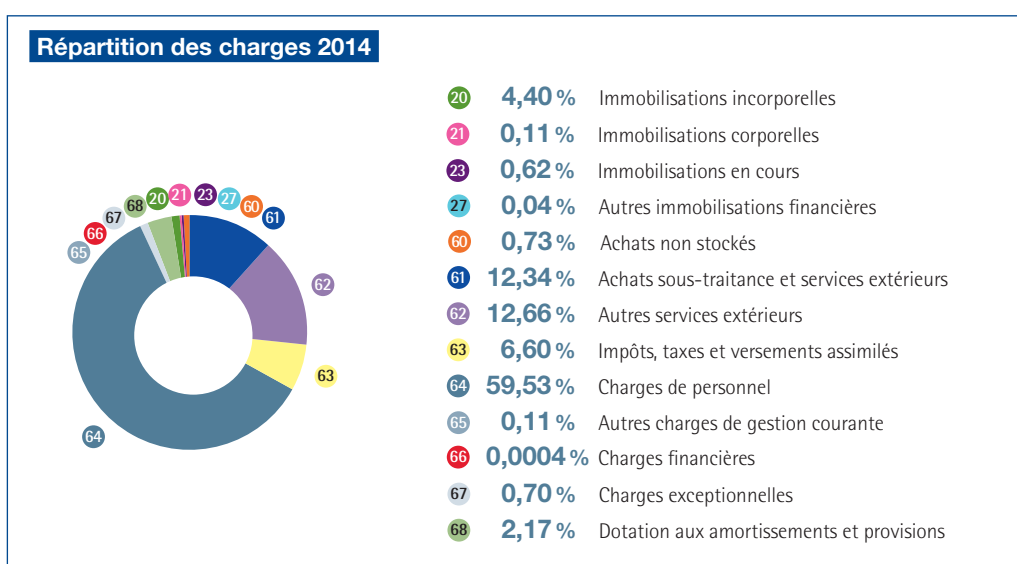
ANNEXE 1



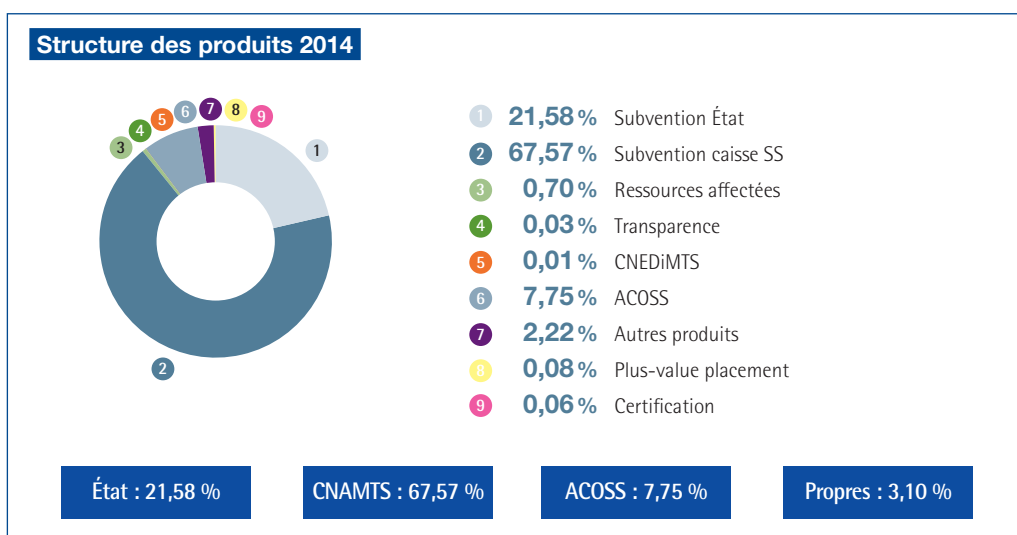
ANNEXE 2



ANNEXE 3



ANNEXE 4



RÉSULTAT DE L'ACTIVITÉ 2014

ANNEXE 5

| CHARGES | Exercice 2014 | Exercice 2013 |
|--|----------------------|----------------------|
| Charges d'exploitation | 13 745 413,59 | 15 323 867,92 |
| Achats non stockés de matières et fournitures | 389 413,09 | 378 247,69 |
| Personnel extérieur de l'établissement | | |
| - personnel intérimaire | | |
| - autres | 1 059 862,36 | 1 385 801,86 |
| Autres services extérieurs | 12 296 138,14 | 13 559 818,37 |
| Impôts, taxes et versements assimilés | 3 523 665,94 | 3 582 639,65 |
| Sur rémunérations | 2 939 079,81 | 3 025 578,13 |
| Autres | 584 586,13 | 557 061,52 |
| Charges de personnel | 31 802 185,76 | 33 238 772,69 |
| Salaires et traitements | 23 730 544,81 | 24 884 601,22 |
| Charges sociales | 8 071 640,95 | 8 354 171,47 |
| Dotations aux amortissements et provisions | 1 155 425,74 | 1 875 760,45 |
| Sur immobilisations : dotations aux amortissements | 1 155 425,74 | 1 875 760,45 |
| Autres charges | 56 854,04 | 58 912,71 |
| TOTAL I | 50 283 545,07 | 54 079 953,42 |
| Charges spécifiques | | |
| Charges financières | 2 302,59 | 200,68 |
| Charges assimilées | | |
| Différences négatives de change | 2 194,84 | 92,27 |
| Autres charges financières | 107,75 | 108,41 |
| Charges exceptionnelles | 375 558,52 | 618 682,31 |
| Sur opérations de gestion | 373 853,64 | 618 464,03 |
| Sur opérations exercice antérieur | | |
| Sur opérations en capital | | |
| - valeurs comptables des éléments immobilisés | | |
| - dotations aux amortissements et provisions | 1 704,88 | 218,28 |
| TOTAL II | 377 861,11 | 618 882,99 |
| TOTAL DES CHARGES | 50 661 406,18 | 54 698 836,41 |
| Solde créditeur = bénéfice | 352 933,29 | 9 864 174,23 |
| TOTAL GÉNÉRAL | 51 014 339,47 | 64 563 010,64 |

ANNEXE 5

RÉSULTAT DE L'ACTIVITÉ 2014

| PRODUITS | Exercice 2014 | Exercice 2013 |
|--|----------------------|----------------------|
| Produits d'exploitation | 46 792 133,74 | 25 629 917,31 |
| Production vendue | | |
| - prestations de services et études, activités annexes | 888 057,48 | 957 501,94 |
| Subvention d'exploitation | | |
| - subvention d'exploitation | 45 479 200,00 | 24 244 000,00 |
| - produits ressources affectées | 357 349,06 | 363 743,48 |
| - autres subventions | 30 392,00 | 34 677,16 |
| Reprise sur amortissements et provisions | 37 135,20 | 29 994,73 |
| Autres produits | | |
| TOTAL I | 46 792 133,74 | 25 629 917,31 |
| Produits spécifiques | 4 000 896,55 | 38 775 532,53 |
| - Certification | 28 415,00 | |
| - Transparence | 16 905,00 | 3 435 140,00 |
| - CNEDIMTS | 3 220,00 | 282 992,00 |
| - ACOSS | 3 952 356,55 | 35 057 400,53 |
| Produits financiers | 42 146,60 | 32 584,02 |
| Autres intérêts et produits assimilés | 42 091,15 | 32 338,72 |
| Différences positives de change | 55,45 | 245,30 |
| Produits exceptionnels | 179 162,58 | 124 976,78 |
| Sur opérations de gestion | 179 066,92 | 124 785,46 |
| Sur opérations en capital | 95,66 | 191,32 |
| TOTAL II | 4 222 205,73 | 38 933 093,33 |
| TOTAL DES PRODUITS | 51 014 339,47 | 64 563 010,64 |
| Solde débiteur = perte | | |
| TOTAL GÉNÉRAL | 51 014 339,47 | 64 563 010,64 |

RÉSULTAT AU 31/12/14 - CADRE RÉCAPITULATIF

| | Charges | Produits |
|-----------------|----------------------|----------------------|
| Total | 50 661 406,18 | 51 014 339,47 |
| Bénéfice | 352 933,29 | |
| | 51 014 339,47 | 51 014 339,47 |

BILAN AU 31/12/2014

ANNEXE 6

| ACTIF | Exercice 2014 | | | Exercice 2013 |
|--|----------------------|--|----------------------|----------------------|
| | BRUT | Amortissements et provisions (à déduire) | NET | NET |
| ACTIF IMMOBILISÉ | | | | |
| Immobilisations incorporelles | 11 215 090,00 | 8 022 564,17 | 3 192 525,83 | 1 405 524,19 |
| Concessions et droits similaires | 10 709 967,62 | 8 022 564,17 | 2 687 403,45 | 1 231 352,06 |
| Avances et acomptes | 505 122,38 | | 505 122,38 | 174 172,13 |
| Immobilisations corporelles | 5 419 761,78 | 4 962 984,04 | 456 777,74 | 661 299,59 |
| Autres immobilisations corporelles | 5 419 761,78 | 4 962 984,04 | 456 777,74 | 661 299,59 |
| Avances et acomptes | | | | |
| Immobilisations financières | 490 326,77 | | 490 326,77 | 488 483,68 |
| Prêts | 24 382,56 | | 24 382,56 | 24 408,00 |
| Autres | 465 944,21 | | 465 944,21 | 464 075,68 |
| TOTAL I | 17 125 178,55 | 12 985 548,21 | 4 139 630,34 | 2 555 307,46 |
| ACTIF CIRCULANT | | | | |
| Stocks en cours | | | | |
| Acomptes et avances versés sur commande | | | | 3 214,55 |
| Créances d'exploitation | 39 705 870,24 | | 39 705 870,24 | 43 060 788,22 |
| Créances clients et comptes rattachés | 38 829 711,09 | | 38 829 711,09 | 41 913 047,08 |
| Autres créances d'exploitation | 876 159,15 | | 876 159,15 | 1 147 741,14 |
| Créances diverses | 12 755 159,58 | | 12 755 159,58 | 7 395 669,31 |
| Valeurs mobilières de placements | | | | |
| Disponibilités | 13 746 963,02 | | 13 746 963,02 | 7 382 503,50 |
| Virements émis | - 1 016 452,97 | | - 1 016 452,97 | |
| Charges constatées d'avance | 24 649,53 | | 24 649,53 | 13 165,81 |
| TOTAL II | 52 461 029,82 | | 52 461 029,82 | 50 459 672,08 |
| Charges à répartir sur plusieurs exercices | | | | |
| TOTAL III | | | | |
| Autres | | | | |
| TOTAL IV | | | | |
| Écart de conversion - ACTIF | | | | |
| TOTAL V | | | | |
| TOTAL GÉNÉRAL (I + II + III + IV + V) | 69 586 208,37 | 12 985 548,21 | 56 600 660,16 | 53 014 979,54 |

ANNEXE 6

BILAN AU 31/12/2014

| PASSIF | Exercice 2014 | Exercice 2013 |
|---|----------------------|----------------------|
| CAPITAUX PROPRES | | |
| Réserves | 49 365 498,03 | 39 501 323,80 |
| - Autres | 49 365 498,03 | 39 501 323,80 |
| Report à nouveau | | |
| Résultat de l'exercice | 352 933,29 | 9 864 174,23 |
| Financement de l'actif | 7 774,86 | 44 910,06 |
| TOTAL I | 49 726 206,18 | 49 410 408,09 |
| PROVISIONS POUR RISQUES | | |
| TOTAL II | | |
| DETTES | | |
| Dettes d'exploitation : | 2 311 322,73 | 2 885 790,11 |
| - Dettes fournisseurs et comptes rattachés | 1 417 917,58 | 1 924 309,10 |
| - Dettes fiscales et sociales | 65 092,07 | 45 677,81 |
| - Autres | 828 313,08 | 915 803,20 |
| Dettes diverses : | 4 563 131,25 | 718 781,34 |
| - Dettes sur immobilisations et comptes rattachés | 241 130,64 | 139 047,60 |
| - Autres dettes | 4 250 386,95 | 9 186,66 |
| - Comptes transitoires ou d'attente | 71 613,66 | 570 547,08 |
| TOTAL III | 6 874 453,98 | 3 604 571,45 |
| Comptes de régularisation | | |
| Écart de conversion - PASSIF | | |
| TOTAL IV | | |
| TOTAL GÉNÉRAL (I + II + III + IV) | 56 600 660,16 | 53 014 979,54 |

Rapports des commissions réglementaires

Commission de la transparence (CT) 71

- Missions, fonctionnement et doctrine 71
 - Données d'activité 2014 78
 - Conclusions 93
 - Liste des tableaux 95

Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS) 96

- Missions, fonctionnement et doctrine 97
 - Données d'activité 2014 106
 - Conclusions et perspectives 119

Commission évaluation économique et santé publique (CEESP) 122

- Missions, composition et fonctionnement 122
- Activité non programmée : les avis d'efficience 124
 - Autres activités 135
 - Perspectives 141
 - Liste des tableaux 141



Commission de la transparence (CT)

Conformément à l'article L. 161-37 du Code de la sécurité sociale modifié par la loi n° 2011-2012 du 29 décembre 2011, la commission de la transparence établit chaque année un rapport d'activité qui est remis au Parlement.

La première partie du rapport rappelle les missions, le fonctionnement, et présente la doctrine de la commission qui explicite les modalités et principes selon lesquels elle met en œuvre l'évaluation des médicaments en vue de leur prise en charge par l'Assurance maladie sur la base des critères définis par décret.

La deuxième partie détaille l'activité de la commission pour l'année 2014 qui porte sur :

- **les demandes déposées par les entreprises du médicament** auprès du service évaluation des médicaments (SEM) ;
- **les saisines** du ministre *via* les directions du ministère : Direction générale de la santé, Direction de la sécurité sociale, Direction générale de l'organisation des soins ou Comité économique des produits de santé ;
- les évaluations incluses dans **le programme de travail** annuel de la HAS ;
- **les autosaisines** de la commission ;
- le suivi et la coordination **des études post-inscription** ;
- la prise en compte de l'innovation et **les évaluations internationales** ;
- les évaluations **des prises en charge dérogatoires des médicaments** ;
- les documents de promotion du **bon usage du médicament**.

Missions, fonctionnement et doctrine

1. Missions, composition et fonctionnement de la commission

1.1 Missions de la commission

Les missions et les principes régissant le fonctionnement de la commission sont précisés par les articles R. 163-2 à R. 163-21 du Code de la sécurité sociale.

La commission a pour mission de :

- rendre un avis sur les demandes d'inscription et de renouvellement de l'inscription des médicaments ainsi que sur la modification des conditions d'inscription d'un médicament sur la liste prévue au 1^{er} alinéa de l'article L. 162-17 du code de la sécurité sociale (art. R. 163-4 du code de la sécurité sociale). En application de l'article R. 161-77-2 du code de la sécurité sociale, le président du Collège de la Haute Autorité de santé (HAS) peut décider, dans le mois suivant la réception de la demande, de confier au Collège l'examen de cette demande. L'auteur de la demande est informé sans délai de cette décision. Si le Collège ne se saisit pas de la demande dans ce délai, le dossier est traité par la commission jusqu'à la fin de la procédure ;
- réévaluer le service médical rendu des médicaments inscrits sur les listes ou l'une des listes prévues à l'article L. 162-17 du Code de la sécurité sociale et à l'article L. 5123-3 du Code de la santé publique, par classe pharmaco-thérapeutique ou à même visée thérapeutique ; cela notamment lorsqu'elle propose l'inscription sur ces listes ou l'une de ces listes d'un médicament apportant une amélioration du service médical rendu (ASMR) majeure, susceptible de modifier substantiellement les stratégies thérapeutiques antérieures ou lorsque le contexte scientifique qui a fondé l'avis rendu précédemment a évolué de façon significative ou notoire (art. R.163-21 du Code de la sécurité sociale) ;
- établir et diffuser des documents d'information sur les produits de santé. (art. L. 161-37-1° et R. 161-72 du Code de la sécurité sociale).

Ces documents d'information ainsi que les avis de la commission sont publiés sur le site Internet de la Haute Autorité de santé (www.has-sante.fr).

- donner un avis sur les documents à propos desquels elle est saisie (art. R. 163-21 du Code de la sécurité sociale).

- établir les fiches d'information thérapeutique annexées aux arrêtés d'inscription des médicaments particulièrement coûteux et d'indications précises, prévues au troisième alinéa de l'article R. 163-2 du Code de la sécurité sociale.
- se prononcer sur toute question à propos de laquelle elle est saisie par le ministre chargé de la santé, le ministre chargé de la sécurité sociale et le Collège de la HAS, en matière d'évaluation du SMR des médicaments et sur les conditions de prescription ou d'emploi de ceux-ci. (art. R. 163-19 du Code de la sécurité sociale).

1.2 Composition de la commission

► La commission comprend 26 membres, dont 20 titulaires et 6 suppléants, tous compétents dans le domaine de l'évaluation des médicaments :

- des médecins de diverses spécialités cliniques y compris la médecine générale, exerçant en secteur libéral ou public ;
- des pharmaciens exerçant en secteur libéral ou public ;
- des méthodologistes, biostatisticiens, épidémiologistes, médecins de santé publique, pharmacologues.

Les membres de la commission sont nommés par décision du Collège de la HAS pour une période de 3 ans, renouvelable deux fois.

Le mandat actuel couvre la période de mars 2014 à mars 2017. La commission est présidée par le Pr Loïc Guillemin, membre du Collège de la HAS depuis janvier 2014, ses deux vice-présidents sont le Pr Jean Ponsonaille et le Pr Françoise Degos.

La compétence des membres recouvre un large éventail de spécialités cliniques : la médecine interne, l'hépatologie, la cardiologie, la neurologie, la cancérologie, la rhumatologie, la dermatologie, l'endocrinologie, la gastro-entérologie, la néphrologie, la gériatrie, l'inféctiologie, la médecine générale, l'allergologie, la pharmacologie clinique, la santé publique, la pharmacie hospitalière et officinale, les biostatistiques, la pharmacologie, l'épidémiologie, etc.

La commission comprend également 8 membres à voix consultative, représentant les principales administrations de santé (ANSM, DGS, DSS, DGOS), les caisses d'assurance maladie (CNAMTS, RSI, MSA) et les Entreprises du médicament (LEEM).

La commission se réunit toutes les 2 semaines, le mercredi.

► Bureau de la commission

Le bureau de la commission se compose du président de la commission, des vice-présidents ainsi que de toute personne autorisée par le président.

Il prépare avec le service évaluation des médicaments les réunions de la commission.

Il a délégation de la commission pour :

- décider du type de procédure d'examen des dossiers ;
- choisir les experts après avoir examiné les liens d'intérêts ;
- lors de la phase contradictoire, décider des modalités de prise en compte des observations des entreprises pharmaceutiques sur les projets d'avis et statuer sur les observations mineures, c'est-à-dire celles ne portant ni sur l'appréciation du SMR, ni sur l'ASMR ;
- déterminer si de nouvelles données scientifiques ou réglementaires, qui sont portées à la connaissance de la commission, nécessitent un examen et un avis ;
- décider de la suspension de l'instruction d'un dossier ;
- proposer des sujets sur lesquels portent les documents d'information.

Le bureau de la commission se réunit chaque semaine, afin de préparer les séances et les avis de la commission.

► Secrétariat de la commission

Le secrétariat technique, réglementaire et scientifique de la commission est assuré par le service évaluation des médicaments de la HAS, dirigé par le Dr Anne d'Andon. Ce service est intégré à la direction de l'évaluation médicale, économique et de santé publique (DEMESP) de la HAS, dirigée par le Dr Jean-Patrick Sales.

Le service évaluation des médicaments assure l'instruction interne des demandes et prépare la synthèse et l'analyse critique du dossier et des données disponibles en vue de la présentation en séance de la commission. Il veille à la qualité des documents préparés pour la commission, à la conduite et à la régularité des procédures ainsi qu'au respect des délais.

Il est composé d'une quinzaine de chefs de projet, médecins ou pharmaciens formés à la méthodologie des essais cliniques, assistés d'un secrétariat. Chaque chef de projet instruit environ 40 dossiers par an.

1.3 Fonctionnement de la commission

Le fonctionnement de la commission est régi par le Code de la sécurité sociale et par son règlement intérieur.

Pour son fonctionnement, la commission s'appuie sur un secrétariat scientifique, le service évaluation des médicaments de la HAS.

La commission est chargée de l'évaluation et l'appréciation du bien-fondé de la prise en charge des médicaments.

Les avis définitifs de la commission sont adressés à l'entreprise pharmaceutique ayant déposé sa demande aux ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale, au CEPS et à l'UNCAM.

Ils sont publiés sur le site Internet de la Haute Autorité de santé (www.has-sante.fr).

2. Doctrine de l'évaluation par la commission de la transparence

2.1 Quelle est la doctrine de la commission ?

La doctrine de la commission réunit l'ensemble des éléments lui permettant de se prononcer sur le bien-fondé de la prise en charge des médicaments par la solidarité nationale.

La commission est une commission d'experts, médecins et pharmaciens, cliniciens, méthodologistes et épidémiologistes, qui a pour mission principale d'évaluer les médicaments afin de remettre aux autorités de santé un avis consultatif recommandant ou non la prise en charge de médicaments par la solidarité nationale. Pour remplir cette mission, la commission s'appuie sur un cadre réglementaire, des données médicales, une méthodologie scientifique et un raisonnement qui constituent sa doctrine.

Depuis près de 10 ans, le niveau d'exigence pour cette évaluation s'est accru, tenant compte en particulier de l'évolution de l'environnement scientifique et médical. Celui-ci comprend désormais une pharmacopée fournie, couvrant une majorité de besoins médicaux, ainsi qu'une exigence de méthodologie rigoureuse d'élaboration de la preuve scientifique qui s'applique à tous les plans de développement clinique et rend, de ce fait, les recherches de thérapies nouvelles, voire innovantes, plus complexes.

2.2 Le cadre réglementaire

La réglementation française impose que les médicaments ne soient pris en charge que s'ils sont inscrits sur une liste positive¹ établie après avis d'une commission scientifique indépendante ; elle stipule aussi que cet avis, lorsqu'il est favorable à l'inscription, contribue à la fixation du prix du médicament.

Cette séparation entre l'évaluation médicale et scientifique et la décision par les pouvoirs publics conduit à ne pas intégrer de critère économique dans la recommandation de remboursement que fait la commission.

Cette intervention de la commission ne concerne que les médicaments ayant obtenu l'AMM pour lesquels il existe une demande d'inscription par le laboratoire exploitant. Elle est conjuguée à celle de la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS) lorsqu'un nouveau médicament s'intègre dans le cadre plus large d'un médicament associé à un acte ou à un dispositif médical.

Le médicament entre par la suite dans un circuit de réévaluation régulière (quinquennale pour les médicaments inscrits sur la liste Sécurité sociale) ou exceptionnelle (par exemple à l'initiative des pouvoirs publics ou de la commission elle-même) tout en restant assujettie au système de vigilance assuré par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM).

Le Code de la sécurité sociale² régit la composition de la commission et précise les critères sur lesquels elle doit s'appuyer pour rendre ses avis. En particulier, il définit les critères du service médical rendu (SMR)³ et stipule la nécessité d'évaluer l'amélioration de ce service médical rendu (ASMR) et la population cible du médicament.

Ces trois composantes de l'avis de la commission qui en constitueront les principales conclusions, répondent aux cinq questions posées par le décideur qui sont :

- ce médicament doit-il être pris en charge par la solidarité nationale, à l'hôpital ou en ville, Oui/Non ?
- à quel taux doit-on fixer la participation de l'assuré ?
- quelle est la valeur ajoutée médicale du médicament, c'est-à-dire le progrès thérapeutique (ou diagnostique) qu'il apporte par rapport aux thérapeutiques existantes, dans le cadre d'une prise en charge clinique optimale ?
- quel est l'effectif de la population pour laquelle le remboursement est justifié ou le médicament représente une valeur ajoutée ?
- quel est l'impact de ce médicament sur la santé publique ?

Ces conclusions sont destinées à plusieurs interlocuteurs :

- les acteurs de la décision :
 - le CEPS qui fixe le prix,
 - le directeur général de l'UNCAM qui fixe le taux de prise en charge,
 - le ministre chargé de la santé qui décide *in fine* de la prise en charge,
- ceux qui sont impliqués dans le bon usage du médicament :
 - le laboratoire exploitant qui le commercialise,
 - le professionnel de santé, en particulier le médecin qui le prescrit et le pharmacien qui le dispense,
 - le malade, le citoyen qui le consomme.

Les missions de la commission sont de :

- rendre un avis sur les demandes d'inscription et de renouvellement de l'inscription des médicaments ;
- réévaluer à son initiative, à tout moment, le service médical rendu des médicaments inscrits sur les listes ;
- établir, pour diffusion, des documents d'information sur les produits de santé (par exemple : synthèses d'avis, fiches de bon usage des médicaments, etc.) ;
- donner un avis sur les documents à propos desquels elle est saisie,
- établir des fiches d'information thérapeutiques annexées aux arrêtés d'inscription des médicaments particulièrement coûteux et d'indications précises.

¹ Deux listes : l'une pour les médicaments inscrits au remboursement dans les pharmacies de ville (liste Sécurité sociale) et l'autre pour les médicaments pris en charge à l'hôpital (liste d'agrément aux collectivités).

² Décret 2004-1398 du 23 décembre 2004 (JO du 26/12/2004). Articles R. 163-1 à 21 du Code de la sécurité sociale.

³ Article R. 163-3 du Code de la sécurité sociale.

Le service médical rendu par le médicament s'apprécie au regard de cinq critères, explicitement définis par décret, et qui sont :

- l'efficacité et les effets indésirables du médicament ;
- sa place dans la stratégie thérapeutique, notamment au regard des autres thérapies disponibles ;
- la gravité de l'affection à laquelle le médicament est destiné ;
- le caractère préventif, curatif ou symptomatique du médicament ;
- l'intérêt pour la santé publique du médicament.

Le SMR doit être apprécié pour chacune des indications cliniques autorisées du médicament. Un SMR insuffisant conduit à un avis défavorable de la commission à la prise en charge du médicament par la solidarité nationale. Un SMR suffisant (important, modéré ou faible) constitue une recommandation à l'inscription sur l'une ou les deux listes des médicaments remboursables et pour le taux de ce remboursement (65, 30, 15 %). L'avis de la commission doit aussi comporter une appréciation de l'amélioration du service médical rendu, par comparaison aux autres méthodes thérapeutiques disponibles.

2.3 Les principaux déterminants de l'évaluation

Les principaux déterminants de l'évaluation sont :

- le malade et sa maladie ;
- les preuves apportées ;
- la quantité d'effet et son intégration dans la stratégie thérapeutique et dans le système de soins.

2.3.1 Le malade et sa maladie

La gravité de la maladie, du symptôme ou de la maladie identifiée pour le diagnostic (pour les médicaments à visée diagnostique) doit être appréciée, ce qui nécessite tout d'abord de connaître la maladie, ses différentes formes cliniques, sa gradation en stades de sévérité, son pronostic (évolution spontanée et avec la meilleure prise en charge thérapeutique).

Ces données sont issues de la littérature scientifique disponible, incluant les recommandations de bonne pratique applicables ou des descriptifs encyclopédiques, ainsi que des avis d'experts.

Le malade est en permanence dans l'esprit de l'évaluateur en tant que personne susceptible de recevoir le médicament, de bénéficier de son efficacité mais aussi d'en subir les conséquences potentiellement négatives, qu'il s'agisse d'effets indésirables ou de contraintes parfois lourdes imposées par l'administration du médicament (ex. geste invasif).

La gravité de la maladie s'apprécie :

- dans toute la population des malades touchés par la maladie ou par sous-groupes ayant des caractéristiques particulières (degré de sévérité différente, marqueur de réponse spécifique, vulnérabilité liée à l'âge, à une insuffisance rénale, à une insuffisance hépatique, etc.) ;
- et selon :
 - la gravité de ses symptômes,
 - la gravité des éventuelles séquelles, y compris un handicap physique ou cognitif,
 - sa progression, spontanée ou sous traitement, en termes de mortalité ou de morbidité.

2.3.2 Les preuves apportées

Toutes les allégations relatives au médicament évalué doivent être scientifiquement démontrées. Les données remises par l'entreprise exploitant le médicament sont analysées selon les critères de la médecine fondée sur les preuves (*evidence-based medicine*). Cette instruction, réalisée par le service évaluation des médicaments, aboutit à un projet d'avis soumis à la commission. Cette dernière doit en outre déterminer la fiabilité et la transposabilité des résultats soumis aux modalités de traitement des patients dans système de soins français.

Les exigences de la commission prennent en compte le contexte inhérent à la maladie et s'adaptent à ce contexte (maladie rare, par exemple). Ainsi, selon le contexte, les résultats d'une méta-analyse d'essais cliniques de bonne qualité méthodologique, d'un essai clinique ou d'une étude observationnelle conçus et réalisés selon les exigences méthodologiques actuelles, seront d'un niveau de preuve supérieur à une étude de cas et à un simple avis d'expert.

En cas d'études de non-infériorité d'un nouveau médicament par rapport au médicament de référence déjà disponible sur le marché, la commission est très attentive à la méthodologie des études cliniques soumises et en particulier au choix du seuil de non-infériorité choisi.

2.3.3 La quantité d'effet et son intégration dans la stratégie thérapeutique et dans le système de soins

La notion de quantité d'effet, élément essentiel de l'appréciation des performances d'un médicament par la commission, ne remet pas en cause un rapport bénéfice/risque favorable apprécié par les autorités d'enregistrement, seules légitimes en ce domaine. Elle représente la quantité d'efficacité absolue, exprimée préférentiellement en réduction du risque absolu (RRA) d'un critère de morbidité ou de mortalité (critère fiable ayant un sens fort pour le patient), observée et prouvée, résultant des études réalisées avec le médicament. Cette quantité d'effet ne saurait s'abstraire de la notion de pertinence clinique de l'effet observé. Cela s'applique aussi à la quantité d'effet négative, liée aux effets indésirables du médicament.

Cette quantité d'effet s'apprécie au regard du critère de jugement choisi. Un critère intermédiaire, telle une variable biologique, a moins d'intérêt pour le patient qu'une modification de son handicap ou la réduction de son risque de voir survenir une complication de sa maladie, y compris une issue fatale.

L'ensemble des résultats doit enfin s'intégrer à la maladie, aux modalités de sa prise en charge actuelle (le besoin thérapeutique est-il couvert ?) et à l'organisation du système de soins.

2.4 Quels sont les facteurs* pouvant conduire à un SMR insuffisant ?

Les facteurs pouvant conduire à un SMR insuffisant sont :

- un niveau d'efficacité très minime, sans pertinence clinique, au regard d'effets indésirables notables, malgré une balance bénéfice/risque favorable ;
- un niveau d'efficacité dont la démonstration (le niveau de preuve) manque de fiabilité ;
- une efficacité démontrée dans une population autre que celle qui correspond à l'autorisation de mise sur le marché ou démontrée dans une population dont la transposabilité à la population effectivement rencontrée n'est pas certaine ;
- une absence de place dans la stratégie thérapeutique des affections visées par ses indications ;
- une indication correspondant à une pathologie, un symptôme à traiter, bénins ou spontanément curables ;
- l'existence d'alternatives thérapeutiques (médicamenteuses ou non) ayant fait la preuve d'une efficacité plus fiable, plus importante ou dont les effets indésirables sont moins graves ; le nouveau médicament étant alors susceptible d'induire une situation de perte de chance pour les patients ;
- des associations fixes de plusieurs principes actifs pour lesquelles l'intérêt de l'association n'a pas été démontré, ne figure dans aucune recommandation pour la pratique clinique.

** Un seul n'est pas suffisant par lui-même.*

2.5 Quels sont les facteurs pouvant conduire à un SMR suffisant ?

Les facteurs* pouvant conduire à un SMR suffisant sont :

- une démonstration méthodologiquement fiable d'une efficacité dont la quantité d'effet (exprimée en réduction du risque absolu) est notable pour le patient, venant modifier le pronostic, l'évolution spontanée de la maladie, du symptôme ou, lorsqu'il s'agit d'un médicament intégré à une activité diagnostique, ayant des performances diagnostiques notables ;
- une démonstration d'efficacité réalisée sur un critère clinique de morbi-mortalité (exceptionnellement sur un critère intermédiaire). En cas de traitement d'une maladie mortelle à court ou moyen terme, la commission privilégie la survie globale comme critère de jugement. L'amélioration observée sous traitement par rapport à l'évolution habituelle avec les traitements disponibles est appréciée au regard de la gravité du pronostic de la maladie et de la qualité de vie du patient ;
- des résultats transposables aux conditions réelles d'utilisation du médicament en termes de population ou de sous-population, de critère de jugement, de modalités de prise en charge du malade ;
- une place reconnue du médicament dans la stratégie thérapeutique au regard de la maladie concernée (exemples : un médicament préventif d'une maladie grave ou un médicament de 1^{ère} intention mais sans alternative à ce stade de prise en charge) ;
- une maladie grave, mais la seule gravité de la maladie ne permet pas de justifier d'un SMR suffisant, les performances du médicament constituant l'élément essentiel de l'appréciation ;
- un contexte de prise en charge où les alternatives sont peu nombreuses ou même absentes et/ou le besoin thérapeutique est donc non ou insuffisamment couvert ;
- un médicament sans démonstration de supériorité par rapport à l'existant mais dont la tolérance est supposée meilleure ou dont le mécanisme d'action, différent, laisse présager une efficacité chez les patients non répondeurs ou intolérants aux traitements disponibles.

** Un seul n'est pas suffisant par lui-même.*

2.6 Quelle est la place de l'intérêt de santé publique dans l'appréciation du SMR ?

L'intérêt de santé publique (ISP) apprécie trois dimensions de la place du médicament dans le système de soins national : le besoin de santé publique, l'impact du médicament sur la santé de la population ainsi que son impact sur l'organisation du système de soins. Cet impact est associé au fardeau de la maladie (sa sévérité liée à la population cible) et à la transposabilité des résultats des essais à la population concernée dans le système de soins français. Au stade de la première inscription il s'agit d'un ISP attendu, compte tenu de la modicité des données disponibles en conditions réelles d'utilisation.

Seuls un petit nombre de médicaments se voient reconnaître un ISP, lorsqu'ils sont destinés à une population cible numériquement importante ou à un besoin de santé publique identifié et dont les avantages en termes d'impact sur la morbidité ou sur la mortalité ou de modification de l'organisation des soins vont induire une modification de la santé de la population ou de cette organisation. L'appréciation de l'ISP se fait sur des données d'efficacité en pratique réelle, sur des critères directs tels que la mortalité, la morbidité, le handicap évité, la qualité de vie et l'observance, notamment à long terme dans le cadre de maladie chronique. Pour ces médicaments, c'est à l'occasion d'une réévaluation que l'appréciation de l'ISP, mieux documenté que lors de la première inscription, prend toute sa valeur.

2.7 Comment l'ASMR est-elle déterminée ?

L'ASMR est une évaluation du progrès thérapeutique (ou diagnostique pour un médicament à usage diagnostique) apporté par le nouveau médicament en termes d'efficacité ou de tolérance par rapport aux thérapies existantes ; elle mesure la valeur ajoutée médicale du nouveau médicament et le progrès qu'il apporte dans le contexte thérapeutique du moment. Cette appréciation constitue un instantané dans un environnement évolutif.

Apprécier l'ASMR présuppose qu'un comparateur « pertinent » a été identifié. Ce comparateur peut être un médicament, un dispositif, un acte ou toute autre thérapie (ou méthode diagnostique) non médicamenteuse. Il se situe à la même étape de la stratégie thérapeutique que le nouveau produit.

Le calendrier des développements des médicaments est pris en compte. Si deux médicaments ont été développés dans des temps simultanés (dans les 3 ans environ) ou en chevauchement, l'absence de comparaison directe est acceptée.

Les résultats d'une comparaison directe avec le (ou les) comparateur(s) prennent en considération le caractère clinique du critère et sa pertinence pour le malade, la quantité d'effet et la qualité de la démonstration. En l'absence de comparaison directe, une comparaison indirecte, réalisée sur des bases méthodologiques définies par la HAS⁴, peut être prise en compte. Les comparaisons indirectes qui ne sont pas réalisées selon ce standard sont exclues de l'évaluation.

La non-infériorité démontre l'absence de progrès ; il n'y a pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V). En cas de supériorité démontrée, l'importance de la différence permet de qualifier l'ASMR en : mineure (IV), modérée (III), importante (II), majeure (I). Le progrès thérapeutique majeur s'entend pour des médicaments qui ont démontré une très notable efficacité sur la mortalité dans la prise en charge d'une maladie grave. L'ASMR mineure, modérée, importante vient qualifier le surcroît d'intérêt clinique en termes d'efficacité ou de tolérance, selon son intensité. Des modalités nouvelles d'administration, de galénique, etc. peuvent être considérées comme un progrès si une conséquence clinique significative en est démontrée. Il est à noter qu'à la date de la soumission des dossiers de demande d'inscription, l'absence de recul permet rarement de se prononcer de manière formelle sur une meilleure tolérance à moyen ou long terme. En cas de doute, c'est l'intérêt du malade qui prime dans l'esprit de la commission.

Le libellé de l'ASMR précise la population ou sous-population de l'indication susceptible de bénéficier de ce progrès et ce sur quoi porte ce progrès : efficacité, tolérance, commodité d'emploi.

2.8 Quelle est la contribution de la commission au bon usage des médicaments ?

Par ses recommandations, la commission éclaire le prescripteur sur le bon usage du médicament et :

- précise la place du médicament dans la stratégie thérapeutique dans le cadre d'une hiérarchisation et d'une mise en perspective avec les autres moyens déjà disponibles ;
- effectue toute recommandation permettant sa bonne utilisation ;
- alerte, le cas échéant, sur les risques de mésusage et lors des réévaluations, à partir des données d'utilisation, sur le mésusage constaté ;
- précise la nécessité de restreindre la prescription à certaines catégories de prescripteurs ;
- apprécie si le conditionnement est adapté à une bonne utilisation du médicament ;
- précise si le périmètre de prise en charge doit être restreint par rapport au champ de l'AMM ;
- peut proposer pour le médicament le statut de médicament d'exception ;
- demande à ce que des études soient réalisées afin de suivre le bon usage des médicaments en conditions réelles d'utilisation.

Cela est précisé dans la conclusion de ses avis ainsi que dans ses synthèses d'avis ou fiches de bon usage des médicaments.

2.9 Comment assurer une équité de traitement entre médicaments comparables ?

L'équité dans l'appréciation de médicaments comparables s'appuie sur l'identification des médicaments de la même classe pharmacothérapeutique ou à même visée thérapeutique et la prise en compte des conclusions de leur évaluation antérieure par la commission.

Cependant le monde du médicament et des alternatives thérapeutiques évoluant en permanence, la prise en compte des conclusions antérieures de la commission pour des médicaments similaires peut ne pas être toujours pertinente et donc retenue.

Dans le cas où l'innovation vient modifier la stratégie thérapeutique, la commission peut décider de réévaluer l'ensemble des médicaments de la même classe pharmacothérapeutique ou ayant la même indication.

2.10 Comment évaluer les médicaments associés à un test diagnostique ou à un acte ?

Pour certains médicaments la démonstration d'efficacité ou de tolérance ne concerne qu'une sous-population des patients atteints de la maladie ciblée. Cette sous-population est identifiée par un test diagnostique qui devient un préalable nécessaire à la prescription du médicament. L'évaluation du médicament et du test se fait de manière conjointe et l'entreprise exploitant le médicament est invitée à fournir les données permettant d'évaluer le test dans le même temps que celles permettant l'évaluation du médicament. La HAS se prononce alors sur le bien-fondé de la prise en charge du médicament et du test associé. La commission se prononce sur le bien-fondé de la prise en charge du médicament, prenant en considération la manière dont la démonstration d'efficacité a été réalisée dans la sous-population déterminée par le test.

Il en est de même lorsque le médicament doit être associé à un acte.

2.11 Quel est le champ de la réévaluation pour les renouvellements d'inscription ?

Les médicaments inscrits sur la liste Sécurité sociale doivent être réévalués tous les 5 ans. Il ne s'agit pas d'une reconduction systématique. Cette réévaluation porte essentiellement sur le service médical rendu par le médicament, sur la base des données obtenues depuis la précédente évaluation par la commission, mais peut aussi porter sur l'ASMR. Les données des études post-inscription, d'utilisation, de bon usage ou de mésusage sont naturellement prises en considération pour cette réévaluation.

⁴ Comparaisons indirectes – Méthodes et validité. HAS, novembre 2010.

Selon les conclusions de cette réévaluation, une nouvelle proposition de maintien ou non sur la liste des médicaments remboursables est faite.

C'est ainsi que le SMR peut être remis en cause, suite à l'obsolescence de certains produits face à l'arrivée de nouveaux médicaments constituant un progrès et venant donc modifier les stratégies thérapeutiques. Ne pas tenir compte de ces modifications de la stratégie thérapeutique pourrait induire une perte de chance pour le patient.

Lors d'un renouvellement d'inscription, la commission peut être amenée à réévaluer l'ASMR. Avec un délai suffisant pour apprécier une tolérance meilleure qu'attendue, à moyen ou long terme, cette ASMR peut être évaluée à la hausse. Après l'introduction d'un nouveau médicament d'un intérêt thérapeutique supérieur ou en l'absence de confirmation de propriétés particulières cette ASMR peut être réévaluée à la baisse.

Il est à noter que les médicaments inscrits sur la liste des médicaments agréés aux seules collectivités n'entrent pas dans ces réévaluations quinquennales mais peuvent faire l'objet d'une réévaluation de médicaments de la même classe pharmaco-thérapeutique ou ayant la même indication.

2.12 Comment la commission soutient-elle l'innovation ?

La reconnaissance d'un progrès (majeur, important, modéré) est une reconnaissance en soi de l'innovation. À l'issue de l'évaluation réalisée, le CEPS, sur la base de l'avis de la commission, fixe par convention le prix du médicament. Toute ASMR de I à III autorise un dépôt de prix européen.

En cas de médicament présumé innovant tel que défini par le règlement intérieur de la commission, l'instruction et l'évaluation sont accélérées par un dépôt de dossier auprès du service évaluation des médicaments avant l'octroi de l'AMM et le démarrage d'une instruction anticipée. Le bureau de la commission se prononce sur le caractère présumé innovant ou non d'un médicament, selon que le médicament remplit ou non l'ensemble des critères suivants :

- une nouvelle modalité de prise en charge de la maladie et ;
- susceptible d'apporter un progrès cliniquement pertinent par rapport aux moyens disponibles et ;
- qui répond à un besoin non ou insuffisamment couvert.

2.13 Estimation de la population cible

Une des missions de la commission consiste à estimer la population cible du médicament susceptible de prise en charge. Cette détermination permet de prévoir les volumes de prescription justifiés. À noter que, dans certains cas, la commission peut délimiter un périmètre de remboursement plus restreint que celui de l'indication de l'AMM ; la population cible estimée tient compte de cette restriction.

La détermination de la population cible est fondée sur :

- les données épidémiologiques (issues des observatoires, registres, bases de données de prescription, d'activité hospitalière ou de remboursement, nombre de patients en affection de longue durée, la littérature scientifique, etc.) disponibles portant sur la maladie et les effets des traitements existants ;
- un raisonnement conduisant, par étapes, à la population susceptible de recevoir le médicament proposé au remboursement.

2.14 Les demandes d'études post-inscription

Au moment où elle rend son avis, la commission identifie parfois une incertitude sur les conséquences à court ou à long terme de l'introduction du médicament sur la santé de la population. En vertu de l'article R. 163-18 du CSS, la Commission peut alors demander le recueil de données complémentaires sous la forme d'une étude post-inscription. Celle-ci vise à collecter des informations pragmatiques, essentielles pour réduire l'incertitude initiale et permettre une réévaluation pertinente, tant sur les aspects cliniques que sur les aspects collectifs.

Ces études ont souvent pour objectif de documenter, dans le cadre des réévaluations quinquennales ou plus précocement si besoin, en situation réelle d'utilisation, tout ou partie des éléments suivants : conditions de mise sous traitement, populations réellement traitées, durées de traitement, observance, bénéfices des traitements, impact du traitement sur les stratégies thérapeutiques, sur l'organisation des soins, etc.

Ces demandes d'études sont mentionnées dans les avis de la CT et reprises dans la convention signée entre le Comité économique des produits de santé (CEPS) et l'industriel. Les conditions de réalisation de ces études sont prévues dans les accords cadre signés par le CEPS avec les Entreprises du médicament (LEEM) et un comité de suivi CEPS/HAS vient maintenant établir une coordination dans leur suivi.

Les méthodes à utiliser pour mettre en œuvre ces études sont détaillées dans « Les études post-inscription sur les technologies de santé (médicaments, dispositifs médicaux et actes) – Principes et méthodes HAS ». Novembre 2011⁵.

2.15 Caractère indépendant, transparent et impartial des avis de la commission

Comme toutes les instances de la HAS, la commission de la transparence se doit d'assurer le caractère indépendant, transparent et impartial de ses avis. Elle se compose ainsi de praticiens dont les liens d'intérêts avec les entreprises du médicament sont peu nombreux.

⁵ www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2012-01/etudes_post_inscription_technologies_sante.pdf.

Le principe appliqué est que les membres ayant des liens majeurs avec le laboratoire exploitant le médicament évalué ou avec ceux exploitant les comparateurs cliniquement pertinents ne participent ni aux débats ni aux votes.

Les membres de la commission et toute personne lui apportant son concours sont tenus de se conformer aux dispositions de la charte de déontologie et du guide de déclaration d'intérêts et de gestion des conflits d'intérêts de la HAS (www.has-sante.fr/portail/jcms/c_522970/deontologie-et-independance).

Les mêmes règles s'appliquent aux experts apportant leur concours à la commission, sauf dans le cas exceptionnel des maladies ou indications rares ; les responsables de centres de référence, seuls à même de bien connaître ces maladies et leurs traitements, sont alors sollicités.

L'instruction des dossiers par un service de la HAS sans lien avec les entreprises du médicament assure l'exposé des données disponibles sans biais de lecture.

Les avis et leur synthèse, les points principaux des débats de la commission sont publiés systématiquement sur le site de la HAS assurant la transparence de cette évaluation et de ses conclusions.

Données d'activité 2014

En 2014, l'activité de la commission s'est répartie comme suit :

► Demandes d'accès ou de maintien au remboursement

La commission évalue toutes les demandes déposées par les entreprises du médicament auprès du service évaluation des médicaments (SEM).

Cela a constitué la majorité de ses avis et correspond aux demandes soumises à la commission par les entreprises du médicament, sans que le calendrier en soit prévisible, pour solliciter une inscription, un renouvellement d'inscription, une réévaluation, une prise de connaissance des modifications des conditions d'inscription voire une radiation de leurs spécialités. De même, elle répond aux saisines du ministre chargé de la santé et de la sécurité sociale qui ont concerné en 2014 diverses spécialités pharmaceutiques.

Enfin, elle réalise les réévaluations du programme de travail annuel de la HAS ou générées par des autosaisines de la commission répondant ainsi à sa mission de gestion dynamique du panier de biens et de services remboursables eu égard à l'évolution du contexte scientifique et médical, aux nouveautés, innovations substantielles survenues ou informations venant modifier la prise en charge des malades.

► Études post-inscription

Depuis octobre 2013, la commission assure directement le suivi et la coordination des études post-inscription qu'elle demande et évalue, le groupe Intérêt de santé publique et études post-inscription n'ayant pas été renouvelé.

De plus l'article 11 de l'accord cadre CEPS-LEEM du 5 décembre 2012 prévoyait de nouvelles modalités de suivi et d'évaluation des nouveaux médicaments en pratique médicale réelle dont la gestion serait confiée à la HAS et au CEPS. C'est ainsi qu'un comité de suivi des études en vie réelle réunissant le CEPS et la HAS a été mis en place le 9 avril 2013. Les actions réalisées par ce comité dans le suivi des études post-inscription sont détaillées.

► Innovations et activités internationales

Afin de soutenir l'innovation et en cas de médicament présumé innovant, l'instruction et l'évaluation par la commission sont accélérées grâce à un dépôt de dossier auprès du service évaluation des médicaments concomitamment au dépôt du dossier de demande d'AMM, permettant le démarrage d'une instruction anticipée. Il existe aussi une procédure d'évaluation anticipée, dès que le médicament a obtenu un avis favorable du CHMP.

Pour des médicaments nouveaux en développement qui visent à couvrir un besoin thérapeutique mal ou non couvert, des rendez-vous précoces, nationaux ou internationaux, sont organisés afin de répondre aux questions posées par les entreprises du médicament sur leur plan de développement et d'obtenir des données d'un standard de qualité répondant aux exigences de l'évaluation des technologies de santé.

► Remboursement dérogatoire

Les évaluations des prises en charge dérogatoires qui concernent d'une part les recommandations temporaires d'utilisation et d'autre part les avis portant sur l'identification d'alternatives thérapeutiques prises en charge par les régimes obligatoires de sécurité sociale des médicaments ayant fait l'objet d'une autorisation temporaire d'utilisation.

► Information et bon usage des médicaments

La commission élabore des documents de promotion du bon usage du médicament. Ces informations, accessibles à tous via le site Internet de la HAS, sont essentiellement destinées aux professionnels de santé, afin de leur permettre de prendre connaissance de manière synthétique, rapide et en temps réel, des principales conclusions de la commission.

Ces conclusions, délivrées sous la forme de synthèses d'avis et de fiches bon usage du médicament, visent à éclairer le professionnel de santé sur l'opportunité de prescrire ou non un médicament à son malade.

1. Demandes d'accès ou de maintien au remboursement

1.1 Demandes reçues par la commission

Cette partie concerne les demandes déposées et enregistrées entre le 1^{er} janvier et le 31 décembre 2014. Elles peuvent ne pas avoir encore fait l'objet d'un examen par la commission au 31 décembre 2014. L'avis ne figurera alors que dans le compte rendu d'activité de 2015.

Les entreprises du médicament qui souhaitent voir les médicaments qu'elles exploitent inscrits, maintenus ou radiés sur la liste des médicaments remboursables ou sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités doivent soumettre leur demande à la commission de la transparence en déposant au service évaluation des médicaments de la Haute Autorité de santé un dossier qui inclut la demande et sa justification scientifique.

Le service évaluation des médicaments s'assure de la recevabilité administrative, réglementaire et scientifique du dossier en vérifiant que toutes les données nécessaires à l'évaluation du SMR, de l'ASMR et de la population cible sont bien présentes.

Comme le précise le Code de la sécurité sociale (art R. 163-9), si les éléments d'appréciation communiqués par l'entreprise qui exploite le médicament sont insuffisants, la commission peut notifier au demandeur les renseignements complémentaires qui sont exigés et suspendre les délais d'instruction jusqu'à réception des informations demandées.

La commission se prononce principalement sur les demandes :

- d'inscription ;
- de renouvellement d'inscription ;
- de modification des conditions d'inscription (notamment inscription dans une extension d'indication) ;
- de radiation des spécialités.

La commission peut également être saisie par le ministre chargé de la santé et de la sécurité sociale ou le Collège de la HAS, en matière d'évaluation du SMR des médicaments et sur les conditions de prescription ou d'emploi de ceux-ci.

Ainsi, en 2014, la commission a reçu 9 saisines concernant :

- Profenid gel et ses génériques – janvier 2014 ;
- les nouveaux anti-coagulants – janvier 2014 ;
- Cytotec – février 2014 ;
- Soriatane – mars 2014 ;
- Coltramyl – mars 2014 ;
- les anti-inflammatoires non stéroïdiens – avril 2014 ;
- Onglyza – avril 2014 ;
- les spécialités à base d'olmesartan – mai 2014 ;
- les hormones de croissance – août 2014.

Enfin la commission peut, de sa propre initiative, décider de réévaluer des médicaments déjà inscrits, notamment si des innovations sont venues modifier les stratégies de prise en charge d'une maladie, d'un symptôme ou d'une stratégie diagnostique ou préventive. Les résultats de ces travaux sont présentés en 1.5.

Pour chaque dossier déposé, le chef du service évaluation des médicaments désigne un chef de projet (médecin ou pharmacien), membre des services de la HAS. Le chef de projet rassemble l'ensemble des données disponibles nécessaires, en particulier les données bibliographiques, pour préparer l'avis de la commission, et ce en complément de celles présentées dans le dossier déposé par le demandeur. Il en effectue une synthèse et en fait l'analyse critique.

Au total, le service évaluation des médicaments a enregistré 634 demandes en 2014 *versus* 761 en 2013, déclinées ci-après selon les types de demandes.

Tableau 1. Répartition entre les différents types de demandes déposées en 2014

| Demandes déposées | Nombre de dossiers en 2014 | Pour rappel 2013 |
|---|----------------------------|------------------|
| Première inscription | 192 | 209 |
| Inscription dans une extension d'indication | 34 | 48 |
| Renouvellement d'inscription | 212 | 264 |
| Modification des conditions d'inscription | 48 | 45 |
| Radiation | 65 | 92 |
| Modification administrative | 30 | 35 |
| Saisine | 5 | 10 |
| Nouvel examen suite au dépôt de nouvelles données | 1 | 2 |
| Réévaluation du SMR ou de l'ASMR | 46 | 56 |
| Autre demande | 1 | 0 |
| TOTAL | 634 | 761 |

Le nombre total de dossiers déposés a diminué en 2014 par rapport à 2013 (- 217). Les inscriptions et les renouvellements d'inscription représentent chacun environ un tiers des demandes, les autres motifs de soumission représentant le dernier tiers.

1.2 Demandes examinées par la commission

Cette partie reflète l'activité effective de la commission en 2014, puisqu'il porte sur des demandes examinées par la commission au cours de l'année. Ces demandes peuvent avoir été enregistrées avant 2014 ou leur instruction peut avoir été achevée après le 31 décembre 2014.

La commission se réunit un mercredi sur deux, toute la journée, dans les locaux de la HAS. L'usage est de commencer la séance par des points d'information générale ou d'actualité puis de procéder :

- à l'adoption des projets d'avis des médicaments examinés à la séance précédente ;
- à l'approbation du compte rendu de la séance précédente ;
- à l'examen des demandes prévues à l'ordre du jour.

➔ **La commission s'est réunie à 25 reprises au cours de l'année 2014, elle a examiné 624 demandes.**

Tableau 2. Répartition entre les différents types de demandes examinées en 2014

| Demandes examinées | Nombre de dossiers |
|---|--------------------|
| Première inscription | 191 |
| Inscription dans une extension d'indication | 41 |
| Renouvellement d'inscription | 175 |
| Modification des conditions d'inscription | 48 |
| Radiation | 43 |
| Modification administrative | 33 |
| Nouvel examen suite au dépôt de nouvelles données | 1 |
| Réévaluation du SMR ou de l'ASMR | 90 |
| Saisine | 2 |
| TOTAL | 624 |

Cette année 2014 est marquée par une forte augmentation du nombre d'examen dans le cadre d'une réévaluation du SMR et/ou de l'ASMR puisque ce nombre est passé de 30 en 2013 à 90 en 2014. Le nombre de demandes d'inscription examinées est stable (191 en 2014 versus 195 en 2013).

► Évolution sur 3 ans

Le surcroît qualitatif d'activité a nécessité l'ajout de 3 séances supplémentaires. Au 31 décembre 2014, 502 demandes étaient en cours d'instruction.

Tableau 3. Nombre de dossiers examinés par séance depuis 2012

| Année | Total | Nombre/séance |
|-------------------|------------|---------------|
| 2012 (22 séances) | 851 | 39 |
| 2013 (22 séances) | 671 | 31 |
| 2014 (25 séances) | 624 | 25 |

Lorsque le dossier nécessite une expertise particulière : maladie rare, maladie ou évolution naturelle de la maladie encore mal décrites dans la littérature, place d'un produit dans la stratégie thérapeutique, question de méthodologie, identification difficile des comparateurs, population cible pour laquelle les données épidémiologiques ne sont pas disponibles, la commission fait appel à une expertise extérieure.

Les experts sollicités, après avoir décliné leurs éventuels liens d'intérêts, font état de leur analyse et répondent aux questions de la commission. S'ils ne peuvent être présents lors des réunions de la commission, leur rapport est lu par les chefs de projet du service évaluation des médicaments.

Cependant, ils n'assistent ni aux débats ni aux votes de la commission.

→ **Au cours de l'année 2014, 98 expertises externes ont été sollicitées et 55 présentées en séance par l'expert.**

1.3 Avis rendus par la commission

Cette partie présente les avis rendus par la commission en 2014. Les données présentées peuvent correspondre à des demandes déposées avant 2014 ou dont l'instruction a débuté avant le 1^{er} janvier 2014. Les avis dont l'adoption ou la phase contradictoire était en cours au 31 décembre 2014 n'ont pas été comptabilisés dans ce bilan.

Après avoir entendu la présentation du dossier faite par les chefs de projet du service évaluation des médicaments et les rapports des experts, la commission débat puis vote afin de qualifier le service médical rendu (SMR) et l'amélioration du service médical rendu (ASMR) du médicament examiné.

À partir des données, de la teneur des débats et des conclusions provisoires de la commission, un projet d'avis est adopté et envoyé à l'entreprise pharmaceutique. Commence alors la phase contradictoire au cours de laquelle l'entreprise peut faire des observations écrites ou demander à être entendue par la commission. À l'issue de la phase contradictoire, après audition s'il y a lieu, l'avis est définitif et adressé au CEPS, à l'UNCAM, à la DGS, à la DSS, à l'entreprise pharmaceutique. Il est publié sur le site Internet de la HAS.

→ **En 2014, la commission de la transparence a rendu 630 avis.**

Tableau 4. Avis rendus en 2014 selon les différents types de demandes

| Avis selon les demandes de | Nombre de dossiers | Rappel 2013 |
|---|--------------------|-------------|
| Première inscription | 190 | 169 |
| Inscription dans une extension d'indication | 45 | 31 |
| Renouvellement d'inscription | 184 | 241 |
| Modification des conditions d'inscription | 45 | 32 |
| Modification administrative | 30 | 30 |
| Radiation | 53 | 80 |
| Nouvel examen suite au dépôt de nouvelles données | 1 | 1 |
| Réévaluation du SMR ou de l'ASMR | 78 | 27 |
| Saisine | 3 | 8 |
| Autre demande | 1 | 1 |
| TOTAL | 630 | 620 |

Parmi les travaux réalisés, 4 sujets ont marqué l'année 2014. Il s'agit des nouveaux traitements de l'hépatite C, des médicaments substitutifs de la ménopause, des benzodiazépines dans l'insomnie et de l'évaluation des médicaments biosimilaires de l'infliximab (cf. « [Nouveaux traitements de l'hépatite C : pour quels patients ?](#) »). Pour l'examen des demandes, la commission dispose de deux procédures d'instruction.

► **L'instruction en procédure simplifiée (PIS)** concerne les dossiers pour lesquels le service évaluation des médicaments et le bureau de la commission détiennent tous les éléments permettant de rédiger un projet d'avis et qui ne posent pas de questions particulières, notamment dans les cas suivants :

- l'entreprise pharmaceutique ne demande pas de modification des conclusions de l'avis précédent ;
- les nouvelles données cliniques fournies par l'entreprise pharmaceutique ne sont pas susceptibles de modifier les conclusions de l'avis précédent ;
- aucune nouvelle donnée de la littérature n'est susceptible de modifier les conclusions de l'avis précédent ;
- aucune nouvelle donnée de pharmacovigilance n'est susceptible de modifier les conclusions de l'avis précédent ;
- il n'a pas été identifié de nouvelle donnée susceptible de modifier la place du médicament dans la stratégie thérapeutique.

Les questions diverses correspondent à des demandes examinées selon la procédure simplifiée qui concernent notamment les modifications administratives (transferts, changements de nom), les demandes d'inscription relatives à des conditionnements complémentaires, les sujets ou modifications dont la commission prend acte.

Dans ce cas, un projet d'avis est soumis aux membres. L'examen, les débats, le vote et l'adoption ont lieu lors de la même séance.

► **L'instruction en procédure complète (PIC)** concerne tous les autres cas.

Dans ce cas, l'examen, les débats et le vote ont lieu lors d'une première séance à l'issue de laquelle un projet d'avis est rédigé et soumis pour adoption à la séance suivante.

En 2014, 219 des 630 avis rendus ont fait l'objet d'une procédure complète alors qu'ils ont été de 147 sur les 620 avis rendus en 2013.

Cette augmentation d'environ 50 % illustre la complexité croissante des demandes soumises à la commission.

1.4 Inscriptions et extensions d'indications

Cette partie porte exclusivement sur les avis définitifs, c'est-à-dire envoyés aux décideurs en 2014.

Parmi les 620 avis rendus en 2014, 190 (30 %) ont concerné des demandes de première inscription d'un médicament. Par ailleurs, lorsque l'AMM autorise une extension d'indication pour un médicament et si l'entreprise pharmaceutique qui l'exploite souhaite que celle-ci soit remboursable, une demande doit être faite auprès de la commission. En 2014, la commission a rendu 45 avis portant sur des demandes d'inscription dans une extension d'indication.

► Service médical rendu

Lorsque le médicament a un SMR suffisant (important, modéré ou faible), il peut être inscrit sur les listes des médicaments remboursables (en pharmacie de ville) ou pris en charge à l'hôpital. Comme le SMR est apprécié indication par indication, un médicament ayant plusieurs indications peut avoir des SMR différents. Le nombre de SMR attribués chaque année est donc supérieur au nombre d'avis rendus. En 2014, 29 avis d'inscription ou d'extension d'indication ont comporté des SMR différents.

Le SMR d'un médicament peut être considéré comme insuffisant pour une prise en charge par la solidarité nationale dans toutes ses indications. Cela signifie qu'il ne peut être pris en charge par la solidarité nationale. Dans ce cas, la commission donne un avis défavorable à son inscription. Sur les 190 demandes d'inscription ayant fait l'objet d'un avis définitif, la commission s'est prononcée pour un SMR insuffisant dans toutes les indications de 7 médicaments. Parmi les 45 avis rendus dans le cadre de l'examen des extensions d'indication, pour un seul médicament le SMR a été insuffisant ; un avis défavorable à l'inscription au remboursement de cette nouvelle indication a été donné par la commission.

Tableau 5. SMR pour tout ou partie des indications en première inscription (toutes procédures)

| SMR | Nombre de SMR Total (235 avis) | Nombre de SMR Inscription (190 avis) | Nombre de SMR Extension d'indication (45 avis) |
|-------------------------|--------------------------------|--------------------------------------|--|
| Important | 192 | 155 | 37 |
| Modéré | 34 | 28 | 6 |
| Faible | 12 | 11 | 1 |
| Insuffisant | 23 | 21 | 2 |
| Commentaire/non précisé | 3 | 2 | 1 |
| TOTAL | 264 | 217 | 47 |

Si un médicament a plusieurs indications avec le même SMR, celui-ci n'est comptabilisé qu'une fois. S'il possède des SMR différents, ils sont comptabilisés une fois dans chaque catégorie concernée. En 2014, 29 avis ont comporté 2 SMR différents, ce qui explique que le nombre de SMR formulés soit plus élevé que le nombre d'avis rendus.

► Amélioration du service médical rendu

Lorsque le médicament a un SMR suffisant (important, modéré ou faible), la commission apprécie l'amélioration du service médical rendu (ASMR) qu'il apporte. L'ASMR est une évaluation du progrès thérapeutique apporté par le nouveau médicament en termes d'efficacité ou de tolérance par rapport aux thérapies existantes au moment de son évaluation.

L'ASMR est quantifiée et qualifiée de majeure (I), importante (II), modérée (III), mineure (IV). L'absence de progrès par rapport à l'existant est signifiée par une ASMR V.

Le libellé de l'ASMR précise la population ou sous-population de l'indication de l'AMM susceptible de bénéficier de ce progrès et ce sur quoi porte ce progrès. De ce fait, l'ASMR peut être différente, concerner tout ou partie de celle-ci ou une sous-population population spécifique, susceptible de tirer un bénéfice particulier du médicament.

Tableau 6. ASMR attribuées en 2014 aux demandes de première inscription ou d'inscription dans une nouvelle indication (toutes procédures)

| Demande | Avis rendus Cumul = 235 | Avis rendus Première inscription N = 190 | Avis rendus Inscription dans une nouvelle indication N = 45 |
|--------------|----------------------------|--|---|
| I | 2 | 1 | 1 |
| II | 9 | 5 | 4 |
| III | 11 | 7 | 4 |
| IV | 19 | 13 | 6 |
| V | 186 | 159 | 27 |
| Commentaire | 6 | 3 | 3* |
| TOTAL | 233 | 188 | 45 |

L'ASMR peut être octroyée dans tout ou partie d'une indication, si un médicament a reçu plusieurs ASMR dans son avis, celui-ci est comptabilisé une fois dans chaque catégorie concernée.

En 2014, 5 avis ont comporté des ASMR différentes, ce qui explique que le nombre d'ASMR formulée soit différent du nombre d'avis rendus. L'octroi d'un SMR insuffisant n'entraîne pas d'appréciation de l'ASMR.

Tableau 7. ASMR I, II et III attribuées depuis 2012 pour tout ou partie des indications en première inscription (toutes procédures)

| ASMR | 2012 | 2013 | 2014 |
|--------------|----------|----------|-----------|
| I | 0 | 1 | 1 |
| II | 3 | 0 | 5 |
| III | 5 | 8 | 7 |
| TOTAL | 8 | 9 | 13 |

Tableau 8. ASMR I, II et III attribuées depuis 2012 pour tout ou partie des indications en inscription dans une nouvelle indication (toutes procédures)

| ASMR | 2012 | 2013 | 2014 |
|--------------|----------|----------|----------|
| I | 0 | 0 | 1 |
| II | 3 | 2 | 4 |
| III | 5 | 4 | 4 |
| TOTAL | 8 | 6 | 9 |

En 2014, la commission a reconnu pour tout ou partie de leurs indications :

► Deux ASMR majeures (I)

Tableau 9. Médicaments s'étant vu reconnaître une ASMR majeure en 2014

| Médicament | Indication / domaine thérapeutique |
|---|--|
| GLIVEC (Extension d'indication) | Enfants atteints de leucémie aiguë lymphoïde chromosome Philadelphie positive (LAL Ph+) nouvellement diagnostiquée en association avec la chimiothérapie |
| ORPHACOL (Inscription) | Traitement des erreurs congénitales de la synthèse d'acides biliaires primaires, dues à un déficit enzymatique |

► Neuf ASMR importantes (II)

Tableau 10. Médicaments s'étant vu reconnaître une ASMR importante en 2014

| Médicament | Indication / domaine thérapeutique |
|---|---|
| BEXSERO (Inscription) | Immunisation active des sujets à partir de l'âge de 2 mois contre l'infection invasive méningococcique causée par <i>Neisseria meningitidis</i> de groupe B. |
| CARBAGLU (Extension d'indication) | Traitement de l'hyperammoniémie secondaire à une acidémie isovalérique ou une acidémie méthylmalonique ou une acidémie propionique. |
| ILARIS (Extension d'indication) | Traitement des syndromes périodiques associés à la cryopyrine (CAPS). |
| IXIARO (Extension d'indication) | L'immunisation active contre l'encéphalite japonaise chez l'adulte, l'adolescent, l'enfant et le nourrisson de plus de 2 mois. |
| KADCYLA (Inscription) | En monothérapie, traitement d'adultes atteints d'un cancer du sein HER2 positif métastatique ou localement avancé non résécable, ayant reçu au préalable du trastuzumab et un taxane, séparément ou en association. |
| KALYDECO (Extension d'indication) | Traitement de la mucoviscidose chez les patients âgés de 6 ans et plus, porteurs de l'une des mutations de défaut de régulation (classe III) du gène CFTR. |
| KINERET (Inscription) | Traitement des syndromes périodiques associés à la cryopyrine (<i>Cryopyrin-Associated Periodic Syndromes</i> ou CAPS). <i>Kineret dispose aussi d'une indication dans le traitement des signes et symptômes de la polyarthrite rhumatoïde (PR) en association avec le méthotrexate, chez les adultes dont la réponse au méthotrexate seul n'est pas satisfaisante qui s'est vu reconnaître une ASMR V dans ce même avis.</i> |
| SOVALDI (Inscription) | En association à d'autres médicaments, traitement de l'hépatite C chronique chez l'adulte. <i>La commission a considéré une ASMR II dans la prise en charge de l'ensemble des patients adultes infectés par le VHC, excepté pour les patients de génotype 3 naïfs de traitement antiviral où une ASMR III a été octroyée.</i> |
| SUCCICAPTAL (Inscription) | Traitement des intoxications par le plomb et le mercure. |

► Onze ASMR modérées (III)

Tableau 11. Médicaments s'étant vu reconnaître une ASMR modérée en 2014

| Médicament | Indication / domaine thérapeutique |
|---|---|
| CARMYNE (Inscription) | Détection per-opératoire des complications urétérales de la chirurgie abdomino-pelvienne. |
| HEMANGIOL (Inscription) | Traitement des hémangiomes infantiles prolifératifs nécessitant un traitement systémique. |
| ILARIS (Extension d'indication) | Arthrite juvénile idiopathique systémique. |
| LUCENTIS (Extension d'indication) | Traitement de la baisse visuelle due à une néovascularisation choroïdienne (NVC) secondaire à une myopie forte. |
| IMNOVID (Inscription) | En association à la dexaméthasone, traitement du myélome multiple en rechute et réfractaire chez les patients adultes ayant déjà reçu au moins deux traitements antérieurs comportant le lénalidomide et le bortézomib et dont la maladie a progressé pendant le dernier traitement. |
| REVLIMID (Inscription) | Traitement des patients présentant une anémie avec dépendance transfusionnelle due à un syndrome myélodysplasique (SMD) de risque faible ou intermédiaire-1 associé à une anomalie cytogénétique de type délétion 5q isolée (del 5q), lorsque les autres options thérapeutiques sont insuffisantes ou inappropriées. |
| REVLIMID (Extension d'indication) | Traitement des patients présentant une anémie avec dépendance transfusionnelle due à un syndrome myélodysplasique (SMD) de risque faible ou intermédiaire-1 associé à une anomalie cytogénétique de type délétion 5q isolée (del 5q), lorsque les autres options thérapeutiques sont insuffisantes ou inappropriées. |
| SOVALDI (Inscription) | En association à d'autres médicaments, traitement de l'hépatite C chronique chez l'adulte. <i>La commission a considéré une ASMR II dans la prise en charge de l'ensemble des patients adultes infectés par le VHC, excepté pour les patients de génotype 3 naïfs de traitement antiviral où une ASMR III a été octroyée.</i> |
| TIVICAY (Inscription) | En association avec d'autres antirétroviraux, traitement de l'infection par le virus de l'immunodéficience humaine (VIH), chez les adultes et adolescents à partir de 12 ans. <i>La commission a reconnu l'ASMR III chez les patients en impasse thérapeutique et dont le virus est sensible au dolutégravir. Chez les patients naïfs de traitement antirétroviral ou prétraités, dont le virus ne possède pas de mutation de résistance aux inhibiteurs de l'intégrase (INI) : la commission a reconnu une ASMR IV.</i> |
| VELCADE (Extension d'indication) | En association à la dexaméthasone, ou à la dexaméthasone et au thalidomide, est indiqué pour le traitement d'induction des patients adultes atteints de myélome multiple non traité au préalable, éligibles à la chimiothérapie intensive accompagnée d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques. |
| VIMIZIM (Inscription) | Traitement de la mucopolysaccharidose de type IV A (syndrome de Morquio A, MPS IV A) chez les patients de tous âges. |

1.5 Réévaluations : renouvellements d'inscription, saisines et autosaisines

Si la commission examine les médicaments en vue de leur accès au remboursement (cf. 1.4), elle est également amenée à se prononcer sur l'opportunité de leur maintien dans le panier de biens remboursables. Cela peut avoir lieu dans différents contextes.

► Renouvellement d'inscription

Alors que l'inscription sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités (médicament pris en charge à l'hôpital) est valable sans limitation de durée, celle sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux (médicament remboursé en pharmacie de ville) est valable pour une durée de 5 ans, renouvelable.

Les entreprises du médicament sont donc tenues de déposer auprès de la commission une demande de renouvellement de l'inscription sur cette liste des médicaments qu'elles exploitent.

À cette occasion, la commission se prononce sur le maintien ou la modification du service médical rendu des spécialités concernées en prenant en compte à la fois des nouvelles données d'efficacité et de tolérance disponibles et des données acquises, des évolutions des pratiques concernant les pathologies et les stratégies thérapeutiques des indications concernées. Par son activité de veille permanente et par le biais des échanges réguliers avec ses partenaires institutionnels, le service évaluation des médicaments identifie puis analyse la portée de ces informations nouvelles.

Ainsi en 2014, la commission a rendu 184 avis répondant à une demande de renouvellement d'inscription. Dans la majorité des cas (163 avis), les données analysées issues du dossier déposé par l'industriel ou les recherches documentaires ont justifié le maintien du SMR attribué précédemment par la commission.

Lorsque la commission estime que son appréciation du SMR d'un médicament doit être modifiée, ce peut être suite à :

- une absence de confirmation, en conditions usuelles d'utilisation, des résultats obtenus dans les essais cliniques ;
- une modification de l'appréciation des performances au regard des conditions réelles d'utilisation ;
- la prise en compte de médicaments nouvellement entrés dans la pharmacopée et ayant des performances supérieures ;
- de nouvelles données concernant une mauvaise tolérance ;
- une modification de la place du médicament dans la stratégie thérapeutique.

Parmi les avis ayant vu une modification des conclusions de la commission :

- 2 ont proposé une élévation du SMR entraînant une recommandation de prise en charge du médicament à un taux plus important ;
- 10 ont conclu à une baisse du SMR le plus élevé entraînant une recommandation de prise en charge du médicament à un taux plus bas ;
- 8 ont entraîné une révision à la baisse du SMR dans une seule indication ou une population particulière dont 5 une recommandation de non-prise en charge dans cette indication ou cette population ;
- 2 ont conduit la commission à conclure à un SMR insuffisant pour la totalité des indications thérapeutiques, et, de ce fait, à une recommandation d'arrêt de la prise en charge du médicament.

► Réévaluation

À l'occasion de sa demande de renouvellement d'inscription mais aussi à tout moment de la vie de son produit, l'entreprise pharmaceutique peut, si elle considère disposer de données suffisamment pertinentes, demander la réévaluation de son SMR ou de son ASMR. Cela a été le cas pour 2 avis rendus en 2014.

La commission peut également être saisie par le ministre chargé de la santé et de la sécurité sociale ou le Collège de la HAS, ou se saisir elle-même et réévaluer ainsi le SMR ou l'ASMR d'un médicament ou d'une classe de médicaments, notamment lorsqu'elle propose l'inscription d'un médicament susceptible de modifier substantiellement les stratégies thérapeutiques antérieures.

Cela a été le cas pour 79 avis rendus en 2014, dont 1 qui concernait une saisine de réexamen de population cible et donc ni le SMR, ni l'ASMR.

Parmi ces avis, 13 ont été rendus en réponse à la saisine conjointe de la Direction générale de la santé, de la Direction de la sécurité sociale et de la Direction générale de l'offre de soins qui fait suite aux travaux menés par le Conseil de l'hospitalisation pour mettre à jour la liste des médicaments facturables en sus des prestations hospitalières. La HAS donc a été saisie en octobre 2013 pour se prononcer sur l'ASMR de 13 des spécialités figurant sur cette liste. Compte tenu de l'ancienneté des évaluations antérieures de certains de ces produits, la commission a reconnu : 8 SMR important, 4 SMR faible, 1 SMR insuffisant et 8 ASMR V, 1 ASMR IV, 3 ASMR II.

Parmi les 65 autres avis rendus suite à une réévaluation, la commission a maintenu ses conclusions précédentes à 36 reprises.

Parmi les 29 avis ayant vu une modification des conclusions de la commission :

- 6 ont conclu à une baisse du SMR le plus élevé entraînant une recommandation de prise en charge du médicament à un taux plus bas ;
- 19 ont conclu à l'octroi d'un SMR insuffisant dans une seule indication ou une population, recommandant ainsi la restriction du périmètre de prise en charge du médicament concerné ;
- 4 ont conduit la commission à conclure à un SMR insuffisant pour la totalité des indications thérapeutiques, et, de ce fait, à une recommandation d'arrêt de la prise en charge du médicament.

1.6 Délai de traitement des demandes

Le Code de la sécurité sociale dispose dans son article R. 163-9 que « *Les décisions relatives à l'inscription du médicament [...] sont prises et communiquées à l'entreprise pharmaceutique dans un délai de cent quatre-vingts jours à compter de la réception par le ministre chargé de la sécurité sociale de la demande* ».

Pour ce qui concerne le délai d'instruction par la commission, est retenu le temps écoulé entre la validation du dossier et l'envoi de l'avis définitif au Comité économique des produits de santé. Cette validation est prononcée à l'issue de l'enregistrement du dossier et du contrôle de son contenu administratif et réglementaire. En cas d'irrégularité dans le dépôt du dossier, l'enregistrement est retardé jusqu'à l'obtention des pièces manquantes. Pour un dossier complet, la validation intervient entre 24 et 72 heures après le dépôt.

L'évaluation d'un dossier validé peut néanmoins être suspendue à l'initiative de la commission ou de son bureau à tout moment de la procédure d'instruction, notamment si les éléments d'appréciation communiqués par l'entreprise sont insuffisants ou si des données nouvelles sont disponibles.

Par ailleurs, le 23 juillet 2014, la commission de la transparence a adopté une modification de son règlement intérieur qui stipule désormais que le délai est suspendu pendant la phase contradictoire à compter de la date de demande d'audition et jusqu'à la tenue de celle-ci. Afin d'harmoniser le calcul des délais pour l'ensemble des dossiers, cette mesure a été appliquée de façon rétroactive aux avis rendus en 2014. Le délai moyen de traitement des demandes de première inscription a donc été de 107 jours, le délai médian de 95 jours. Quarante-huit pour cent de ces demandes ont été traitées en moins de 90 jours.

1.7 Phases contradictoires et recours

1.7.1 Phase contradictoire

Cette partie porte sur les phases contradictoires des avis transmis aux ministres en 2014. L'audition ou l'examen des observations écrites de l'entreprise pharmaceutique peut avoir eu lieu en 2013.

Lors de l'audition qu'elle a sollicitée dans le cadre de la phase contradictoire, l'entreprise pharmaceutique dispose de 15 minutes pour exposer ses arguments portant sur ses principaux points de désaccord avec l'appréciation de la commission. Ces points portent le plus souvent sur le SMR, l'ASMR ou sur l'estimation de la population cible. L'entreprise pharmaceutique peut se faire accompagner d'experts de son choix, qui se différencient des experts choisis par la commission. Pour ces auditions, les entreprises des médicaments transmettent au préalable au service évaluation des médicaments toutes les observations écrites qu'elles souhaitent faire.

À l'issue de l'audition, la commission délibère à nouveau, tenant compte, le cas échéant, des arguments et éclairages présentés par l'entreprise pharmaceutique, puis vote. Son avis définitif est alors communiqué à l'entreprise pharmaceutique qui dispose de 8 jours calendaires pour signaler exclusivement les éventuelles erreurs matérielles. En 2014, les entreprises ont sollicité une audition pour 49 avis.

Tableau 12. Motif d'examen par la commission pour les avis ayant fait l'objet d'une audition

| Demande | Nombre de dossiers |
|---|--------------------|
| Première inscription | 26 |
| Inscription dans une extension d'indication | 9 |
| Renouvellement d'inscription | 7 |
| Réévaluation du SMR ou de l'ASMR à l'initiative de la commission/HAS ou des laboratoires ou suite à une saisine | 6 |
| Autre* | 2 |

* Une réévaluation de la population cible et une modification des conditions d'inscription.

► Détail des modifications apportées

Quarante-cinq des 49 auditions sollicitées en 2014 concernaient soit le SMR, soit l'ASMR. À l'issue de 34 de ces auditions les conclusions ont été maintenues (70 %) ; elles ont donc été modifiées dans 30 % des cas, totalement ou partiellement, en conformité ou non avec les revendications des entreprises. En revanche, aucune audition n'a donné lieu à une révision à la baisse du SMR ou de l'ASMR.

Tableau 13. Modifications de SMR ou d'ASMR apportées suite à une audition

| Critère | Modification |
|------------|--|
| SMR | Passage de faible à modéré dans une indication (2 avis) |
| SMR | Passage de modéré à important dans une indication (2 avis) |
| SMR | Passage de SMR insuffisant à faible |
| SMR | Passage de SMR insuffisant à modéré dans un contexte limité (3 avis) |
| SMR | Passage de SMR insuffisant à important + limitation de la prescription |
| SMR + ASMR | Passage de SMR modéré à important et de ASMR V à IV |
| ASMR | Passage de V à « conserve le II » |
| ASMR | Maintien du V mais modification du libellé et donc du comparateur |
| SMR | Passage de modéré à important |
| ASMR | Passage de V à IV |
| Autre | Modification partielle de la place dans la stratégie thérapeutique |

Par ailleurs, peuvent être soumises à la commission les observations écrites des laboratoires portant notamment sur le SMR, l'ASMR ou la population cible puisque le bureau de la commission n'a pas délégation d'action sur ces aspects. Ceci a été le cas pour 13 avis en 2014.

1.7.2 Recours dans le cadre de l'article R. 163-13

Après que l'avis définitif a été transmis au Ministre en charge de la santé et de la sécurité sociale et que l'UNCAM en a été informée, l'article R. 163-13 du Code de la sécurité sociale dispose que :

« I.-Le ministre chargé de la sécurité sociale et le ministre chargé de la santé informent l'entreprise pharmaceutique qui exploite le médicament de leur intention de radier un médicament des listes prévues au premier alinéa de l'article L. 162-17 du présent code et à l'article L. 5123-2 du code de la santé publique. L'Union nationale des caisses d'assurance maladie est également informée de cette intention.

Le directeur général de l'Union nationale des caisses d'assurance maladie informe l'entreprise pharmaceutique qui exploite un médicament inscrit sur la liste prévue au premier alinéa de l'article L. 162-17 de son intention de modifier le taux de participation de l'assuré aux frais d'acquisition de ce médicament lorsque cette modification résulte d'un changement dans l'appréciation du service médical rendu par le produit. Le ministre chargé de la sécurité sociale, le ministre chargé de la santé et le comité économique des produits de santé sont également informés de cette intention.

Dans les deux cas, l'entreprise pharmaceutique qui exploite le médicament peut présenter des observations écrites ou demander à être entendue par la commission prévue à l'article R. 163-15, dans le mois suivant réception de cette information. »

Dans ces cas, la commission se prononce sur le bien-fondé de la radiation ou du changement de taux de participation de l'assuré.

En 2014, ce droit a été exercé à huit reprises, 7 fois contre l'intention du ministre de radier et une fois contre l'intention de baisse de taux de l'UNCAM. Quatre laboratoires sont venus en audition et 4 ont présenté des observations écrites.

Suite à ces 8 recours, la commission a maintenu ses conclusions initiales.

1.8 Demandes retirées par les entreprises

L'entreprise pharmaceutique peut demander à tout moment le retrait de sa demande. Depuis septembre 2011, le règlement intérieur de la commission stipule que si la demande intervient après l'examen et avant que l'avis ne soit réputé définitif, le président de la commission prend acte de cette demande et le projet d'avis est annexé au compte-rendu. Les données qui sont de l'ordre du secret industriel et commercial sont cependant masquées.

En 2014 :

- 3 demandes de retrait après examen par la commission ont été formulées par les entreprises ;
- ces retraits ont concerné des demandes de première inscription ;
- dans tous les cas, la commission a estimé que le service médical rendu par le médicament était insuffisant ;
- tous ces retraits ont eu lieu après l'adoption de l'avis, au cours de la phase contradictoire, mais avant que l'avis ait été définitif.

2. Études post-inscription

Au moment de l'évaluation par la commission, il peut persister une incertitude sur les conséquences, à court ou à long terme, de l'introduction du nouveau médicament sur la santé de la population. La commission a la possibilité, si elle l'estime crucial pour la réévaluation d'un médicament, de demander à ce que soient recueillies des données complémentaires à celles déposées lors de son inscription.

Ces données visent à collecter des informations pragmatiques, essentielles pour réduire l'incertitude initiale et permettre une réévaluation pertinente des médicaments concernés, tant sur les aspects cliniques (efficacité et tolérance à l'échelle du patient) que sur les aspects collectifs (impact sur l'organisation des soins, paramètres économiques, etc.). Ces données n'ont pas vocation à remplacer celles d'un développement défailant mais à apporter une information complémentaire aux essais cliniques disponibles, en particulier lorsqu'il existe un doute sur la transposabilité de leurs résultats à la pratique courante. Elles permettent de documenter les modalités d'utilisation du médicament en conditions réelles d'utilisation (caractéristiques des médecins prescripteurs et des patients, règles d'arrêt ou de poursuite du traitement, bon usage et mésusage, etc.). Elles consistent aussi à évaluer l'efficacité et la tolérance sur des périodes de temps supérieures à celles des essais cliniques soumis lors de la première évaluation.

Ces données doivent être disponibles lors de la réévaluation du médicament. Dans le contexte d'une gestion active du panier de biens et services remboursables et pour renseigner au mieux les patients et les professionnels de santé sur les technologies de santé, les études mises en place pour collecter ces données constituent un élément important des réévaluations.

La responsabilité de mettre en place ces études revient aux industriels concernés par les médicaments pour lesquels ces demandes sont formulées. Dans le cadre du suivi de ces études, la HAS s'assure de l'adéquation de la méthodologie à l'objectif de l'étude afin d'anticiper sur sa capacité à répondre aux questions posées par la commission. En cas de non-réalisation ou de retard à la réalisation de ces études, des sanctions peuvent être prises, réglementaires ou financières.

Consciente des enjeux et des difficultés qui peuvent être rencontrées dans la réalisation de ces études, la HAS a mis à disposition des promoteurs de ces études des documents sur l'élaboration d'un protocole d'étude post-inscription ainsi que d'un rapport d'étude⁶. Ils donnent des points de repère pratiques sur les aspects méthodologiques des études post-inscription.

⁶ www.has-sante.fr/portail/jcms/c_1725427/fr/modeles-de-documents-relatifs-aux-etudes-post-inscription-demandees-par-la-haute-autorite-de-sante.

Le suivi de la mise en œuvre et de la réalisation de ces études se fait en coordination avec le Comité économique des produits de santé (CEPS). L'article 11 de l'accord cadre CEPS-LEEM du 5 décembre 2012 prévoit de nouvelles modalités de suivi et d'évaluation des nouveaux médicaments en pratique médicale réelle. C'est ainsi qu'un comité de suivi des études en vie réelle réunissant le CEPS et la HAS a été mis en place le 9 avril 2013.

Le comité de suivi des études en vie réelle a pour missions de contribuer à la mise en œuvre et à la réalisation des études en pratique médicale réelle en s'attachant particulièrement aux obstacles manifestes à leur faisabilité dans les délais fixés. Il se saisit des difficultés lorsqu'il les constate ainsi que de celles qui lui auraient été transmises par les entreprises ou par le LEEM. Ses constats et ses conclusions font l'objet d'échanges avec chaque entreprise concernée ainsi qu'avec le LEEM dès lors que ceux-ci ont une portée générale.

Pour cela, des échanges d'information sur les demandes d'études venant du CEPS et de la commission de la transparence de la HAS ont désormais lieu. Les thèmes abordés lors de ces échanges visent à clarifier et à simplifier l'ensemble du processus et prioritairement le contenu de l'étude elle-même grâce à une hiérarchisation des objectifs et à leur mise en adéquation avec les exigences de l'évaluation ; ils concernent également le respect du calendrier de réalisation.

Il est prévu, dans l'organisation et le fonctionnement de ces réunions du comité de suivi, que ces échanges puissent prendre la forme d'auditions avec les industriels et, si besoin, avec le LEEM. Les industriels n'assistent pas aux délibérations du comité de suivi des études en vie réelle.

En 2014, le comité s'est réuni à six reprises (14 janvier, 11 mars, 5 mai, 1^{er} juillet, 16 septembre et 2 décembre). Lors de ces réunions, le comité a :

- poursuivi son travail de clarification de son fonctionnement et de l'organisation de ses travaux ;
- poursuivi sa réflexion sur les études post-inscription à réaliser, à maintenir, à surseoir ou à interrompre ;
- identifié les études non démarrées et/ou celles devant être accélérées en raison d'un rythme d'inclusion ne permettant pas le respect des délais prévus ;
- fait un bilan de l'ensemble des études demandées entre 2011 et 2013 ainsi que dans les domaines des biothérapies des maladies inflammatoires, de l'hépatite C, de la vaccination contre le HPV, des nouveaux anti-coagulants, afin d'en dégager les profils, les avancées et les mesures correctrices à prendre ;
- anticipé sur les résultats des études à venir sur l'année 2014.

Le comité a enfin affirmé la volonté commune de la HAS et du CEPS de mutualiser les demandes de chaque institution de manière à éviter les redondances et à favoriser la réalisation d'une étude dans les meilleures conditions possible.

Étant donné leurs conséquences qui peuvent être importantes, ces études doivent être réalisées selon les standards requis de méthodologie et de qualité. L'objectif de tous est bien d'obtenir dans les délais compatibles avec les calendriers de l'évaluation les résultats validés des évaluations demandées, qu'elles soient médicales ou médico-économiques.

Les études post-inscription en cours en 2014 sont au nombre de 128. Huit nouvelles demandes ont été prononcées, pour 7 par la commission et pour 1 par le CEPS. Douze avis de la commission ont intégré les résultats finaux d'études post-inscription.

Un bilan de l'impact des études post-inscription sur les conclusions de la commission a été soumis pour publication.

3. Innovation et activités internationales

3.1 Les médicaments présumés innovants

Dans un contexte où de grandes innovations ont d'ores et déjà été réalisées (vaccins, antibiotiques, thérapies ciblées, biothérapies, prévention des maladies cardio-vasculaires, etc.), démontrer un progrès supplémentaire devient ardu.

Afin de soutenir l'innovation et en cas de médicament présumé innovant, l'instruction et l'évaluation par la commission de la transparence sont accélérées grâce à un dépôt de dossier auprès du service évaluation des médicaments concomitamment au dépôt du dossier de demande d'AMM et au démarrage d'une instruction anticipée. Pour être ainsi désigné, le médicament doit remplir les critères qui sont :

- une nouvelle modalité de prise en charge de la maladie ;
- susceptible d'apporter un progrès cliniquement pertinent par rapport aux moyens disponibles ;
- et qui répond à un besoin non ou insuffisamment couvert.

En 2014, une demande de reconnaissance de médicament présumé innovant a été faite par deux entreprises du médicament. Seule l'une de ces demandes a obtenu une réponse favorable mais a dû être retirée dans un second temps en raison du retrait de la demande d'AMM.

Afin d'obtenir une instruction accélérée de leur dossier, les laboratoires ont aussi la possibilité de le déposer avant l'obtention de l'AMM.

Dans le cas d'une procédure d'octroi d'AMM européenne centralisée, il faut que le Comité des médicaments humains ait donné un avis favorable. Dans le cas d'une procédure décentralisée, le RCP doit être disponible. Ces conditions remplies, les laboratoires peuvent déposer un pré-dossier et l'instruction peut démarrer avant l'octroi de l'AMM.

Ces instructions et dépôts anticipés ne préjugent en rien des conclusions de la commission.

3.2 Les rendez-vous précoces

La HAS, au même titre que les autres agences d'évaluation technologiques (HTA) européennes, réalise des « rendez-vous précoces » avec les industriels qui développent des médicaments.

L'objectif de ces rendez-vous est de répondre aux questions posées par ces entreprises sur la manière dont elles peuvent conduire les essais de phase III d'un médicament encore en cours de développement.

Cela est réalisé pour des nouveaux médicaments, afin de conduire l'entreprise du médicament à fournir des données d'un standard de qualité répondant aux exigences de l'évaluation des technologies de santé.

Ces rendez-vous se déroulent soit au niveau national, rendez-vous de l'entreprise avec la HAS, soit au niveau international, rendez-vous avec les autres agences d'HTA européennes (dans le cadre d'un projet de la Commission européenne dit SEED), avec ou sans l'Agence européenne du médicament.

Pour ces rendez-vous précoces, les entreprises du médicament transmettent une demande qui permet d'en étudier la faisabilité pour un médicament nouveau, réellement en cours de développement et dans une maladie où la couverture du besoin est imparfaite. L'étape de faisabilité franchie, un dossier contenant les données obtenues en phase II (efficacité et tolérance) et les projets de développement en phase III (plan de développement et schéma des études de phase III) est fourni. À ce dossier sont associées les questions posées par l'entreprise aux agences d'HTA. Les aspects abordés dans ce dossier sont :

- contexte médical et connaissances concernant la pathologie ciblée, modalités de prise en charge, traitements existants et positionnement possible du médicament (pour la pathologie concernée : priorités de santé publique, recommandations pour la pratique clinique, etc.) et évaluations déjà réalisées ;
- spécificités du médicament concerné par la rencontre précoce ;
- données d'efficacité et de tolérance du médicament déjà collectées (résultats et niveau de preuve) ;
- essais cliniques envisagés (plan expérimental, objectif, population ciblée, comparateurs, critères de jugement, durée de traitement ou de suivi, etc.).

Les questions portent sur la population à inclure, les comparateurs et les critères de jugement à choisir, la durée de suivi, les schémas d'études, etc. Des questions portant sur la réalisation d'une évaluation médico-économique, si une étude évaluant l'efficacité est envisagée, sont aussi posées.

Sur la base des informations fournies et des questions, une rencontre a lieu et a pour objectif de répondre aux questions. À l'issue du rendez-vous, un compte-rendu est rédigé et conservé par chacun des participants.

Ces rendez-vous précoces sont non obligatoires, non liants, gratuits et confidentiels.

Les modalités de dépôt relatives aux rendez-vous précoces nationaux sont publiées sur le site de la HAS⁷.

En 2014, 7 rendez-vous précoces ont été organisés, permettant la poursuite des efforts sur l'intégration des exigences de l'évaluation de la HAS dans le contexte international de l'évaluation des technologies de santé :

- 4 rendez-vous précoces européens dans le cadre du projet SEED dont 2 en partenariat avec l'EMA ;
- 1 organisé avec différentes agences d'HTA européennes et l'EMA ;
- 2 rendez-vous précoces nationaux.

Ils ont concerné des maladies aussi diverses que :

- le myélome multiple, le cancer bronchique non à petites cellules (2 rendez-vous), la myasthénie, une maladie rare, pour les rendez-vous internationaux ;
- l'hépatite C, la dégénérescence maculaire, pour les rendez-vous nationaux.

4. Remboursement dérogatoire

4.1 Article 48⁸

Depuis le 1^{er} janvier 2014, conformément à l'article L. 162-16-5-1 et 2 du Code de la sécurité sociale prévu par la loi de financement de la sécurité sociale pour 2014 :

« I. – Un médicament qui, préalablement à l'obtention de son autorisation de mise sur le marché, a bénéficié d'une autorisation temporaire d'utilisation prévue au 1^o du I de l'article L. 5121-12 du code de la santé publique peut, à compter de la date à laquelle l'autorisation temporaire d'utilisation cesse de produire ses effets, être acheté, fourni, pris en charge et utilisé au profit des patients par les collectivités publiques pour une indication répondant à l'une des situations suivantes :

2^o L'indication n'a pas fait l'objet de l'autorisation temporaire d'utilisation, est mentionnée dans l'autorisation de mise sur le marché et soit il n'existe pas d'alternative thérapeutique prise en charge par les régimes obligatoires de sécurité sociale identifiée par la Haute Autorité de santé, soit le patient est en échec de traitement ou présente une contre-indication aux alternatives thérapeutiques prises en charge identifiées.

II. – La prise en charge des indications mentionnées au 2^o du I du présent article est autorisée sur avis conforme de la Haute Autorité de santé, saisie par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé.

La Haute Autorité de santé mentionne, pour chaque indication concernée, les alternatives thérapeutiques prises en charge au titre des articles L. 162-17, L. 162-17-2-1 ou L. 162-17-2-2 du présent code ou de l'article L. 5123-2 du code de la santé publique. Elle transmet son avis aux ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale ainsi qu'à l'agence et le rend public, au plus tard un mois après l'obtention de l'autorisation de mise sur le marché. »

⁷ www.has-sante.fr/portail/jcms/c_1625763/fr/deposer-une-demande-de-rencontre-precoce.

⁸ Dispositif permanent pour les autorisations temporaires d'utilisation (ATU) de cohorte et transitoire pour les ATU nominatives (janvier à juillet 2014).

Dans ce contexte, l'ANSM doit informer la HAS des médicaments concernés dans un délai d'au maximum 15 jours après l'avis favorable du CHMP ou de l'obtention de l'AMM afin que la HAS puisse rendre un avis sur l'existence éventuelle d'alternatives des médicaments en post-ATU, mais pré-inscription.

Le Collège de la HAS doit se prononcer sur les alternatives ayant l'AMM et remboursables existantes, le cas échéant, dans l'indication de l'AMM qui n'a pas fait l'objet d'une ATU de cohorte.

Trois cas peuvent se présenter.

1/ L'indication de l'ATU est plus restreinte que celle de l'AMM ; la HAS définit l'(les) indication(s) non définie(s) dans l'ATU de cohorte mais incluses dans le libellé proposé par le CHMP ou validé dans l'AMM et identifie le cas échéant les alternatives prises en charge par les régimes obligatoires de sécurité sociale.

2/ L'indication proposée par le CHMP ou validée dans l'AMM est identique à celle définie dans l'ATU de cohorte de la spécialité. Par conséquent, le 2° du I de l'article L. 162-16-5-2 du Code de la sécurité sociale ne s'applique pas puisqu'il ne concerne que les indications mentionnées dans l'AMM et n'ayant pas fait l'objet d'une ATU. Il n'y a donc pas lieu d'identifier, dans ce cas, des alternatives thérapeutiques prises en charge par les régimes obligatoires de sécurité sociale.

3/ L'indication proposée par le CHMP ou validée par l'AMM est plus restreinte que celle définie dans l'ATU de cohorte de la spécialité. Là aussi, le 2° du I de l'article L. 162-16-5-2 du Code de la sécurité sociale ne s'applique pas. Il n'y a donc pas lieu d'identifier, dans ce cas, des alternatives thérapeutiques prises en charge par les régimes obligatoires de sécurité sociale.

Depuis le 1^{er} janvier 2014, 17 avis ont été rendus. Les délais d'examen par le Collège de la HAS ont été d'en moyenne 30 jours avec une publication effectuée avec un délai d'un mois supplémentaire du fait de l'attente de la publication des AMM validée par la Commission européenne.

4.2 Recommandations temporaire d'utilisation (RTU)

Conformément à l'article L. 162-17-2-1 du Code de la sécurité sociale :

« Lorsqu'il n'existe pas d'alternative appropriée, toute spécialité pharmaceutique faisant l'objet d'une recommandation temporaire d'utilisation prévue au I de l'article L. 5121-12-1 du code de la santé publique, tout produit ou toute prestation prescrit en dehors du périmètre des biens et services remboursables pour le traitement d'une affection de longue durée remplissant les conditions prévues aux 3° ou 4° de l'article L. 322-3 du présent code ou d'une maladie rare telle que définie par le règlement (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins peut faire l'objet, à titre dérogatoire et pour une durée limitée, d'une prise en charge ou d'un remboursement. La spécialité, le produit ou la prestation doit figurer dans un avis ou une recommandation relatifs à une catégorie de maladies formulés par la Haute Autorité de santé, après consultation de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé pour les produits mentionnés à l'article L. 5311-1 du code de la santé publique, à l'exception des spécialités pharmaceutiques faisant déjà l'objet, dans l'indication thérapeutique concernée, d'une recommandation temporaire d'utilisation prévue à l'article L. 5121-12-1 du même code... »

« ... les spécialités, produits ou prestations faisant l'objet de l'arrêté ne peuvent être pris en charge que si leur utilisation est indispensable à l'amélioration de l'état de santé du patient ou pour éviter sa dégradation... »

Dans ce contexte, l'ANSM informe la HAS des médicaments concernés dès la finalisation du protocole validé avec les laboratoires exploitants afin qu'elle puisse juger du **bien-fondé de leur prise en charge à titre dérogatoire dans le cadre d'une recommandation temporaire d'utilisation**.

Sur la base des données mentionnées dans le protocole transmis par l'ANSM, des recommandations en vigueur, des avis d'experts et des données épidémiologiques disponibles, le service évaluation des médicaments élabore un projet de recommandation :

- précisant les caractéristiques du médicament (indications et modalités d'utilisation) ;
- synthétisant les données cliniques disponibles justifiant de son efficacité et de sa tolérance ;
- estimant la population concernée ;
- justifiant le bien-fondé de sa prise en charge dérogatoire en tenant compte de la pathologie, de sa gravité, de la stratégie thérapeutique, de l'absence d'alternative disponible et de sa place dans ce contexte.

L'ensemble de ces données doit permettre de **justifier le fait que l'utilisation de ce médicament est indispensable pour les patients, afin d'améliorer leur état de santé ou éviter leur dégradation**.

Ce projet de recommandation est soumis pour information et commentaires aux membres de la commission de la transparence et pour validation et décision finale au Collège de la HAS.

Depuis le 1^{er} janvier 2014, pour l'ensemble des RTU soumises par l'ANSM, un avis du Collège a été rendu. Il s'agit de :

- Baclofène : « Alcool-dépendance » ;
- Remicade : « Maladie de Takayasu réfractaire aux traitements conventionnels » ;
- Roactemra : « Maladie de Castleman inflammatoire non associée au virus HHV8 ».

Deux autres avis sont prêts mais en attente de publication du protocole validé par l'ANSM.

5. Information et bon usage des médicaments

L'une des missions confiées à la commission est celle de l'élaboration et de la diffusion de documents d'information sur les produits de santé. Afin de transmettre aux professionnels de santé des informations sur le bon usage des médicaments, la Commission élabore des synthèses d'avis et des fiches de bon usage des médicaments.

5.1 Synthèses d'avis

Depuis 2009, la commission diffuse des synthèses d'avis qui visent à éclairer les prescripteurs, médecins généralistes et spécialistes, libéraux et hospitaliers, dans leur décision thérapeutique. À ce jour, un peu plus de [600 synthèses d'avis sont disponibles](#).

Il s'agit d'une information à la fois synthétique et objective sur le médicament qui concerne notamment les nouveaux médicaments proposés au remboursement par les laboratoires et, pour les médicaments déjà remboursés, leurs nouvelles indications.

Ces synthèses, issues des avis de la commission, comprennent les messages clés de l'évaluation scientifique et médicale des médicaments. Elles visent à informer les prescripteurs sur l'intérêt du médicament dans la prise en charge d'une affection d'une indication précise, notamment au regard des alternatives thérapeutiques disponibles. Pour améliorer la lisibilité de ces synthèses, les messages essentiels sont résumés en début de document.

La cible principale est celle du prescripteur, en particulier le médecin généraliste. Celui-ci est dans l'attente d'informations essentielles mais courtes et dans un champ d'intérêt large, portant sur de nombreuses classes thérapeutiques. Certaines synthèses d'avis concernent aussi des médicaments qui sont disponibles uniquement à l'hôpital.

En 2014, 106 synthèses d'avis ont été élaborées et diffusées ; elles ont été publiées sur le site de la HAS. Elles y sont directement accessibles avant que la visite médicale des laboratoires pharmaceutiques ne débute chez le praticien. Pour les recevoir chacun peut aussi souscrire librement à un abonnement par courriel afin d'en être systématiquement destinataire. La parution d'une nouvelle synthèse fait l'objet d'une information *via* Twitter.

5.2 Fiches bon usage du médicament

Les fiches bon usage du médicament sont rédigées pour des médicaments ou un ensemble de médicaments disposant de la même indication dont la population cible est importante, dont la place dans la stratégie thérapeutique mérite d'être explicitée ou rappelée ou pour lesquels on anticipe un risque de mésusage.

Les fiches bon usage du médicament sont publiées sur le [site Internet](#) de la Haute Autorité de santé. Ces fiches ont pour objectif de faire connaître les résultats de l'évaluation ou de la réévaluation d'un médicament ou d'un groupe de médicament et de livrer au plus grand nombre le message clé résultant de son analyse.

Les performances du médicament, le progrès susceptible d'être apporté aux patients (ou pour certains groupes de patients) et la place de ces médicaments dans la stratégie thérapeutique par rapport aux moyens déjà disponibles sont les principaux axes d'information. Ces fiches visent ainsi à apporter des informations essentielles au bon usage de ces médicaments par les professionnels de santé concernés.

En 2014, 3 fiches bon usage des produits de santé/fiches classe ont été publiées, portant sur :

- Jevtana®, Xtandi® et Zytiga® dans le traitement du cancer de la prostate ;
- la place des agonistes dopaminergiques dans le traitement du syndrome des jambes sans repos ;
- les médicaments des accès douloureux paroxystiques du cancer.

Enfin, la commission a contribué à la rédaction d'un document de synthèse sur la prise en charge de l'hépatite C.

5.3 Fiches d'information thérapeutique

Le Code de la sécurité sociale dispose dans son article R.163-2 que « *L'inscription [au remboursement] peut être assortie, pour certains médicaments particulièrement coûteux et d'indications précises, d'une clause prévoyant qu'ils ne sont remboursés ou pris en charge qu'après information du contrôle médical, selon une procédure fixée par un arrêté du ministre chargé de la sécurité sociale. Dans ce cas, est annexée à l'arrêté d'inscription du médicament sur la liste une fiche d'information thérapeutique établie par la Commission [de la transparence]. Cette fiche rappelle, d'une part, les indications thérapeutiques mentionnées au premier alinéa ci-dessus, d'autre part, les modalités d'utilisation du médicament résultant de ses caractéristiques approuvées par l'autorisation de mise sur le marché et concernant notamment la posologie et la durée de traitement dans les indications ouvrant droit à la prise en charge ou au remboursement. La fiche rappelle également, le cas échéant, les restrictions apportées par l'autorisation de mise sur le marché à la prescription et à la délivrance du médicament.* »

Ces médicaments font l'objet d'une prescription sur une ordonnance spécifique. La prescription doit préciser l'indication pour laquelle le médicament est prescrit afin que soit vérifié qu'elle entre dans « l'indication précise » définie par l'AMM et par la commission de la transparence qui en a défini le remboursement. La fiche d'information thérapeutique est une aide au prescripteur afin qu'il puisse effectuer ces prescriptions de manière adaptée.

En 2014, la commission a rédigé ou mis à jour une douzaine de fiches d'information thérapeutique.

Conclusions

Les avis de la commission en chiffres

Au cours de l'année 2014, la commission a reçu 634 demandes dont, notamment, 192 demandes de première inscription, 34 demandes d'extension d'indication, 212 demandes de renouvellement d'inscription, 48 demandes de modification des conditions d'inscription, 46 réévaluations programmées et 5 saisines. La différence entre 2013 et 2014 réside principalement en une diminution globale des demandes déposées (-127).

Lors de cette année, la commission aura rendu 620 avis. Le nombre d'inscriptions examinées par la commission aura été stable entre 2013 et 2014 mais les avis rendus en procédure complète auront augmenté de 147 en 2013 à 219 en 2014. Ces procédures complètes comprennent des inscriptions de nouveaux médicaments, des extensions d'indications et des réévaluations).

Les délais pour rendre les avis de demandes de première inscription quelle que soit la procédure ont été quelque peu augmentés par rapport à 2013 avec 107 jours en moyenne (95 jours en médiane). Quarante-huit pour cent des demandes auront été traitées en moins de 90 jours (délai maximal requis).

En 2014, la commission a poursuivi sa juste appréciation de l'intérêt thérapeutique des nouveaux médicaments. Le service médical rendu (SMR) des médicaments s'apprécie indication par indication. Ainsi sur les 190 demandes de première inscription, 7 médicaments n'ont pas été proposés au remboursement ou à la prise en charge, en raison d'un SMR insuffisant.

Parmi les SMR suffisants, 155 ont été importants, 28 modérés et 11 faibles.

Parmi les 45 avis de la commission portant sur de nouvelles indications d'un médicament déjà inscrit, la commission a attribué 2 SMR insuffisant pour une prise en charge par la solidarité nationale. Les SMR suffisants ont été importants pour 37 d'entre eux, modérés pour 6 et faibles pour 1.

Comme en 2013, les médicaments qui se sont vu reconnaître un progrès thérapeutique (amélioration du service médical rendu, ASMR), par comparaison au médicament de référence cliniquement pertinent ou par comparaison à la stratégie thérapeutique existante, sont peu nombreux.

Sur les 235 avis de première inscription ou d'extension d'indication pour lesquels la commission a été amenée à se prononcer, 41 médicaments se sont vu reconnaître l'existence d'une ASMR : 2 ASMR I, 9 ASMR II, 11 ASMR III et 19 ASMR IV.

Ainsi 186/235 médicaments demandant leur inscription ou celle d'une extension d'indication ont eu une ASMR V.

La reconnaissance de l'innovation se fait aussi dans le cadre de procédures accélérées d'instruction et d'examen. En 2014, seuls 2 médicaments ont fait l'objet de cette demande. L'un a répondu aux conditions nécessaires pour être considérés par le règlement intérieur de la commission comme « présumé innovant ». Cependant l'entreprise du médicament a dû dans un second temps retirer sa demande d'AMM, retirant de ce fait sa demande de médicament présumé innovant.

Le service évaluation des médicaments a également organisé en 2014, pour le compte de la commission, 7 rendez-vous précoces avec des laboratoires pharmaceutiques à propos de médicaments en cours de développement et susceptibles de couvrir un besoin de santé insuffisamment ou non couvert. Ces rendez-vous précoces ont permis d'indiquer aux industriels quels étaient, du point de vue de la commission, le meilleur comparateur pour leur nouveau médicament mais aussi les critères de jugement pertinents, les schémas d'études appropriés et la durée nécessaire des essais cliniques de phase III à mettre en place en vue d'être à même de fournir des données de qualité pour démontrer l'amélioration thérapeutique apportée par le nouveau produit.

Lisibilité, indépendance, impartialité et transparence de la commission

La commission confirme en 2014 sa doctrine publiée en 2011, ce qui contribue à la lisibilité de ses avis ainsi qu'à leur prévisibilité. Les éléments nécessaires à la démonstration de l'intérêt et du progrès thérapeutique sont désormais bien connus des industriels, en particuliers les déterminants qui conduisent à l'attribution d'un SMR suffisant ou insuffisant et à la reconnaissance d'une ASMR.

La modification de la structure de ses avis entreprise en octobre 2012 continue d'être appliquée, ce qui a permis de rendre lisible le choix du comparateur pertinent, les évaluations déjà faites à l'international, la discussion critique des données exposées, l'exposé détaillé des stratégies thérapeutiques et l'identification des données manquantes, nécessaires pour une réévaluation ultérieure.

En 2013, la commission a poursuivi sa politique de choix d'experts n'ayant pas de lien majeur avec les entreprises du médicament concernées par l'évaluation en cours, à l'exception de cas particuliers dûment motivés, notamment en cas de maladie rare et de médicament orphelin. Cela s'applique aussi bien aux membres de la commission participant aux débats et s'exprimant lors du vote que pour les experts extérieurs recrutés.

Dans le respect de la législation, les débats sont désormais enregistrés et retranscrits en sténotypie et les opinions des membres retracées de manière plus détaillée qu'auparavant dans les procès-verbaux des séances de la commission, accessibles sur le site de la HAS, au même titre que les ordres du jour.

Bon usage des médicaments et information destinée aux professionnels de santé

Dans le cadre de sa mission en faveur du bon usage du médicament, la commission a élaboré et publié sur le site Internet de la HAS 106 synthèses d'avis, pour un total actuellement disponible de plus de 600. Ces synthèses font toujours l'objet d'une information via Twitter.

Courtes et aisément lisibles, elles sont des aides à la prescription du médicament et mises à disposition bien avant que la visite médicale des laboratoires pharmaceutiques ne débute chez le praticien.

De plus, 3 fiches de bon usage du médicament ont été rédigées et publiées en 2014, portant sur Jevtana® et Zytiga® dans le traitement du cancer de la prostate, la place des agonistes dopaminergiques dans le traitement du syndrome des jambes sans repos et les médicaments des accès douloureux paroxystiques du cancer.

Un douzaine de fiches d'information thérapeutique ont été élaborées ou actualisées pour des médicaments d'exception et publiées sur le site de la HAS.

L'année 2014 a été marquée par deux nouvelles missions de la commission :

► Identification des alternatives d'un médicament post-ATU, pré-inscription

La loi de financement de la sécurité sociale (LFSS) pour 2014 dispose dans son article 48⁹ que, désormais, un médicament qui a bénéficié d'une autorisation temporaire d'utilisation (ATU) préalablement à l'obtention de son AMM peut être utilisé et pris en charge dans l'attente de son inscription au remboursement s'il répond à l'une des situations suivantes :

- l'indication de l'AMM est identique à celle ayant fait l'objet de l'ATU ;
- l'AMM comporte une (des) indication(s) qui n'ont pas fait l'objet de l'ATU et pour lesquelles il n'existe pas d'alternative thérapeutique prise en charge, ou le patient est en échec de traitement ou présente une contre-indication aux alternatives thérapeutiques prises en charge identifiées.

Dans ce cas, la HAS a identifié les éventuelles alternatives disponibles prises en charge dans les indications de l'AMM non prévues dans les ATU.

► Identification des données manquantes et analyse des études post-inscription

Jusqu'en juin 2013, la commission s'est appuyée sur le groupe de travail Intérêt de santé publique et études post-inscription (ISPEP). La mission de ce groupe a pris fin en juin 2013.

Depuis le mois de septembre 2013, c'est le service évaluation des médicaments qui a repris la mise en œuvre de ces missions.

En 2014, la commission a géré l'ensemble des demandes, modifié les modalités des demandes (réduction de leur nombre, focalisation sur des objectifs plus précis et plus restreints). Ceci avait pour objectif d'augmenter la qualité des études, leur faisabilité, dans des délais acceptables.

Cela a été réalisé en coordination avec le Comité économique des produits de santé.

9. Codifié à l'article L. 162-16-5-2 du Code de la sécurité sociale :

« I. – Un médicament qui, préalablement à l'obtention de son autorisation de mise sur le marché, a bénéficié d'une autorisation temporaire d'utilisation prévue au 1° du I de l'article L. 5121-12 du code de la santé publique peut, à compter de la date à laquelle l'autorisation temporaire d'utilisation cesse de produire ses effets, être acheté, fourni, pris en charge et utilisé au profit des patients par les collectivités publiques pour une indication répondant à l'une des situations suivantes :

1° L'indication a fait l'objet de l'autorisation temporaire d'utilisation et est mentionnée soit dans l'autorisation de mise sur le marché, soit dans une extension d'autorisation de mise sur le marché en cours d'évaluation par les autorités compétentes ;

2° L'indication n'a pas fait l'objet de l'autorisation temporaire d'utilisation, est mentionnée dans l'autorisation de mise sur le marché et soit il n'existe pas d'alternative thérapeutique prise en charge par les régimes obligatoires de sécurité sociale identifiée par la Haute Autorité de santé, soit le patient est en échec de traitement ou présente une contre-indication aux alternatives thérapeutiques prises en charge identifiées.

Par dérogation au premier alinéa du présent I, lorsque le traitement a été initié au titre d'une autorisation temporaire d'utilisation soit mentionnée au 1° du I du même article L. 5121-12 dans une indication non reprise dans l'autorisation de mise sur le marché, soit mentionnée au 2° du même I, la prise en charge du médicament est autorisée, sous réserve que l'indication n'ait pas fait l'objet d'une évaluation défavorable au titre de l'autorisation de mise sur le marché au sens du premier alinéa de l'article L. 5121-9 du code de la santé publique.

II. – La prise en charge des indications mentionnées au 2° du I du présent article est autorisée sur avis conforme de la Haute Autorité de santé, saisie par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé.

La saisine est transmise dans un délai de deux semaines à compter de l'avis du comité des médicaments à usage humain.

La Haute Autorité de santé mentionne, pour chaque indication concernée, les alternatives thérapeutiques prises en charge au titre des articles L. 162-17, L. 162-17-2-1 ou L. 162-17-2-2 du présent code ou de l'article L. 5123-2 du code de la santé publique. Elle transmet son avis aux ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale ainsi qu'à l'agence et le rend public, au plus tard un mois après l'obtention de l'autorisation de mise sur le marché.

III. – La prise en charge mentionnée au I du présent article dure jusqu'à ce qu'une décision relative à l'inscription de ce médicament, au titre de son autorisation de mise sur le marché, sur une des listes mentionnées au premier alinéa de l'article L. 5123-2 du code de la santé publique ou aux deux premiers alinéas de l'article L. 162-17 du présent code ait été prise et, le cas échéant, jusqu'à ce que l'avis de fixation du tarif de responsabilité ou du prix ait été publié.

Le présent article cesse de s'appliquer si aucune demande d'inscription sur une des listes mentionnées au premier alinéa de l'article L. 5123-2 du code de la santé publique ou à l'article L. 162-17 du présent code n'a été déposée, pour le médicament considéré, dans le mois suivant l'obtention de son autorisation de mise sur le marché. »

« II. – Le I entre en vigueur à compter du 1^{er} janvier 2014. Les spécialités ayant bénéficié des dispositions de l'article 24 de la loi n° 2011-2012 du 29 décembre 2011 relative au renforcement de la sécurité sanitaire du médicament et des produits de santé et pour lesquelles aucune décision n'a été prise, au titre de leur autorisation de mise sur le marché, sur leur inscription sur la liste mentionnée au premier alinéa de l'article L. 5123-2 du code de la santé publique ou sur une des listes mentionnées aux deux premiers alinéas de l'article L. 162-17 du code de la sécurité sociale continuent à bénéficier des dispositions du même article 24 jusqu'au 1^{er} août 2014.

À titre dérogatoire, un médicament qui, préalablement à l'obtention de son autorisation de mise sur le marché, n'a bénéficié que d'une autorisation temporaire d'utilisation prévue au 2° du I de l'article L. 5121-12 du code de la santé publique peut, à compter de la date de fin d'octroi de l'autorisation temporaire d'utilisation fixée par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé, être acheté, fourni, pris en charge et utilisé pour le traitement de nouveaux patients dans toutes les indications de son autorisation de mise sur le marché, dans les conditions prévues au présent article, dès lors que l'autorisation de mise sur le marché a été octroyée entre le 1^{er} janvier 2014 et le 1^{er} juillet 2014.

III. – Le Gouvernement remet chaque année au Parlement un rapport sur l'application du présent article. »

Liste des tableaux

| | |
|--|----|
| Tableau 1. Répartition entre les différents types de demandes déposées en 2014..... | 80 |
| Tableau 2. Répartition entre les différents types de demandes examinées en 2014..... | 80 |
| Tableau 3. Nombre de dossiers examinés par séance depuis 2012..... | 81 |
| Tableau 4. Avis rendus en 2014 selon les différents types de demandes..... | 81 |
| Tableau 5. SMR pour tout ou partie des indications en première inscription (toutes procédures)..... | 82 |
| Tableau 6. ASMR attribuées en 2014 aux demandes de première inscription ou d'inscription dans une nouvelle indication (toutes procédures)..... | 83 |
| Tableau 7. ASMR I, II et III attribuées depuis 2012 pour tout ou partie des indications en première inscription (toutes procédures)..... | 83 |
| Tableau 8. ASMR I, II et III attribuées depuis 2012 pour tout ou partie des indications en inscription dans une nouvelle indication (toutes procédures)..... | 83 |
| Tableau 9. Médicaments s'étant vu reconnaître une ASMR majeure en 2014..... | 84 |
| Tableau 10. Médicaments s'étant vu reconnaître une ASMR importante en 2014..... | 84 |
| Tableau 11. Médicaments s'étant vu reconnaître une ASMR modérée en 2014..... | 85 |
| Tableau 12. Motif d'examen par la commission pour les avis ayant fait l'objet d'une audition..... | 87 |
| Tableau 13. Modifications de SMR ou d'ASMR apportées suite à une audition..... | 87 |



Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS)

Conformément à l'article L. 161-37 du Code de la sécurité sociale modifié par la loi n° 2011-2012 du 29 décembre 2011 relative au renforcement de la sécurité sanitaire des médicaments et des produits de santé, la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS) établit chaque année un rapport d'activité qui est remis au Parlement. Le rapport d'activité de la CNEDiMTS se limite à sa mission réglementaire. Il ne concerne que l'évaluation des dispositifs médicaux en vue de leur inscription sur la liste des produits et prestations remboursables (LPPR) et l'évaluation de certains DM financés dans les prestations d'hospitalisation. Ce rapport ne concerne pas l'évaluation des actes professionnels.

Le rapport d'activité établi pour l'année 2014 est construit en deux parties :

- la première partie du rapport présente les missions, le fonctionnement et la doctrine de la CNEDiMTS en vue d'expliquer les modalités et principes selon lesquels elle met en œuvre les critères d'évaluation des produits de santé en vue de leur prise en charge par l'Assurance maladie.
- la deuxième partie détaille le bilan d'activité de la CNEDiMTS pour l'année 2014.
 - ▀ le bilan de l'activité non programmée correspondant à l'activité dite de « guichet » qui dépend du dépôt de dossiers des fabricants ou distributeurs de dispositifs médicaux :
 - les demandes déposées auprès du service évaluation des dispositifs médicaux,
 - les demandes examinées par la CNEDiMTS,
 - les avis rendus par la CNEDiMTS,
 - les avis ayant fait l'objet d'une demande de phase contradictoire,
 - les demandes d'étude post-inscription ;
 - ▀ le bilan de l'activité programmée correspondant aux révisions des descriptions génériques, saisines du ministre et auto-saisines ;
 - ▀ le bilan des documents de bon usage élaborés ;
 - ▀ les rendez-vous précoces avec les fabricants ;
 - ▀ les attentes de la CNEDiMTS en termes de données cliniques.

Abréviations et acronymes

| | |
|----------|--|
| ADDFMS | aliments diététiques destinés à des fins médicales spéciales |
| AMM | autorisation de mise sur le marché |
| ANSM | Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé |
| ASA/ASR | amélioration du service attendu/amélioration du service rendu |
| CCAM | classification commune des actes médicaux |
| CEPS | Comité économique des produits de santé |
| CNAMTS | Caisse nationale de l'assurance maladie des travailleurs salariés |
| CNEDiMTS | Commission nationale des dispositifs médicaux et des technologies de santé |
| CEESP | Commission évaluation économique et santé publique |
| CSP | Code de la santé publique |
| CSS | Code de la sécurité sociale |
| CT | commission de la transparence |
| DGS | Direction générale de la santé |
| DGOS | Direction générale de l'offre de soins |

| | |
|-------|---|
| DM | dispositif médical |
| DMDIV | dispositif médical de diagnostic <i>in vitro</i> |
| DMIA | dispositif médical implantable actif |
| DPI | déclaration publique d'intérêts |
| DSS | Direction de la sécurité sociale |
| ECR | études contrôlées randomisées |
| FIT | fiche d'information thérapeutique |
| GHS | groupe homogène de séjours |
| HAS | Haute Autorité de santé |
| IAH | Indice d'apnées-hypopnées |
| IGAS | Inspection générale des affaires sociales |
| LPPR | liste des produits et prestations remboursables |
| MSA | Mutualité sociale agricole |
| OAM | orthèse d'avancée mandibulaire |
| PHRC | programme hospitalier de recherche clinique |
| PIC | procédure d'instruction complète |
| PIS | procédure d'instruction simplifiée |
| PPC | pression positive continue |
| PRME | programme de recherche médico-économique |
| RSI | Régime social des indépendants |
| SA/SR | service attendu/service rendu |
| SAHOS | Syndrome d'apnées-hypopnées obstructives du sommeil |
| SED | service évaluation des dispositifs |
| T2A | tarification à l'activité |
| UNCAM | Union nationale des caisses d'assurance maladie |

Missions, fonctionnement et doctrine

L'objectif de cette première partie est d'explicitier la doctrine de la CNEDiMTS¹, ses modalités de fonctionnement et les principes selon lesquels elle met en œuvre l'évaluation des dispositifs médicaux (DM) sur la base de critères définis au Code de la sécurité sociale.

Les DM couvrent un champ très varié défini dans le Code de la santé publique « *On entend par dispositif médical tout instrument, appareil, équipement, matière, produit, à l'exception des produits d'origine humaine, ou autre article utilisé seul ou en association, y compris les accessoires et logiciels nécessaires au bon fonctionnement de celui-ci, destiné par l'industriel à être utilisé chez l'homme à des fins médicales et dont l'action principale voulue n'est pas obtenue par des moyens pharmacologiques ou immunologiques ni par métabolisme, mais dont la fonction peut être assistée par de tels moyens. Constitue également un dispositif médical le logiciel destiné par l'industriel à être utilisé spécifiquement à des fins diagnostiques ou thérapeutiques.* »

Les dispositifs médicaux qui sont conçus pour être implantés en totalité ou en partie dans le corps humain ou placés dans un orifice naturel, et qui dépendent pour leur bon fonctionnement d'une source d'énergie électrique ou de toute source d'énergie autre que celle qui est générée directement par le corps humain ou la pesanteur, sont dénommés dispositifs médicaux implantables actifs. »

La CNEDiMTS évalue principalement les DM, mais aussi d'autres produits de santé tels que certains aliments diététiques destinés à des fins médicales spéciales (ADDFMS) et des produits d'assistance pour compenser le handicap, ainsi que des prestations associées à ces produits de santé. Cette diversité explique la difficulté d'établir une méthodologie d'évaluation unique pour tous les produits.

La CNEDiMTS se prononce sur l'intérêt d'une technologie pour les personnes concernées et sur l'intérêt pour la société de l'inclure dans le panier de biens et services remboursables. L'évaluation peut également être réalisée dans le but d'éclairer les professionnels de santé et les usagers sur les conditions permettant d'optimiser l'utilisation de la technologie (bon usage, compétence de l'utilisateur, environnement nécessaire, etc.).

¹ Commission mentionnée aux articles R. 5212-7 du Code de la santé publique (CSP) et L. 165-1 du Code de la sécurité sociale (CSS).

1. Cadre réglementaire du remboursement des dispositifs médicaux

1.1 Évaluation en vue de la prise en charge par l'Assurance maladie

En cas de demande de prise en charge par l'Assurance maladie, les DM sont soumis à des évaluations complémentaires de celles relatives au marquage CE. La procédure d'accès au remboursement dépend des modalités de financement.

Différentes modalités de financement et type d'inscription

► Modalités de financement

La prise en charge des DM par l'Assurance maladie varie selon le secteur considéré :

→ **En secteur ambulatoire**, les DM à **usage individuel** peuvent être pris en charge grâce à leur inscription sur la liste des produits et prestations remboursables (LPPR). Les DM à usage individuel utilisés pour ou pendant la réalisation d'un acte par un professionnel de santé et dont la fonction ne s'exerce pas au-delà de l'intervention du professionnel ne peuvent être inscrits sur la LPPR.

Lorsqu'ils sont **utilisés pour ou pendant la réalisation d'un acte professionnel**, certains DM tels que les équipements pour la radiographie ne font pas l'objet d'une tarification individualisée. Ils sont valorisés au travers de l'acte. Ce dernier est inscrit à la classification commune des actes médicaux (CCAM).

→ **Pour les patients hospitalisés**, les DM utilisés ont vocation à être financés par les séjours hospitaliers (intra-GHS) selon le principe de la tarification à l'activité. **Le tarif du DM est directement négocié avec chaque acheteur ou groupement d'achat hospitalier**. Afin de ne pas introduire d'hétérogénéité dans la distribution des groupes homogènes de séjours (GHS) en raison d'un coût très élevé ou d'un niveau de prescription variable, un nombre limité de DM est financé à part, **en sus des prestations d'hospitalisation (hors GHS)**.

Avant la loi n° 2011-2012 du 29 décembre 2011, seuls les DM inscrits sur la LPPR (ceux utilisés en ambulatoire ou inscrits sur la liste en sus) étaient évalués par la CNEDiMTS. L'accès des DM au marché hospitalier au travers du financement « intra-GHS » ne nécessitait pas d'évaluation préalable par la CNEDiMTS (à la différence des médicaments qui doivent obtenir l'agrément aux collectivités). Le champ d'évaluation de la CNEDiMTS était réglementairement limité sur la base d'une logique tarifaire. Néanmoins, la Haute Autorité de santé pouvait s'autosaisir de ce type d'évaluation « intra-GHS » (comme elle l'a fait pour les DM de cicatrisation par pression négative et les hémostatiques chirurgicaux). Afin de renforcer la sécurité sanitaire des produits de santé, la loi n° 2011-2012 du 29 décembre 2011 et son décret d'application publié le 15 septembre 2012 (article L. 165-11 du Code de la sécurité sociale) ont élargi le champ d'évaluation de la CNEDiMTS à **certaines catégories homogènes de produits financés au travers des prestations d'hospitalisation (intra-GHS)**. Un **arrêté du 28 novembre** paru le 3 décembre 2013 définit les premières catégories à évaluer :

- stents intracrâniens utilisés dans l'angioplastie des sténoses athéromateuses ;
- défibrillateurs cardiaques implantables conventionnels : avec sonde endo-cavitaire (simple, double et triple chambre) ;
- défibrillateurs cardiaques implantables sans sonde endo-cavitaire ;
- valves cardiaques chirurgicales biologiques.

► Type d'inscription sur la liste des produits et prestations remboursables

Deux modalités d'inscription sur la LPPR coexistent² :

- l'inscription sous **description générique** identifie un groupe de produits selon ses indications, ses spécifications techniques, sans mention de nom commercial ou de société. Si l'industriel estime que son DM répond à la définition d'une ligne générique, il prend la responsabilité de l'inscrire dans cette ligne. Le DM bénéficie alors des conditions de prise en charge prévues pour cette ligne. Le produit ne fait pas l'objet d'évaluation par la CNEDiMTS, mais l'industriel (fabricant ou distributeur) a l'obligation depuis 2010 de déclarer l'utilisation du code LPPR pour son produit auprès de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) ;
- l'inscription sous **nom de marque** (ou nom commercial) est mise en œuvre pour les produits innovants ou lorsque l'impact sur les dépenses d'assurance maladie, les impératifs de santé publique, le contrôle et/ou la difficulté de définir des spécifications techniques minimales nécessitent un suivi particulier du produit. Un dossier de demande de remboursement doit être déposé par l'industriel pour une évaluation par la CNEDiMTS puis pour la tarification par le Comité économique des produits de santé (CEPS). Le délai réglementaire pour l'évaluation médico-technique puis la négociation tarifaire est au total de **180 jours**.

2. Missions, composition et fonctionnement

2.1 Missions et critères d'évaluation

La mission confiée à la CNEDiMTS par le législateur concerne l'évaluation des produits relevant de la liste prévue à l'article L. 165-1 du CSS (liste des produits et prestations LPPR). Cette mission ainsi que les principes régissant le fonctionnement de la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé sont précisés par les articles R. 161-71[1, b], R. 165-1 à R. 165-6, R. 165-10-1, R. 165-11 à R. 165-13, R. 165-21 et R. 165-22 du Code de la sécurité sociale.

La demande d'inscription sur la LPPR se fait à l'initiative de l'industriel après obtention du marquage CE. L'industriel dépose un dossier, conformément au guide fabricant consultable en ligne sur les sites Internet de la HAS et du CEPS.

² Article R. 165-3 du CSS.

Lorsqu'un industriel dépose un dossier en vue d'une inscription, d'un renouvellement d'inscription ou d'une modification des conditions d'inscription sur la LPPR, la CNEDiMTS donne un avis consultatif au ministre chargé des affaires sociales, de la santé et des droits des femmes. Elle peut également, à la demande du ministre, donner un avis sur le maintien, la radiation d'un DM sur la LPPR, lorsque de nouvelles données remettent en cause les données cliniques sur lesquelles l'inscription a été fondée.

De même, une réévaluation de l'ensemble d'une catégorie de dispositifs médicaux peut être effectuée par la commission à sa propre initiative ou sur saisine du ministre³.

La commission a pour mission d'établir et de diffuser des documents d'information sur les produits de santé, ce qu'elle fait sous la forme de fiches de bon usage des technologies de santé. Pour les DM pris en charge selon la procédure de dispositif d'exception, la CNEDiMTS élabore les fiches d'information thérapeutique annexées aux arrêtés d'inscription des DM (FIT)⁴.

Depuis 2011 la CNEDiMTS doit évaluer certaines catégories de DM financés dans le cadre des prestations d'hospitalisation (DM intra-GHS)⁵.

Ainsi, la CNEDiMTS a pour mission d'évaluer non seulement les dispositifs médicaux en vue de leur inscription sur la LPPR, mais également ceux financés dans un GHS lorsqu'ils appartiennent à une catégorie de produits visée par l'article L. 165-11 du Code de la sécurité sociale.

► Critères d'évaluation

Pour l'évaluation des DM en vue de leur inscription sur la LPPR, les critères d'évaluation de la CNEDiMTS et les éléments devant figurer dans ses avis ont été précisés par décret :

- l'examen est fait indication par indication ;
- l'avis porte sur le bien-fondé de l'inscription du DM à la LPPR. Il repose sur l'appréciation du service attendu (SA)⁶ qui est considéré comme suffisant ou insuffisant pour justifier l'inscription au remboursement par l'Assurance maladie. L'appréciation du service attendu repose notamment sur l'évaluation de l'efficacité et des risques, de sa place dans la stratégie de prise en charge et de son impact sur la santé publique ;
- la commission apprécie également l'amélioration du service attendu (ASA)⁷ apportée par le DM par rapport à un comparateur. Le comparateur est un produit, un acte ou une prestation ou un groupe d'actes, de produits ou de prestations comparables, précisément désignés et considérés comme la référence selon les données actuelles de la science dans l'indication examinée. Le comparateur peut être admis ou non au remboursement. L'ASA permet de quantifier le progrès thérapeutique, diagnostique ou de compensation du handicap par rapport aux moyens de prise en charge existants. C'est un des éléments pris en compte par le Comité économique des produits de santé (CEPS) pour la fixation du prix du DM.

Les niveaux d'ASA sont précisés dans l'article R. 165-11 du CSS et dans le règlement intérieur de la commission. Les définitions en vigueur sont les suivantes :

| | |
|-----|-------------------------|
| I | Amélioration majeure |
| II | Amélioration importante |
| III | Amélioration modérée |
| IV | Amélioration mineure |
| V | Absence d'amélioration |

Selon les articles R. 165-2 et R. 165-11-1 du CSS, la commission évalue le SA/l'ASA en première inscription ou lors des modifications d'inscription et le service rendu (SR)/l'amélioration du service rendu (ASR) lors du renouvellement.

La population cible, c'est-à-dire le nombre de patients susceptibles d'être traités, est estimée. Il s'agit, à partir des données épidémiologiques disponibles, de l'estimation du nombre de patients relevant des indications thérapeutiques pour lesquelles la commission juge l'inscription fondée.

Dans certains cas, la commission émet également des recommandations ayant trait aux conditions de prescription et d'utilisation. Ces recommandations, qui constituent un encadrement à l'utilisation du DM, peuvent porter sur le plateau technique, les compétences médico-techniques nécessaires ou les éléments à prendre en compte pour l'utilisation du DM. Depuis 2010, ces recommandations peuvent être mises en œuvre par décision du ministre en utilisant l'article L. 1151-1 du Code de la santé publique.

Le cas échéant, la commission peut également se prononcer sur le caractère approprié du conditionnement, au regard du rythme d'utilisation et de la durée de traitement.

La commission donne un avis lors de la demande de première inscription, mais également :

- pour toute demande de modification des conditions d'inscription, notamment en cas d'extension des indications (SA et ASA) ;
- lors du renouvellement d'inscription (SR et ASR).

³ Article R. 165-13 du CSS.

⁴ Dernier alinéa de l'article R. 165-1 du CSS.

⁵ Loi n° 2011-2012 du 29 décembre 2011 relative au renforcement de la sécurité sanitaire – art. 37.

⁶ Article R. 165-2 du Code de la sécurité sociale.

⁷ Article R. 165-11 du Code de la sécurité sociale.

2.2 Composition de la commission

► Composition de la commission⁸

La CNEDiMTS est l'une des **commissions spécialisées** de la Haute Autorité de santé (HAS). Selon le CSS, elle est composée de 19 membres recrutés pour leur compétence scientifique.

Depuis 2014, elle est présidée par le Pr Jacques Belghiti, chirurgien digestif et viscéral, également membre du Collège de la HAS. Ses deux vice-présidents sont le Dr Elisabeth Torck Baumelou, hématologue/méthodologiste et le Dr Philippe Henry, médecin généraliste. Les membres de la CNEDiMTS sont des praticiens de différentes disciplines : anesthésie-réanimation, cardiologie interventionnelle, chirurgie digestive, générale et oncologique, chirurgie orthopédique et chirurgie vasculaire, dermatologie, biologie, méthodologie, médecine physique et de réadaptation, ophtalmologie, oto-rhino-laryngologie, pharmacie hospitalière, radiologie, radiologie interventionnelle et rhumatologie.

Ces praticiens apportent non seulement leur connaissance de la pratique mais également leur expertise en matière d'évaluation.

La commission comprend également neuf membres à voix consultatives, représentant les principales administrations de santé (ANSM, DGS, DSS, DGOS), les caisses d'assurance maladie (CNAMTS, RSI, MSA), les prestataires, ainsi que les industriels de santé.

Les membres de la CNEDiMTS sont nommés pour une période de 3 ans, renouvelable deux fois, par décision du Collège de la HAS.

La CNEDiMTS se réunit toutes les 2 semaines le mardi.

► Bureau de la commission

Le bureau de la commission se compose du président de la commission, des vice-présidents, des services de la HAS et de toute personne sollicitée par le président.

La mission du bureau est de préparer les réunions de la commission. Il se réunit toutes les 2 semaines.

Il a délégation de la commission pour :

- décider du type de procédure d'examen des dossiers ;
- choisir les rapporteurs ou les experts auditionnés après avoir examiné les liens d'intérêts ;
- déterminer si de nouvelles données scientifiques ou réglementaires, qui sont portées à la connaissance de la commission, nécessitent un examen et un avis ;
- décider de la suspension de l'instruction d'un dossier.

2.3 Procédures

Le fonctionnement de la CNEDiMTS est régi par le Code de la sécurité sociale et par son [règlement intérieur](#)⁹.

► Procédure d'élaboration d'un avis

L'élaboration des avis de la CNEDiMTS comprend les étapes suivantes réalisées dans un temps contraint :

- l'instruction par le service évaluation des dispositifs (SED) des données fournies dans le dossier du demandeur, éventuellement complétées de données issues de la littérature ;
- l'examen par la commission de ces données si besoin complété par l'avis de professionnels de santé externes à la commission ;
- les débats, votes et conclusions de la commission sur la base des documents préparatoires qui donnent lieu à la rédaction d'un projet d'avis par le SED ;
- la CNEDiMTS adopte l'avis par vote à la séance suivante. L'industriel a la possibilité de faire connaître ses éventuelles observations sur l'avis lors de la phase contradictoire ;
- l'avis définitif de la commission transmis aux instances décisionnelles et au demandeur suivi de sa mise en ligne sur le site Internet de la HAS.

► Validation administrative et scientifique et instruction des dossiers de demande liés à l'inscription des produits de santé

Lors d'une demande d'inscription, de renouvellement d'inscription ou de modification des conditions d'inscription, l'industriel exploitant le DM dépose un dossier auprès du ministre chargé de la santé et de la sécurité sociale et simultanément auprès de la CNEDiMTS pour la partie médico-technique. Pour réaliser le dossier de demande d'inscription, de modification d'inscription ou de renouvellement d'inscription, un guide est mis à la disposition du demandeur sur le site de la HAS et sur celui du ministère des Affaires sociales et de la Santé.

► Validation des dossiers

Le SED s'assure que le dossier est complet (exhaustivité des documents fournis, notamment des publications, marquage CE, nombre d'exemplaires, etc.) et examine les données scientifiques transmises. Si les éléments communiqués par l'industriel sont insuffisants, la CNEDiMTS peut notifier au demandeur les renseignements complémentaires qui sont exigés et suspendre les délais d'instruction du dossier jusqu'à réception des informations demandées¹⁰.

⁸ Article R. 165-18 du CSS.

⁹ www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2010-03/reglement_interieur_cnedimts_adopte_230310_2010-03-24_11-01-28_908.pdf.

¹⁰ Article R. 165-8 du CSS.

► Instruction

Chaque dossier est instruit par un chef de projet du SED.

La procédure d'expertise interne, le mode de recours à l'expertise externe et les étapes de l'instruction du dossier sont décrits dans le règlement intérieur de la commission.

► Expertise interne des dossiers

L'instruction des dossiers est assurée par le SED. Le service est intégré à la Direction de l'évaluation médicale, économique et de santé publique (DEMESP) de la HAS dirigée par le Dr Jean-Patrick Sales. Il est composé de 18 chefs de projet (pharmaciens, docteur ès sciences ou ingénieurs biomédicaux), 1 chargée de mission responsable déontologique, administratif et réglementaire et de 2 adjoints (pharmaciens) assistés d'un secrétariat. Le Dr Catherine Denis est responsable du service.

Le SED assure l'expertise interne des demandes en respectant la déontologie, les procédures et des délais. Il rédige une analyse du dossier et des données cliniques disponibles. La synthèse est retranscrite dans un document en vue de la présentation en séance de la commission. Il prépare les avis soumis pour adoption à la CNEDiMTS.

► Expertise externe des dossiers

Le président peut faire appel à une expertise externe, notamment pour les DM concernant des spécialités non représentées dans la commission. Ce recours est notamment utilisé lorsque les données cliniques sont limitées, dans le domaine du handicap ou pour évaluer la transposabilité des résultats des études à la pratique médicale. Cette expertise peut également apporter des informations complémentaires en ce qui concerne la stratégie de prise en charge de la pathologie et la place du produit dans cette stratégie.

Lors de la révision de descriptions génériques ou en cas d'évaluation d'une catégorie de DM, la commission s'appuie sur un groupe d'experts multidisciplinaire.

Dans tous les cas, le choix des professionnels de santé rapporteurs auprès de la CNEDiMTS prend en compte leurs éventuels liens d'intérêts et leurs compétences. Les rapporteurs sollicités à titre individuel ou dans le cadre de groupes de travail ne participent ni aux délibérations ni au vote de la commission.

► Examen des dossiers par la commission

Il existe deux types de procédure pour l'examen des dossiers en commission :

- **la procédure d'instruction complète (PIC)** correspond à l'examen du dossier en séance puis la rédaction par le SED d'un projet d'avis. L'avis est adopté à la séance suivante ;
- **la procédure d'instruction simplifiée (PIS)** permet l'examen d'un projet d'avis avec adoption en séance. L'instruction du dossier est complète, mais le circuit de validation de l'avis est simplifié.

La PIS s'applique aux dossiers pour lesquels le SED et le bureau de la commission détiennent tous les éléments permettant de rédiger un projet d'avis et qui ne posent pas de questions particulières. Les modalités d'application de la PIS sont détaillées dans le règlement intérieur.

Pour les demandes d'inscription et de modification des conditions d'inscription, toute revendication d'amélioration du service attendu formulée par le demandeur (qu'il s'agisse d'une ASA I, II, III ou IV) implique une instruction selon la procédure complète.

► Procédure contradictoire

Après adoption par la commission, l'avis est communiqué au plus tôt au demandeur. Celui-ci dispose d'un délai de 8 jours à réception de l'avis pour faire d'éventuelles observations ou pour demander à être entendu par la commission.

► Observations écrites

Si les observations du fabricant sont mineures et de nature administrative, les corrections sont faites, après accord du président de la commission, par le SED.

L'avis, éventuellement modifié, devient définitif et est alors transmis au ministre et à l'industriel.

Dès lors que les observations portent sur le fond de l'avis, le président de la CNEDiMTS soumet les éventuelles modifications à la commission.

Après délibération, l'avis, éventuellement modifié, devient définitif et est transmis au ministre, au CEPS et à l'industriel.

► Auditions

L'audition permet au demandeur d'apporter des précisions sur l'avis lors d'une séance de la CNEDiMTS. Le demandeur peut se faire accompagner d'experts.

L'audition comporte une première phase au cours de laquelle l'industriel expose ses arguments. Cette présentation est suivie d'un échange au cours duquel l'industriel et ses experts répondent aux questions des membres de la commission.

Lors des auditions, la commission ne prend pas en compte les données cliniques n'ayant pas été fournies dans le dossier initial. En effet, la procédure contradictoire porte sur l'avis rendu par la commission sur la base des données soutenant le dossier déposé par l'entreprise ayant fait l'objet d'une analyse approfondie.

Après délibération de la CNEDiMTS, l'avis, éventuellement modifié, est adopté. Il devient définitif et est transmis au ministre, au CEPS et à l'industriel.

► Transmission des avis au Comité économique des produits de santé (CEPS)

Les avis de la commission deviennent définitifs :

- dès réception du courrier de l'industriel mentionnant qu'il n'émet pas de remarque sur le projet d'avis qui lui a été transmis ;
- à la fin du délai réglementaire de 8 jours si l'industriel n'a fourni aucune réponse suite à l'envoi du projet d'avis ;
- dès l'adoption de l'avis éventuellement modifié, à la suite d'observations écrites ou d'une audition de l'industriel.

Les avis définitifs de la commission sont transmis aux ministres et au CEPS par courrier électronique. Ces documents sont systématiquement rendus publics sur le site Internet de la HAS (www.has-sante.fr).

3. Principaux déterminants de l'évaluation

Les principaux déterminants de l'évaluation sont :

- le malade et sa maladie ou son handicap ;
- les preuves apportées ; pour réaliser son évaluation, la commission s'appuie sur des données scientifiques associées, dans certains cas, à l'éclairage apporté par des professionnels de santé externes à la commission ;
- la quantité d'effet et son intégration dans la stratégie thérapeutique et dans le système de soins.

Les principaux déterminants de l'évaluation sont détaillés ci-dessous.

3.1 Prise en charge de la maladie et du handicap

La première étape de l'évaluation est la prise en compte des modalités habituelles de prise en charge de la maladie (ou du handicap). Elle s'appuie sur les recommandations professionnelles ou, en leur absence, sur l'avis d'experts.

3.2 Preuves scientifiques apportées

Une étude clinique spécifique du DM à évaluer est attendue si l'équivalence avec un autre DM n'est pas démontrée ou si l'industriel revendique une action ou une efficacité supplémentaire par rapport à la stratégie de référence.

Les exigences scientifiques de la CNEDiMTS varient selon la catégorie de DM. Les DM à visée thérapeutique nécessitent des études de plus haut niveau que les DM d'assistance.

Si l'industriel juge qu'une étude clinique n'est pas nécessaire, il doit argumenter le recours à d'autres méthodes de démonstration du rapport bénéfices/risques qui seraient mieux adaptées. Cet argumentaire sera analysé par la commission. Par exemple, pour les produits tels qu'une canne, un cathéter, une seringue ou un déambulateur, le respect des normes techniques peut être suffisant.

3.2.1 Investigation clinique

Les données scientifiques transmises par l'industriel sont analysées selon les critères de la médecine fondée sur les preuves. La CNEDiMTS détermine la pertinence clinique et la transposabilité dans le système de soins français.

Une étude contrôlée randomisée conçue et réalisée en double aveugle (ou du moins avec un observateur indépendant) est l'étude offrant le meilleur niveau de preuve. Ce type d'étude n'est pas toujours possible pour évaluer les DM et la commission prend en compte le contexte. En cas d'étude de non-infériorité d'un nouveau DM par rapport au DM de référence déjà disponible sur le marché, la commission est attentive à la méthodologie des études fournies et, en particulier, au choix du seuil de non-infériorité.

L'expérience de la commission dans l'évaluation clinique l'amène à souligner quatre éléments spécifiques dans l'évaluation du DM :

- la difficulté de mise en œuvre des études pour les DM ; le nombre d'études disponibles est souvent limité. Lors de la première évaluation, la commission dispose rarement des résultats de plusieurs études cliniques ou d'une méta-analyse de méthodologie correcte ;
- l'évolution de la performance dans le temps. Dans le cas des DM implantés de manière durable dans le corps, la commission est amenée à recommander le remboursement par l'Assurance maladie sur la base d'études cliniques portant sur un suivi à court terme ou sur des critères intermédiaires. Elle demande alors des études complémentaires qui doivent confirmer la performance du DM et sa fiabilité à long terme, en se fondant sur des cohortes représentatives de la population suivie ;
- la population cible souvent faible, nécessitant une adaptation des méthodes d'évaluation ;
- le caractère opérateur-dépendant du DM qui doit être pris en compte dans l'élaboration du protocole d'étude.

3.2.2 Critères de jugement intermédiaires

Le recours à des critères intermédiaires est possible. Leur validité devra néanmoins avoir fait l'objet d'une démonstration scientifique.

3.2.3 Cycle de vie d'un DM

Il peut être plus court que celui de l'investigation clinique.

L'industriel doit anticiper dans le développement de son DM, l'apparition d'une évolution incrémentale de celui-ci. Ces évolutions ne doivent pas empêcher la réalisation d'études, et elles doivent être intégrées dans le schéma initial des études menées.

Une évolution susceptible de modifier le rapport bénéfice/risque doit faire l'objet d'études spécifiques.

3.2.4 Équivalence

Une équivalence vis-à-vis d'un produit qui a fait l'objet d'étude(s) clinique(s) ne peut être revendiquée que dans le cas où ce produit ne génère pas de risque additionnel.

Il doit être utilisé dans des indications et conditions strictement similaires au produit dont il revendique l'équivalence. La cohérence de la démarche de l'industriel qui revendique une équivalence est essentielle. Ceci est particulièrement applicable aux évolutions de gamme. Il n'est pas nécessaire d'être strictement identique pour être équivalent. En revanche, toute différence d'équivalence sur la dimension clinique, technique ou biologique doit être justifiée.

3.3 Place du DM dans la stratégie de prise en charge

Pour définir la place du DM dans la stratégie de prise en charge, la CNEDiMTS prend en compte les recommandations françaises et étrangères et en leur absence l'avis des professionnels de santé. Les recommandations sont appréciées en fonction de la société scientifique qui les émet ainsi que de l'*impact factor* de la revue dans laquelle elles sont publiées (à l'exclusion de suppléments).

La CNEDiMTS précise si le produit s'utilise en première, deuxième, voire troisième intention par rapport aux alternatives. De même, elle précise les populations susceptibles de bénéficier au mieux du produit.

3.4 Impact sur la santé publique

L'impact du produit sur la santé publique est fonction de son effet prévisible sur le système de soins (nombre de consultations, nombre ou durée d'hospitalisations, nombre d'actes évités) et sur les politiques et programmes de santé publique et de son effet potentiel sur la santé de la population (mortalité, morbidité, compensation d'un handicap, qualité de vie, etc.).

3.5 Réponses aux questions fréquentes

3.5.1 Quels sont les facteurs conduisant à un niveau de service attendu ou rendu (SA/SR) suffisant ?

La commission tient compte :

- de la démonstration d'un intérêt notable pour le patient venant modifier l'évolution spontanée d'une maladie, d'un handicap ou d'un symptôme ou changeant notablement leur prise en charge ou, lorsqu'il s'agit d'un DM à visée diagnostique, ayant des performances diagnostiques notables ;
- du contexte médical en adaptant son niveau d'exigence selon la catégorie de DM de la transposition des résultats aux conditions réelles d'utilisation au DM ;
- de la gravité de la maladie ou du handicap, mais leur seule gravité ne justifie pas un SA/SR suffisant ;
- de l'arsenal disponible, notamment dans les cas où les alternatives sont peu nombreuses et où le besoin thérapeutique n'est pas couvert ou insuffisamment.

3.5.2 Quels sont les facteurs conduisant à un niveau de service attendu ou rendu (SA/SR) insuffisant ?

Les raisons les plus fréquentes de l'attribution d'un SA/SR insuffisant pour l'inscription de DM sont :

- un niveau d'efficacité faible, sans pertinence clinique au regard d'effets indésirables notables ;
- un niveau d'efficacité dont la démonstration manque de fiabilité (critère de jugement intermédiaire non validé, comparateur utilisé dans une situation clinique différente, nombreux biais notamment nombreux perdus de vue) ;
- une efficacité démontrée dans une population dont la transposabilité à la population effectivement concernée n'est pas certaine,
- une absence de place dans la stratégie de prise en charge des affections visées par les indications ;
- l'existence d'alternatives (DM ou autre produit de santé) ayant fait la preuve d'une efficacité plus importante ou ayant des effets indésirables moins graves ou moins fréquents ;
- l'association de plusieurs DM au sein d'un conditionnement non justifié au regard des pratiques de soin ou d'utilisation ;
- une absence de démonstration de l'équivalence avec un DM ayant apporté des preuves cliniques (antérieur dans la gamme pour le même fabricant ou un DM concurrent).

3.5.3 Comment est établie l'amélioration du service attendu ou rendu ?

L'amélioration du service attendu ou rendu est une évaluation du progrès thérapeutique apporté par le nouveau DM par rapport aux thérapies existantes. Elle mesure la valeur ajoutée médicale du nouveau DM. Cette évaluation est appréciée à une date donnée dans un environnement évolutif. Cela présuppose le choix d'un comparateur « pertinent ».

► Comment est choisi le comparateur ?

Le comparateur pertinent est issu de la stratégie thérapeutique, diagnostique ou de compensation du handicap de référence, ou de la stratégie utilisée en pratique courante en l'absence de preuves scientifiques. Si le besoin n'est pas couvert, le comparateur est la stratégie actuelle de prise en charge (absence de traitement).

Il est possible de comparer le DM à un autre DM, un médicament, un autre produit de santé, une prestation, ou un acte ou à des soins de support ou à l'absence de traitement, admis ou non au remboursement et utilisé par les patients.

Cependant concernant le DM, les stratégies existantes (notamment la chirurgie pour les DM implantables) n'ont pas toujours été scientifiquement validées. Ainsi, le choix du comparateur peut être difficile. La documentation des comparateurs pertinents est un élément clé pour définir le niveau d'amélioration des produits proposés par le demandeur.

Pour déterminer au mieux le comparateur le plus pertinent, le recours à des professionnels de santé peut être nécessaire. Leur connaissance des alternatives thérapeutiques possibles dans le champ thérapeutique, diagnostique ou de compensation du handicap vient aider les membres de la commission dans leur travail de vérification et de mise en perspective des preuves.

► Quels sont les critères de jugement retenus ?

Le critère de jugement doit être cohérent avec l'effet thérapeutique, diagnostique ou de compensation du handicap annoncé.

Ces critères retenus sont des critères cliniques (mortalité, morbidité, compensation du handicap, qualité de vie, réduction des effets indésirables), ou de commodité d'emploi avec bénéfice clinique pour les patients.

► Comment est défini le niveau d'ASA/ASR ?

Sauf impossibilité méthodologique argumentée par l'industriel, l'ASA/ASR est évaluée sur la base d'études cliniques, contrôlées, randomisées utilisant un critère de jugement principal cliniquement pertinent. Une comparaison directe est recommandée.

Sur la base d'une équivalence revendiquée à un autre DM ou d'une étude de non-infériorité où seule la non-infériorité est démontrée, seule une ASA/ASR de niveau V peut être revendiquée.

Pour une même catégorie de DM, les niveaux d'ASA/ASR attribués par la CNEDiMTS évoluent au regard de l'arsenal disponible et de l'acquisition de données nouvelles. En règle générale, lorsqu'il s'agit d'une demande d'inscription d'un DM d'une catégorie de produits non encore évalués, l'ASA est accordée par rapport à la stratégie thérapeutique, diagnostique ou de compensation du handicap existante. Les autres DM issus de cette même catégorie seront par la suite comparés entre eux.

L'ASA I (majeure) s'entend notamment pour un DM ayant démontré une efficacité notable sur le critère de mortalité pour les DM à visée thérapeutique ou une compensation du handicap ayant un intérêt majeur pour les DM la concernant.

L'ASA mineure, modérée ou importante vient qualifier le surcroît d'intérêt clinique en termes d'efficacité, de réduction des risques ou de compensation du handicap selon son intensité.

3.6 Estimation de la population cible

La population cible du DM et/ou de la prestation susceptible d'être prise en charge en France est estimée pour chacune des indications dans lesquelles le dispositif médical et/ou la prestation sont proposés au remboursement. Cette détermination permet de prévoir les volumes justifiés de prescription.

La détermination de la (des) population(s) cible(s) est fondée sur :

- les données épidémiologiques (issues des bases de données existantes, de la littérature, etc.) disponibles portant sur les pathologies ou le handicap concernés et les effets des traitements existants ;
- au vu de ces données, un raisonnement partant de la population concernée (maladie ou handicap) permet d'aboutir, étape par étape, à la population éligible au remboursement c'est-à-dire celle susceptible d'être traitée par le DM et/ou la prestation. Elle permet aussi, quand cela le justifie, d'estimer le nombre de patients correspondant à la population pour laquelle une ASA/ASR a été attribuée.

Dans la mesure du possible et dans le cas de renouvellement d'inscription, la CNEDiMTS estime la population rejointe. Elle correspond à la population effectivement traitée par le DM et/ou la prestation en exploitant le plus souvent les données d'hospitalisation ou de remboursement.

3.7 Demandes d'étude post-inscription

Les demandes d'étude post-inscription visent à apporter des réponses à des interrogations soulevées lors de la première évaluation faite par la CNEDiMTS. Selon le contexte et les données disponibles au moment de la première évaluation, ces questions peuvent concerner :

- la vérification du bénéfice/risque à moyen et long terme. Un DM peut être implanté très longtemps dans le corps humain. Dans ce cas, un suivi à long terme du DM est important pour montrer le maintien de la performance ;
- une confirmation des performances cliniques des dispositifs dans leurs conditions réelles d'utilisation (si incertitudes constatées) ;
- une vérification du respect des indications et de l'encadrement préconisés par la CNEDiMTS ;
- la détection d'un risque particulier dans toute ou partie de la population cible.

Certaines demandes d'étude sont justifiées par une nécessité de suivi « naturel » des DM implantables afin d'évaluer le devenir des malades et révéler des effets indésirables non attendus initialement. L'étendue des informations recueillies doit être adaptée selon les DM en veillant à ne pas rompre le parcours de soins.

Ces études sont systématiques dans certains pays et prennent la forme de registres exhaustifs sous la triple responsabilité des sociétés savantes, des industriels et des professionnels.

Lorsque la CNEDiMTS demande la réalisation d'une étude post-inscription, les résultats de celle-ci conditionnent son avis lors du renouvellement de l'inscription au remboursement.

Les méthodes à utiliser pour mettre en œuvre ces études sont détaillées dans « [Les études post-inscription sur les technologies de santé \(médicaments, dispositifs médicaux et actes\) – Principes et méthodes HAS](#) » Novembre 2011¹¹.

3.8 Évaluation en vue du renouvellement d'inscription sur la LPPR

Quel que soit le mode d'inscription sur la LPPR, nom de marque ou description générique, l'inscription est assurée pour une durée maximale de 5 ans.

Dans le cas où le produit est inscrit sous nom de marque, il appartient à l'industriel de déposer un dossier de demande de renouvellement d'inscription de son produit dans les délais réglementaires.

¹¹ www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2012-01/etudes_post_inscription_technologies_sante.pdf

Lors du renouvellement d'inscription, l'analyse des résultats des études demandées par la CNEDiMTS lors de la première évaluation ainsi que celle des nouvelles données disponibles constituent des éléments d'information pour l'évaluation du service rendu (SR) et de l'amélioration du service rendu (ASR) apportée par le dispositif.

3.9 Révision des descriptions génériques : objectifs et méthodes

Certaines descriptions génériques de la LPPR ne sont plus adaptées à une prise en charge optimale des patients et nécessitent d'être réévaluées. En 2004, la réévaluation des descriptions génériques a été instaurée. Elles sont désormais inscrites pour un maximum de 5 ans.

La définition médicale des descriptions génériques, avec des indications précises et des conditions de prescription et d'utilisation des produits concernés, doit permettre de mieux définir leur place dans la stratégie de prise en charge.

La CNEDiMTS évalue le SR pour les produits correspondant à une description générique. Dans le cas où une description générique serait jugée obsolète, la commission peut recommander de ne plus la prendre en charge.

Dans le cas où deux descriptions génériques ont la même indication, leur comparaison permet de déterminer si l'une apporte une amélioration du service rendu (ASR) par rapport à l'autre.

Le passage de certains produits d'une ligne générique à l'inscription sous nom de marque peut être recommandé par la CNEDiMTS.

La méthode utilisée pour réévaluer les descriptions génériques est fondée sur l'analyse systématique des données de la littérature scientifique après interrogation protocolisée des principales bases de données, la prise en compte des données fournies par les industriels et l'avis de professionnels de santé réunis dans un groupe de travail multidisciplinaire ou auditionnés.

Le projet de nomenclature qui en émane est transmis aux industriels, le cas échéant aux prestataires de services et distributeurs de matériels, aux associations de patients en lien avec le sujet évalué, aux représentants des caisses d'assurance maladie, à la Direction générale de la santé, à la direction de la sécurité sociale et à la direction générale de l'offre de soins pour avis avant discussion en CNEDiMTS.

Ensuite, la commission en s'appuyant sur les données de la littérature et les propositions du groupe de travail, fait ses recommandations au ministre.

La phase contradictoire a lieu après la publication, par le ministre, de l'avis de projet au Journal officiel. Suite à cette phase contradictoire, l'avis définitif sera publié au Journal officiel.

3.10 La CNEDiMTS conduit-elle son évaluation lorsque le DM a fait l'objet d'une étude à financement institutionnel (tels que le programme hospitalier de recherche clinique, et le programme de recherche médico-économique) ?

Qu'elles soient ou non soumises par l'industriel dans son dossier, la CNEDiMTS intègre dans ses évaluations les données cliniques issues du programme hospitalier de recherche clinique (PHRC) ou du programme de recherche médico-économique (PRME) dès lors que l'étude a fait l'objet d'une publication ou d'un rapport d'étude.

La CNEDiMTS considère que les évaluations PHRC ou PRME répondent à un besoin d'évaluation du DM. Ainsi, leur mise en œuvre ne doit pas être entravée. Un avis favorable de la commission pour un DM faisant l'objet d'une telle étude compromettrait les inclusions dans l'étude ou l'avancement de celle-ci.

4. Comment la commission évalue-t-elle l'innovation ?

La prise en charge par l'Assurance maladie entraîne une large diffusion des technologies dans le panier de soins. Ainsi, il était nécessaire de réserver une place particulière aux produits innovants.

4.1 Qu'est-ce qu'une innovation pour la CNEDiMTS ?

Jusqu'en 2014, en l'absence de définition formalisée de l'innovation, pour établir le caractère innovant d'un dispositif médical, les critères proposés par la CNEDiMTS, prennent en compte à la fois¹² :

- **l'innovation thérapeutique et/ou technologique :**

- le caractère de nouveauté du dispositif médical ne suffit pas à lui seul pour qualifier l'innovation (au sens de porteuse de progrès pour le patient), s'il n'y a pas de données en faveur d'un bénéfice clinique (données pouvant nécessiter une confirmation par des études complémentaires) ;

- **et le bénéfice clinique pour le patient :**

- la technologie de santé répond (dans l'utilisation revendiquée) à un besoin non encore couvert, ou insuffisamment couvert par une technologie existante dans la prise en charge d'une maladie grave et/ou une maladie chronique handicapante, soit,
- la technologie apporte une amélioration significative de la santé des patients ou de la compensation du handicap, par rapport aux moyens déjà disponibles, en termes d'efficacité (bénéfices cliniques potentiels), de tolérance (réduction des risques), de performance ou d'accès à la thérapie.

La compensation importante du handicap et l'amélioration de la qualité de vie peuvent aussi être considérées (au cas par cas) comme un bénéfice clinique.

¹² Le décret n° 2015-179 du 16 février 2015 fixant les procédures applicables à la prise en charge des produits de santé ou actes innovants reprend ces dimensions dans la définition de ce qui caractérise une technologie innovante pour la mise en œuvre d'une prise en charge dérogatoire.

4.2 Quels outils sont disponibles pour accompagner l'innovation ?

Les évolutions législatives de 2008 et 2009 ont apporté des textes essentiels (articles L. 165-1-1 du code de la sécurité sociale, L. 1151-1 du Code de la santé publique) pour soutenir ces innovations, ouvrant la possibilité d'une mise à disposition précoce, temporaire et encadrée, associée au recueil des données cliniques complémentaires nécessaires pour confirmer leur intérêt.

La pierre angulaire restant la production de données cliniques pertinentes au regard des données manquantes, la HAS propose depuis quelques années des rendez-vous précoces dont l'objectif est de permettre aux industriels ou professionnels concernés de soumettre leurs propositions de développement clinique à la critique de la HAS sur la méthodologie et les critères d'évaluation envisagés. Ces rendez-vous sont mis en œuvre en amont de l'évaluation clinique du dossier pour l'admission au remboursement (avant de débiter une étude clinique).

Ces rencontres dites précoces sont organisées sur demande des industriels. Une notice décrit les modalités pratiques de ces demandes et de leur déroulé¹³.

La HAS évalue l'intérêt d'une rencontre selon les éléments transmis ; elle peut refuser une demande. Il s'agit d'une aide particulièrement orientée vers les technologies nouvelles susceptibles d'améliorer les modalités de prise en charge d'une pathologie ou d'un handicap. Cependant, la HAS, afin de permettre aux industriels de réaliser des études cliniques pertinentes, est prête à rencontrer tout demandeur (quel que soit le degré d'innovation de la technologie) précocement à condition que ce dernier soumette un protocole ou un synopsis détaillé et pose des questions précises.

Données d'activité 2014

1. Bilan 2014

1.1 Activité non programmée

1.1.1 Demandes enregistrées

*Remarque préliminaire : cette partie traite des **dossiers déposés** entre le 1^{er} janvier et le 31 décembre 2014. Ces demandes peuvent avoir fait l'objet d'un examen par la CNEDiMTS après le 31 décembre 2014.*

Les fabricants souhaitant l'inscription des DM qu'ils exploitent sur la liste des produits et prestations, doivent soumettre leur dossier de demande de remboursement auprès du SED de la HAS en vue de son examen par la CNEDiMTS.

La CNEDiMTS se prononce principalement sur les demandes :

- d'inscription ;
- de renouvellement d'inscription ;
- de modification des conditions d'inscription.

Elle peut également être saisie par le ministre chargé de la santé, le ministre chargé de la sécurité sociale et le Collège de la HAS, sur les conditions de prescription ou d'emploi des dispositifs médicaux.

La commission peut décider de réévaluer le service rendu (SR) des dispositifs inscrits sur la LPPR de sa propre initiative.

➔ **Le service évaluation des dispositifs a enregistré 247 demandes.**

| Demandes | 2014 | 2013 |
|--|------------|------------|
| Première inscription | 122 | 68 |
| Renouvellement d'inscription | 68 | 41 |
| Modification des conditions d'inscription | 49 | 33 |
| Autre demande (radiation, modification administrative) | 8 | 6 |
| TOTAL | 247 | 148 |

1.1.2 Demandes traitées

*Remarque préliminaire : cette partie reflète l'**activité effective** de la commission en 2014, puisqu'il présente les données portant sur des demandes examinées par la commission durant cette période. Ces demandes peuvent avoir été enregistrées avant 2014. De même, leur instruction peut avoir été achevée après le 31 décembre 2014.*

¹³ www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2013-12/dm_modalites_de_soumission_et_deroulement.pdf.

La commission se réunit un mardi sur deux, toute la journée, dans les locaux de la HAS. L'usage est de commencer la séance par :

- l'adoption des projets d'avis examinés à la séance précédente ;
- l'approbation du procès-verbal de la séance précédente ;
- l'examen des demandes prévues à l'ordre du jour.

→ **La commission s'est réunie à 20 reprises et a examiné 179 demandes.**

| Demandes | 2014 |
|--|------------|
| Première inscription | 70 |
| Renouvellement d'inscription | 57 |
| Modification des conditions d'inscription | 45 |
| Autre demande (radiation, modification administrative) | 7 |
| TOTAL | 179 |

| Année | Total | Nombre de dossiers/séance |
|-------------------|-------|---------------------------|
| 2014 (20 séances) | 179 | 11 |
| 2013 (21 séances) | 163 | 11 |
| 2012 (19 séances) | 142 | 7 |

Lorsque le dossier nécessite une expertise particulière, notamment en cas de population cible faible, pour laquelle les données cliniques ou épidémiologiques ne sont pas disponibles, la commission fait appel à une expertise extérieure qui donne un éclairage par rapport à sa pratique. Les experts sollicités (appelés rapporteurs), après avoir déclaré leurs éventuels liens d'intérêts, font état de leur analyse et répondent aux questions de la commission. S'ils ne peuvent être présents lors des réunions de la commission, leur rapport est lu par le chef de projet du service évaluation des dispositifs responsable du dossier. Dans le cas où l'expert a un conflit majeur, il ne reçoit pas le dossier du fabricant et est simplement auditionné.

Les associations de patients peuvent également être sollicitées afin de faire part des opinions des représentants des patients sur la prise en charge de la pathologie concernée. Les experts et associations de patients sollicités n'assistent ni aux débats, ni aux votes de la commission. Au cours de l'année 2014, 51 expertises ont été sollicitées :

- experts : 32 ;
- experts auditionnés : 4 ;
- associations de patients : 15.

1.1.3 Avis rendus

Remarque préliminaire : cette partie présente les avis rendus par la commission en 2014. Les données peuvent correspondre à des demandes dont l'instruction a débuté avant le 1^{er} janvier 2014. Les avis dont l'adoption ou la phase contradictoire était en cours au 31 décembre 2014 n'ont pas été comptabilisés dans ce bilan, bien que la commission ait procédé à l'examen du dossier. Ils figureront dans le bilan de l'année 2015.

1.1.3.1 Avis rendus : totalité de l'activité non programmée

→ **La CNEDiMTS a rendu 195 avis en réponse à des demandes déposées par les fabricants.**

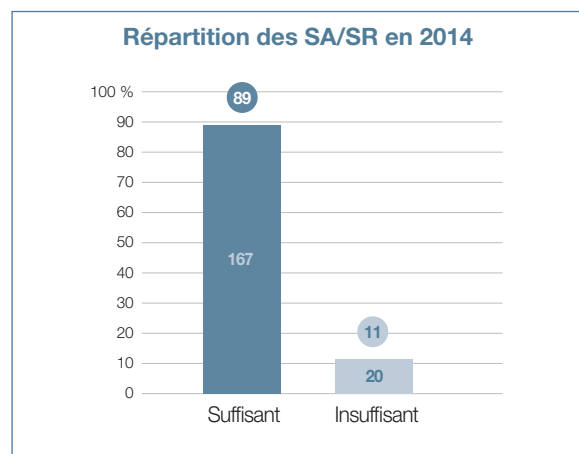
| Demandes | 2014 | 2013 |
|--|------------|------------|
| Première inscription | 78 | 63 |
| Renouvellement d'inscription | 58 | 40 |
| Modification des conditions d'inscription | 46 | 52 |
| Autre demande (radiation, modification administrative) | 13 | 8 |
| TOTAL | 195 | 163 |

En 2014, sur les 182 avis rendus (première inscription, renouvellement d'inscription et modification des conditions d'inscription), 108 (59 %) ont fait l'objet d'une procédure d'instruction complète, 74 (41 %) d'une procédure d'instruction simplifiée.

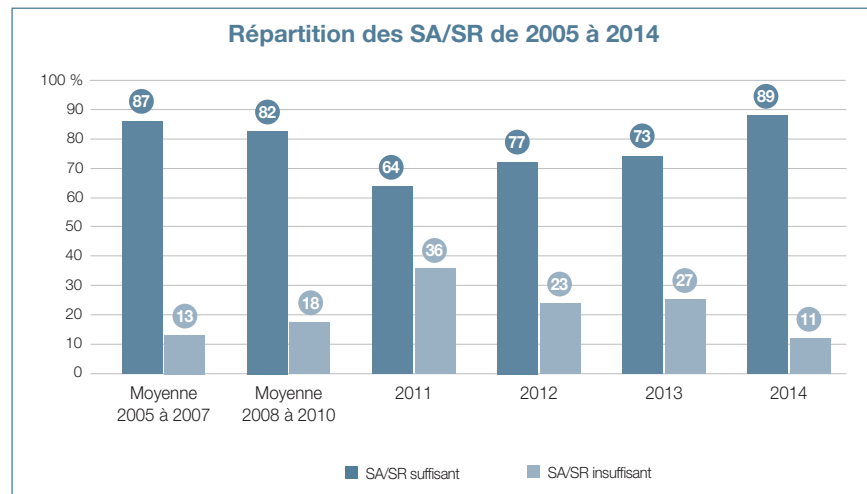
Selon les articles R. 165-2, R. 165-6, R. 165-11, R. 165-11-1 du Code de la sécurité sociale, la CNEDiMTS évalue les SA/ASA lors de la première inscription ou lors des modifications des conditions d'inscription et les SR/ASR lors du renouvellement d'inscription.

Les SA ou SR ainsi que les ASA ou ASR étant attribués indication par indication, un même avis peut contenir plusieurs SA ou SR et/ou ASA ou ASR différents. Pour 5 avis rendus en 2014, 2 SA/SR ont été attribués, pour 26 avis, plusieurs ASA/ASR ont été données. Pour 2 avis, la commission s'est prononcée simultanément sur le SA et le SR, ainsi que sur l'ASA et l'ASR car elle répondait à une demande de modification des conditions d'inscription associée à une demande de renouvellement d'inscription.

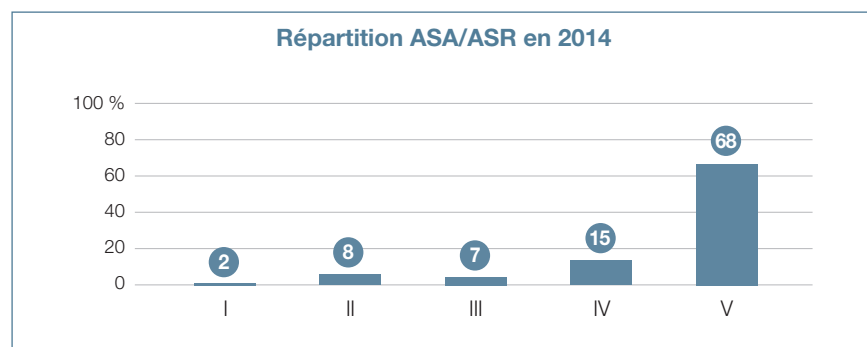
► Service attendu/service rendu



La figure ci-dessous montre l'évolution des SA/SR attribués depuis la création de la HAS. Les exigences de la commission ont augmenté, surtout depuis que l'application de la directive 2007/47/CE est effective (mars 2010).



► Amélioration du service attendu/amélioration du service rendu



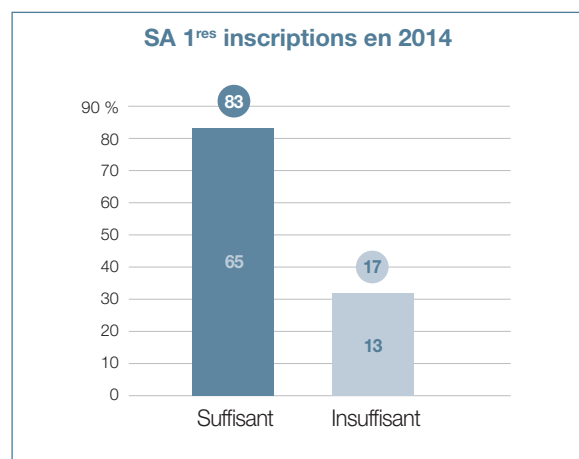
► Délai

Le délai moyen de traitement de l'ensemble des demandes (inscriptions, modifications des conditions d'inscription et renouvellements d'inscription), quelle que soit la procédure, a été de 91 jours. Le délai médian a été de 85 jours.

1.1.3.2 Avis rendus : les premières inscriptions

Parmi les 182 avis rendus en 2014 (inscriptions, modifications des conditions d'inscription et renouvellements d'inscription), 78 (43 %) concernaient des demandes de première inscription au remboursement. Cinquante et une (65 %) de ces demandes d'inscription ont été examinées en PIC, 27 (35 %) en PIS.

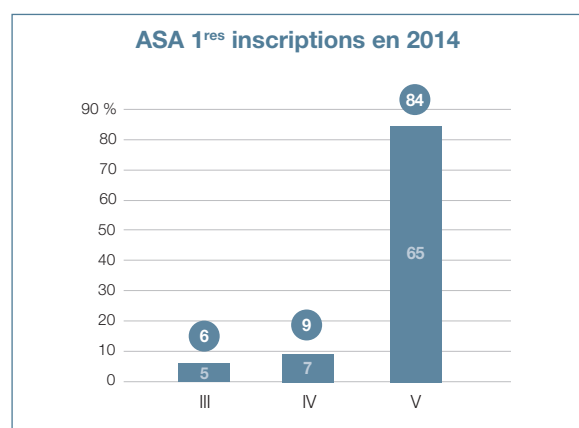
► Service attendu



→ La CNEDiMTS a rendu un avis favorable à l'inscription de 65 DM, ce qui représente 83 % des demandes d'inscription.

► Amélioration du service attendu

L'ASA étant appréciée indication par indication, si un dispositif médical a plusieurs indications, il peut avoir des ASA différentes. Le nombre d'ASA attribuées chaque année est donc supérieur au nombre d'avis rendus. En 2014, 9 avis ont comporté plusieurs niveaux d'ASA.



En 2014, la commission a reconnu pour tout ou partie de leurs indications :

- aucune ASA I (majeure) ;
- aucune ASA II (importante) ;
- 1 ASA modérée (III) pour 5 dispositifs médicaux ;

| Nom et type du dispositif | Indication/domaine thérapeutique |
|---|---|
| Lifevest 4000 Défibrillateur cardiaque externe portable | Après explantation d'un système de défibrillation implantable pour infection, de la loge ou des électrodes, jusqu'à la réimplantation (guérison de l'infection). En attente de transplantation cardiaque. L'indication doit être réévaluée tous les 3 mois (évaluation du rapport bénéfices/risques et de l'observance). Après revascularisation myocardique si la fraction d'éjection ventriculaire gauche (FEVG) est inférieure à 30 %, jusqu'à la réévaluation de la FEVG et discussion de l'indication d'un défibrillateur automatique implantable au 3 ^e mois. Au décours d'un infarctus du myocarde aigu si la FEVG est inférieure à 30 % après les 48 premières heures, jusqu'à la réévaluation de la FEVG et discussion de l'indication d'un défibrillateur automatique implantable au terme du 1 ^{er} mois. |
| I-Limb Ultra Prothèse myoélectrique de main complète | Amputations complètes de la main, acquises ou congénitales. L'appareillage des patients (adultes et adolescents) peut être uni ou bilatéral. |
| E-Vita Open Plus Prothèse vasculaire hybride | Traitement des pathologies complexes de l'aorte ascendante, la crosse aortique et de l'aorte descendante : - dissection aiguë de l'aorte (type A Stanford) s'étendant longuement à l'intérieur de l'aorte descendante ; - dissection aiguë de l'aorte (type A Stanford) en coexistence avec un syndrome de Marfan ; - anévrisme de l'aorte s'étendant longuement dans l'aorte descendante, ou s'étendant ; - dissection de l'aorte complexe (type B Stanford) ou ; - dissection chronique longuement étendue dans l'aorte. |
| Gamme Thoraflex Hybrid* Prothèse vasculaire hybride | Traitement d'une dissection aiguë de l'aorte thoracique avec remplacement de la crosse aortique au cours d'une seule et unique intervention chirurgicale avec la technique de la « trompe d'éléphant renforcée (FET – Frozen Elephant Trunk) » destinée à traiter une dissection aiguë de l'aorte thoracique avec remplacement de la crosse aortique au cours d'une seule et unique intervention chirurgicale (ASA III). ASA IV : par rapport aux techniques hybrides avec les prothèses actuelles. |
| Integra Dermal Regeneration Template** Matrice de régénération dermique | <u>Integra bicouche</u> - brûlures graves, du 3 ^e degré, après excision lorsqu'une autogreffe adéquate ou de taille suffisante ne peut être effectuée (ASA III) ; - pertes de substance cutanée totale, après excision, lorsqu'une autogreffe adéquate ne peut être effectuée et quand l'expansion cutanée n'est pas possible (notamment lors de séquelles de brûlures ou de rétraction) (ASA V). <u>Integra monocouche</u> Reconstruction en cas de perte post-excision de substance tégumentaire d'épaisseur totale lorsqu'il existe, selon l'avis du chirurgien traitant, un avantage potentiel pour le patient en termes d'amélioration des résultats de reconstruction ou de la réduction des risques de morbi-mortalité (ASA V). |

* Pour ce dispositif, l'ASA III a été associée à 1 ASA IV

** Pour ce dispositif, l'ASA III a été associée à 2 ASA V.

- 1 ASA modérée (IV) pour 6 dispositifs médicaux :

| Nom et type du dispositif | Indication/domaine thérapeutique |
|--|--|
| Watchman Dispositif d'occlusion percutanée de l'auricule gauche | Prévention des événements thromboemboliques chez les patients en fibrillation auriculaire non valvulaire à haut risque thromboembolique avec un score CHA2DS2-VASc = 4 et une contre-indication formelle et permanente aux anticoagulants (validée par un comité pluridisciplinaire). |
| Amplatzer Cardiac Plug Dispositif d'occlusion de l'auricule gauche | Prévention des événements thromboemboliques chez les patients en fibrillation auriculaire non valvulaire à haut risque thromboembolique avec un score CHA2DS2-VASc = 4 et une contre-indication formelle et permanente aux anticoagulants (validée par un comité pluridisciplinaire). |
| Mobile Dream Véhicule électrique pour personne handicapée | Personnes ayant une perte ou une limitation sévère et durable de l'activité de marche (de cause neurologique, rhumatologique, orthopédique, cardio-respiratoire ou métabolique), dans l'impossibilité d'atteindre leurs objectifs de participation sociale en utilisant un fauteuil roulant à propulsion manuelle du fait de leur incapacité à propulser elles-mêmes un fauteuil roulant à propulsion manuelle en extérieur soit en raison de leur déficience soit en raison de leur situation environnementale. |

| Nom et type du dispositif | Indication/domaine thérapeutique |
|---|--|
| Restoration ADM X3 Cotyle à insert à double mobilité pour prothèse totale de hanche | <ul style="list-style-type: none"> - Arthroplasties de première intention chez les patients ayant un risque de luxation très élevé (atteintes neurologiques sévères, troubles neuropsychiatriques, addictions et grandes défaillances neuromusculaires). - Arthroplasties de reprise dans les cas de luxations itératives et chez les patients ayant un risque de luxation élevé. |
| Trident X3*** Insert en polyéthylène hautement réticulé | <ul style="list-style-type: none"> - Coxopathies fonctionnellement sévères provoquant un handicap quotidien, insuffisamment amélioré par un traitement médical bien conduit, après une période d'observation de quelques semaines à quelques mois chez des patients âgés de moins de 50 ans ainsi que pour des patients dont l'âge est compris entre 50 et 70 ans, ayant un niveau d'activité et une espérance de vie élevés. - Fractures cervicales vraies chez des sujets âgés de moins de 70 ans avec une activité correspondant à un score de Parker supérieur ou égal à 6. ASA IV : par rapport aux inserts en polyéthylène conventionnel pour les diamètres internes ≤ 32 mm. ASA V : par rapport aux inserts en céramique d'alumine pour les diamètres internes > 32 mm. |
| Kyphon**** Dispositifs pour cyphoplastie par ballonnets | <ul style="list-style-type: none"> - Traitement de(s) fracture(s) vertébrale(s) ostéoporotique(s) entre T5 et L5 douloureuses à la verticalisation, réfractaires à un traitement antalgique de niveau III bien conduit et récentes (moins de 12 semaines). Le patient doit présenter un angle minimal de cunéiformisation vertébrale antéropostérieure (cyphose vertébrale locale) thoracique de 15° ou lombaire de 10° et/ou une perte de hauteur vertébrale de la vertèbre fracturée de 15 % par rapport aux vertèbres adjacentes. ASA IV : par rapport aux traitements conventionnels non chirurgicaux (antalgiques, corset, kinésithérapie, etc.). ASA V : par rapport à la vertébroplastie (ou spondyloplastie sans expansion). - Traitement de(s) fracture(s) vertébrale(s) secondaire(s) à une néoplasie lytique, entre T5 et L5, sans atteinte majeure du mur postérieur, douloureuse(s) à la verticalisation et entraînant une diminution de la mobilité du patient. ASA V : par rapport aux traitements conventionnels non chirurgicaux (antalgiques, corset, kinésithérapie, etc.). ASA V : par rapport à la vertébroplastie (ou spondyloplastie sans expansion). |

*** Pour ce dispositif, l'ASA IV a été associée à 1 ASA V.

**** Pour ce dispositif, l'ASA IV a été associée à 3 ASA V.

Le tableau ci-dessous compare les ASA revendiquées par les industriels dans les dossiers de demande de remboursement par l'Assurance maladie aux ASA attribuées par la CNEDiMTS en réponse à ces demandes.

| ASA revendiquées |
|--|
| Deux demandes ASA I ont été revendiquées lors du dépôt de dossier auprès de la commission et ont obtenu ASA IV. |
| Sur les cinq demandes d'ASA II revendiquées lors du dépôt de dossier, 2 ASA III, 2 ASA V ont été attribuées et un dossier a été retiré avant examen. |
| Sur les neuf demandes d'ASA III revendiquées lors du dépôt de dossier, 2 ASA III, 3 ASA IV, 3 ASA V ont été attribuées et un dossier a obtenu un SA Insuffisant. |

Remarque : lorsque plusieurs ASA ont été attribuées par la CNEDiMTS pour un même dispositif, seule la meilleure ASA a été retenue dans le tableau (exemple : si pour un dispositif la CNEDiMTS a attribué une ASA III et une ASA V, seule l'ASA III a été retenue).

1.1.3.3 Délais

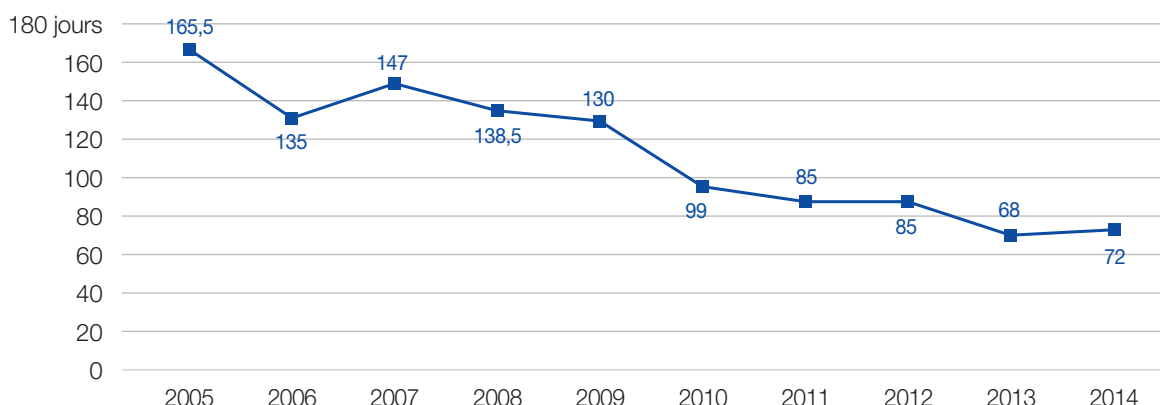
Le délai moyen de traitement des demandes de première inscription, quelle que soit la procédure d'instruction, a été de 86 jours¹⁴. Le délai médian a été de 72 jours. Soixante-trois pour cent (63 %) des demandes étaient traitées en moins de 90 jours. Le délai de traitement minimum a été de 7 jours et le délai maximum de 229 jours. Quatre-vingt-six pour cent (86 %) des demandes ont été closes en moins de 150 jours. Le délai moyen pour les PIS a été de 45 jours et le délai médian de 40 jours. Le délai moyen pour les PIC a été de 108 jours et délai médian de 93 jours.

En 2014, 8 dossiers ont été reportés à des séances ultérieures lorsque le quorum n'était pas atteint ou que les dossiers programmés en séance n'ont pu être examinés.

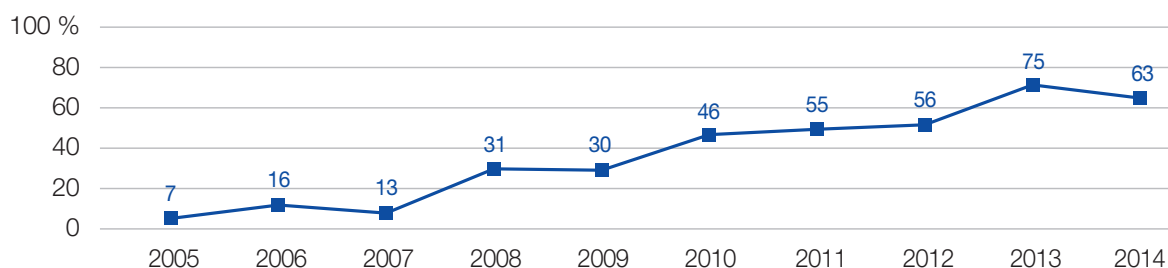
Les courbes ci-après montrent l'évolution des délais pour l'évaluation des demandes d'inscription au remboursement.

¹⁴ En application du Code de la sécurité sociale (art. R. 163-9), le délai entre le dépôt de dossier de demande de remboursement et la publication de l'inscription sur la LPP au JO est de 180 jours (tacitement 90 jours pour la CNEDiMTS et 90 jours pour le CEPS).

Délai médian des inscriptions



Pourcentage de demandes d'inscription évaluées en moins de 90 jours



1.1.3.4 Phases contradictoires

Remarque préliminaire : les phases contradictoires portent sur des demandes closes en 2014 par la commission (avis transmis au CEPS en 2014). L'audition ou l'examen des observations écrites peut avoir eu lieu en 2013.

Lors de l'audition qu'il a sollicitée dans le cadre de la phase contradictoire, le demandeur dispose de 15 minutes pour exposer ses arguments portant sur les points de désaccord. Ces points portent le plus souvent sur les niveaux et libellés de SA/SR et ASA/ASR ou sur l'estimation de la population cible. Le demandeur peut se faire accompagner d'experts de son choix. Pour ces auditions, le demandeur peut transmettre au préalable, au service évaluation des dispositifs toutes les observations qu'il souhaite faire.

À l'issue de l'audition, la commission délibère à nouveau pour confirmer ou modifier l'avis émis initialement. Son avis définitif est alors communiqué au demandeur.

En 2014, 26 avis (55 %) ont fait l'objet d'une audition au cours de leur phase contradictoire et 21 (45 %) ont fait l'objet d'observations écrites soumises en commission, soit 47 avis. Le délai moyen de traitement des demandes pour lesquelles il y a eu une audition ou un examen d'observations écrites, du dépôt du dossier jusqu'à sa transmission au CEPS, est de 102 jours.

| Demandes | Nombre de dossiers |
|---|--------------------|
| Première inscription | 18 |
| Renouvellement d'inscription | 15 |
| Modification des conditions d'inscription | 14 |
| TOTAL | 47 |

Toutes les auditions sollicitées en 2014 concernaient soit le SA/SR ou l'ASA/ASR. Les conclusions relatives au SA/SR ou à l'ASA/ASR ont été maintenues dans 21 cas et modifiées dans 5 cas. Les modifications ci-contre concernaient l'attribution d'un SA insuffisant et aucune modification concernant l'ASA n'a été demandée.

| Critère | Modification |
|---------|--|
| SA | SA suffisant => ASA IV (pour 1 avis) SA suffisant => ASA V (pour 3 avis) SA Suffisant => 1 ASA IV et 1 ASA V (pour 1 avis) |

1.2 Études post-inscription demandées

| Répartition des études post-inscription demandées par la CNEDiMTS en 2014 |
|---|
| 9 études ont concerné un dispositif |
| 1 étude a concerné une catégorie de dispositifs inscrits sous nom de marque |
| 1 étude a concerné une catégorie de dispositifs inscrits sous ligne générique |

En 2014, 23 réunions CEPS/HAS/fabricants ont été organisées pour 21 fabricants différents. Certains fabricants peuvent avoir été réunis plusieurs fois.

Deux études communes à plusieurs dispositifs ont donné lieu à des réunions impliquant simultanément plusieurs fabricants :

- étude STIDEX concernant les stimulateurs triple chambre et défibrillateurs cardiaques implantables ;
- étude EVOLUTION concernant les systèmes de télésurveillance des défibrillateurs cardiaques implantables.

1.3 Évaluation de catégories homogènes de produits et réponses aux saisines et autosaisines

En dehors de l'activité d'analyse de dossiers de demande de remboursement déposés par les industriels ou leurs représentants, la CNEDiMTS est amenée à effectuer des évaluations de catégories homogènes de produits et à répondre à différentes saisines.

Parmi ces évaluations, la révision des descriptions génériques représente une part importante de l'activité. Elle se fait en deux étapes : d'abord la révision elle-même puis la phase contradictoire quelques mois ou années plus tard suite à la publication de l'avis de projet au Journal officiel.

En 2014, elle a évalué 4 catégories de produits concernant des descriptions génériques. La durée moyenne de ces révisions a été inférieure à 13 mois. Seuls les travaux finis en 2014 sont cités.

La CNEDiMTS a effectué 3 autres évaluations de catégories homogènes de produits dans le cadre de phases contradictoires. Ces phases contradictoires ont duré en moyenne 226 jours et faisaient suite à la parution d'un avis de projet de modification des conditions d'inscription sur la LPPR. Ces phases contradictoires peuvent avoir lieu qu'il y ait eu ou non un avis de la CNEDiMTS auparavant.

Lors d'une activité non programmée et particulièrement complexe, la CNEDiMTS s'autosaisit afin d'évaluer l'ensemble de la catégorie dans le même temps. Ce procédé a été appliqué deux fois au cours de l'année 2014. La CNEDiMTS peut être saisie par le ministre ou les directions du ministère.

| Révisions des descriptions génériques |
|---|
| <ul style="list-style-type: none"> • Prothèse d'épaule • DM contraceptifs • Syndrome d'apnées-hypopnées obstructives du sommeil (SAHOS) – Dispositifs médicaux pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associées • Forfait de mobilisation thoracique et d'aide à la toux (forfait 7) |
| Phases contradictoires suite à la parution d'un avis de projet de nomenclature |
| <ul style="list-style-type: none"> • Oxygénothérapie • Nutrition orale • Prothèses de hanche |
| Saisine du ministère |
| <ul style="list-style-type: none"> • Neurostimulateurs médullaires pour le traitement des douleurs chroniques |
| Saisine du CEPS |
| <ul style="list-style-type: none"> • Lits médicaux disposant de la fonction proclive-déclive |
| Autosaisines (évaluation de l'acte associée à celle du DM) |
| <ul style="list-style-type: none"> • Dispositifs de fermeture percutanée de l'appendice auriculaire gauche • Ciment pour acte de kyphoplastie |

1.4 Documents de bon usage

Deux fiches de bon usage ont été publiées :

- « **Comment prescrire les dispositifs médicaux de traitement du syndrome d'apnées-hypopnées obstructives du sommeil, chez l'adulte** » ;
- « **Neurostimulateurs médullaires implantables : une technique de dernier recours** ».

Depuis 2005, la CNEDiMTS produit des fiches de bon usage des technologies de santé. Vingt et une fiches ont été publiées. Elle a également produit 8 fiches d'information thérapeutique.

1.5 Rencontres précoces

Afin de permettre aux industriels de réaliser des études cliniques pertinentes, la HAS rencontre depuis 2010 tout demandeur pour discuter un protocole d'étude clinique. Ces rencontres sont proposées quel que soit le degré d'innovation de la technologie. Les industriels doivent au préalable soumettre le protocole à discuter, ainsi que les questions qu'ils souhaitent aborder.

Ces rencontres, instaurées à titre expérimental en 2010, se sont accentuées avec respectivement 4, 2, 8 et 14 rencontres de 2011 à 2014.

1.6 Attentes de la CNEDiMTS en termes de données cliniques

Depuis 2005, lors des révisions de descriptions génériques (ou plus généralement de catégories de DM) et quand des données cliniques sont nécessaires pour une inscription sous nom de marque (DM n'entrant pas dans la ligne générique ou revendications d'une ASA), la CNEDiMTS a exprimé ses attentes en termes de données cliniques, notamment en ce qui concerne le critère de jugement et la durée de l'étude.

Les attentes de la CNEDiMTS en termes de données cliniques ont été rapportées en 2014 dans 5 rapports :

- Syndrome d'apnées-hypopnées obstructives du sommeil (SAHOS) ;
- Dispositifs médicaux pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associées ;
- Prothèse de hanche ;
- Neurostimulateurs médullaires pour le traitement des douleurs chroniques ;
- Dispositifs de fermeture percutanée de l'appendice auriculaire gauche.

Au total, il existe 27 rapports dans lesquels sont précisées les attentes de la CNEDiMTS en termes de données cliniques lors de l'évaluation d'un DM (cf. [annexe](#)).

1.7 Évaluation des DM financés en intra-GHS

Cette année, la HAS a mis en ligne sur son site Internet un guide décrivant toutes les modalités pratiques pour déposer un dossier dans le cadre de l'évaluation intra-GHS.

1.8 Focus

Dans le cadre de ses missions, la HAS évalue le service attendu de certains dispositifs médicaux en vue de leur prise en charge par l'Assurance maladie. C'est la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS) qui en a la charge.

En 2014, elle a évalué divers dispositifs médicaux, notamment ceux de la prise en charge des apnées du sommeil ou des douleurs chroniques d'origine neuropathique. Elle a également revu la nomenclature des prothèses de hanche et des dispositifs de mobilisation thoracique et d'aide à la toux.

► Apnée du sommeil : évaluation clinique et économique des dispositifs médicaux

Près de 5 % de la population adulte française est atteinte d'apnée du sommeil avec un recours croissant à des DM incluant soit des dispositifs de pression positive continue (PPC) soit des orthèses d'avancée mandibulaire (OAM). Cette prise en charge constitue un enjeu sanitaire et économique majeur. La CNEDiMTS a évalué conjointement avec la CEESP la place dans la stratégie thérapeutique avec un modèle économique original comparant l'efficacité des différents traitements du SAHOS léger et modéré disponibles.

En adjonction des mesures hygiéno-diététiques recommandées, le choix du traitement a été défini en fonction des symptômes, de la sévérité du syndrome mesurée par l'indice d'apnées-hypopnées (IAH) et de la présence éventuelle d'une maladie cardio-vasculaire grave associée (hypertension artérielle résistante, fibrillation auriculaire récidivante, insuffisance ventriculaire gauche sévère ou maladie coronarienne mal contrôlée, antécédent d'accident vasculaire cérébral).

Lorsque l'IAH est supérieur à 30, la PPC est recommandée en première intention.

Lorsque l'IAH est compris entre 15 et 30, la PPC est recommandée s'il existe au moins 10 micro-éveils par heure de sommeil ou une maladie cardio-vasculaire grave associée. En l'absence de ces facteurs de risque ou si la PPC n'est pas bien tolérée l'OAM est recommandée car elle est plus efficace.

Lorsque l'IAH est inférieur à 15, aucune intervention thérapeutique n'est préconisée autre que les mesures hygiéno-diététiques.

Pour en savoir plus, consulter l'évaluation clinique et économique des dispositifs médicaux et prestations associées pour la prise en charge du syndrome d'apnées-hypopnées obstructives du sommeil (SAHOS) : www.has-sante.fr/portail/jcms/c_1761818/fr/evaluation-clinique-et-economique-des-dispositifs-medicaux-et-prestations-associees-pour-prise-en-charge-du-syndrome-dapnees-hypopnees-obstructives-du-sommeil-sahos

► Neurostimulation médullaire : évaluation des systèmes implantables

La mise à disposition de nouvelles générations de neurostimulateurs médullaires implantables dans le traitement des douleurs chroniques a conduit la CNEDiMITS à réaliser, une évaluation technologique de ces DM.

La CNEDiMITS considère que ces DM ont une place dans la prise en charge des douleurs chroniques d'origine neuropathique et ischémique secondaires à une maladie de Buerger, après échec des alternatives thérapeutiques. L'implantation définitive doit être précédée par un bilan neurologique et une période de test montrant sur une échelle validée, une réduction des douleurs d'au moins 50 %. Les neurostimulateurs rechargeables doivent être réservés aux patients nécessitant un niveau élevé de stimulation.

Pour en savoir plus, consulter le rapport d'évaluation des systèmes implantables de neurostimulation médullaire : www.has-sante.fr/portail/jcms/c_1351767/fr/evaluation-des-systemes-implantables-de-neurostimulation-medullaire?xtmc=&xtcr=9

► Prothèses de hanche : élaboration de la nomenclature définitive

Dans le cadre de la révision des descriptions génériques un projet des nouvelles conditions de prise en charge des prothèses de hanche par l'Assurance maladie a été publié au Journal officiel en 2013. Cette publication a ouvert la phase contradictoire avec les industriels et les professionnels de santé concernés qui ont adressé leurs observations à la CNEDiMITS.

À l'issue de la phase contradictoire, la CNEDiMITS a proposé trois modalités de remboursement différentes pour les prothèses de hanche :

- de rembourser le couple de frottement métal-polyéthylène conventionnel sous description générique et de le considérer comme le couple de référence en raison du recul clinique disponible sur ce couple de frottement ;
- de maintenir l'exigence de données cliniques spécifiques pour certains implants en vue de leur remboursement sous nom de marque. Il s'agit des cotyles à insert à double mobilité ; des implants en polyéthylène hautement réticulé ; des implants métal-métal et des tiges à col modulaire ;
- de prendre en charge sous descriptions génériques les implants en céramique d'alumine composite avec un recueil de données de survie d'implant à long terme.

Pour en savoir plus, consulter le rapport d'évaluation des prothèses de hanche : www.has-sante.fr/portail/jcms/c_2006405/fr/evaluation-des-protheses-de-hanche?xtmc=&xtcr=1

► Mobilisation thoracique et aide à la toux : élargissement des indications et actualisation de la LPPR

Les pathologies neuromusculaires consécutives à une lésion primitive ou secondaire, de l'unité motrice (motoneurone + fibres musculaires) entraînent une réduction de la force et de l'endurance des muscles respiratoires. L'encombrement bronchique et l'inefficacité de la toux qui en résultent s'accompagnent d'une altération de la qualité de vie et d'une augmentation d'épisodes infectieux. De même, chez les patients avec lésions médullaires (tétraplégie, paraplégie), l'atteinte respiratoire, dépendante du niveau lésionnel, provoque à terme la survenue d'atélectasies pulmonaires, de pneumopathies pouvant engager le pronostic vital.

Avec l'augmentation de l'espérance de vie des patients avec pathologies neuromusculaires pris en charge par l'Assurance maladie, et le meilleur dépistage des troubles respiratoires dans des populations avec pathologies neurologiques chez lesquels un déficit mécanique de la toux peut exister, les conditions de remboursement des dispositifs médicaux aidant à la toux et à la mobilisation thoracique n'étaient plus adaptées à la pratique.

La CNEDiMITS recommande une nomenclature médicale plus adaptée. On distingue les relaxateurs de pression destinés à l'aide instrumentale mécanique à la mobilisation thoracique d'une part, et les in-exsufflateurs destinés à l'aide à la toux et au désencombrement d'autre part.

La prise en charge de ces dispositifs est désormais recommandée pour les patients avec pathologies neurologiques ou neuromusculaires, congénitales ou acquises.

Pour en savoir plus, consulter le rapport d'évaluation des technologies de santé « Forfait hebdomadaire 7 : forfait de mobilisation thoracique et d'aide à la toux » : www.has-sante.fr/portail/jcms/c_1778518/fr/forfait-hebdomadaire-7-forfait-de-mobilisation-thoracique-et-daide-a-la-toux-rapport-d-evaluation?xtmc=&xtcr=4

2. Évaluation de catégories homogènes de produits et réponses aux saisines et autosaisines : bilan depuis 2006

Révision de descriptions génériques

Depuis la parution du décret 2004-1419 du 23 décembre 2004 mentionné à l'article L. 165-1 du CSS relatif à la prise en charge des produits et prestations, la commission doit réévaluer l'ensemble des descriptions génériques de la LPPR, chaque catégorie de DM pouvant correspondre à un nombre variable de lignes (1 à 400).

Le processus de réévaluation est complexe car il se divise en plusieurs étapes :

- évaluation par la CNEDiMITS ;
- négociation du tarif ou du prix par le CEPS ;
- publication de l'avis de projet par le ministre ;
- phase contradictoire et nouvelle évaluation par la CNEDiMITS ;
- nouvelle négociation du tarif ou du prix par le CEPS et publication de l'avis définitif au JO.

Depuis 2005, 36 thèmes de révision de descriptions génériques ont fait l'objet d'un avis et/ou d'un rapport d'évaluation de la CNEDiMITS.

| Révision des lignes génériques | Date avis CNEDiMTS | Date de publication avis projet | Date nouvel avis CNEDiMTS | Date de publication nomenclature |
|---|---------------------------------|---------------------------------|---------------------------|----------------------------------|
| Prothèses oculaires | 14/06/06 | 23/10/07 | 10/07/12 | 23/10/07 |
| Autosurveillance et autotraitement | 24/01/07 | 10/06/09 | 06/10/09 | 12/01/10 |
| Pansements | 07/03/07 | 30/07/09 | 12/01/10 | 07/08/10 |
| Prothèses de hanche | 05/09/07 | 21/03/13 | 02/12/14 | |
| Cannes et béquilles | 31/10/07 | | | |
| Lits et accessoires | 28/11/07 | 20/09/09 | 28/04/10 | 29/06/10 |
| Appareils électroniques correcteurs de surdité | 01/04/08 | | | |
| Appareils de photothérapie et de contrôle de la bilirubine pour le traitement de la maladie de Crigler-Najjar de type 1 | 08/07/08 | 08/05/13 | 10/10/13 | 25/07/14 |
| Bonnets, couvre-moignons | 17/02/09 | | | |
| Compression médicale | 23/11/10 | | | |
| Appareil de neurostimulation électrique transcutanée | 17/02/09 | | | |
| Pompes implantables | 29/04/09 | 06/03/09 | | 28/05/09 |
| Prothèses mammaires externes du sein | 26/05/09 | 17/03/11 | 31/05/11 | |
| Implants mammaires et d'expansion cutanée | 26/05/09 | | | |
| Appareils divers de correction orthopédique membre supérieur | 26/01/10 | | | |
| DM pour perfusion à domicile | 14/09/10 | | | |
| Appareils Modulaires de verticalisation | 14/09/10 | | | |
| Déambulateurs et prestations de livraison | 14/09/10 | | | |
| Appareils destinés au soulèvement | 10/11/10 | | | |
| Coussins de série | 08/03/11 | | | |
| Orthèses de membre supérieur | 26/01/10 | | | |
| Prothèses externes de membre supérieur | 29/06/10 Modifié le 21/12/10 | | | |
| Implants d'embolisation artérielle : indications neurologiques | 28/06/11 Modifié le 29/11/11 | | | |
| Implants d'embolisation artérielle : indications périphériques | 28/06/11 Modifié le 29/11/11 | | | |
| DM pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associées - oxygénothérapie | 17/04/12 | 29/10/13 | 11/02/14 | |
| Traitement de la crise d'algie vasculaire de la face | 17/04/12 | | | |
| Contention orthopédique | 10/07/12 | | | |
| DM pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associées - ventilation | 20/11/12 | 04/12/13 | | |
| Implant articulaire du coude | 11/09/12 | | | |
| Implant articulaire du genou | 06/11/12 | | | |
| Prothèses faciales | 18/12/12 | | | |
| Substituts osseux | 28/05/13 | | | |
| Vêtements compressifs sur mesure pour grands brûlés | 17/09/13 | | | |

| Révision des lignes génériques | Date avis CNEDiMTS | Date de publication avis projet | Date nouvel avis CNEDiMTS | Date de publication nomenclature |
|---|--------------------|---------------------------------|---------------------------|----------------------------------|
| Prothèse d'épaule | 31/03/14 | | | |
| DM contraceptifs | 07/05/14 | | | |
| DM pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associées - forfait de mobilisation thoracique et d'aide à la toux (forfait 7) | 14/11/14 | | | |
| Implant de colposuspension | 05/09/07 | Radiation de la LPPR en 2009 | | |
| Implants de réfection de paroi | 18/11/07 | Radiation de la LPPR en 2009 | | |
| Implants de pontage | 23/04/13 | Radiation en 2014 | | |

| Révision des lignes génériques (autosaisine CNEDiMTS, saisine ministérielle, etc...) | Date avis CNEDiMTS | Date de publication avis projet | Date nouvel avis CNEDiMTS | Date de publication nomenclature |
|--|----------------------------------|--|---------------------------|----------------------------------|
| Véhicules pour personnes handicapées | 09/01/02 | 06/08/10 | 13/09/11 | |
| Produits nutrition à domicile et prestations associées | 27/09/06 | | | |
| Systèmes de nébulisation par aérosolthérapie | 10/07/07 Modifié le 18/11/08 | | | |
| Nutrition parentérale à domicile | 15/04/08 | 19/03/13 | 19/12/13 | 18/06/14 |
| Pieds à restitution d'énergie | 21/07/09 | 14/02/12 | 12/06/12 | 23/03/13 |
| Allogreffes : - vasculaires - valvulaires - osseuses | 12/01/10 12/01/10 12/01/10 | 15/09/10 Radié de la LPPR 20/02/13 | | 23/06/11 |
| Sets de produits de santé/ssets de pansements | 22/03/11 | | 21/07/11 | 30/12/11 |
| DM autosurveillance autotraitement | | 30/11/10 | 08/02/11 | 27/07/11 |
| Implants du rachis | 20/09/11 | | | |
| Produits d'assistance à la posture pour véhicules pour personnes handicapées | 15/11/11 | | | |
| Prestations associées aux DM de perfusion et de nutrition parentérale à domicile | 10/01/12 | | | |
| Scoters | 22/02/12 | | | |
| Observance traitement de l'apnée du sommeil | 06/11/12 | | | |
| Dispositifs de fermeture percutanée de l'appendice auriculaire gauche | 10/09/14 | | | |
| Lits médicaux disposant de la fonction proclive-déclive | 08/10/14 | | | |

| Catégories de dispositifs HORS LIGNES GÉNÉRIQUES (autosaisine CNEDiMTS, saisine ministérielle, etc.) | Date avis CNEDiMTS | Observations |
|--|--------------------|---|
| Implants cristalliniens monofocaux | Rapport avril 08 | DM intra-GHS |
| Évaluation des IRM dédiées et à champ modéré < 1T | Rapport juin 08 | DM intra-GHS |
| Stimulateurs cardiaques implantables triple chambre | 14/10/08 | Conclusions incluses dans les avis postérieurs au rapport |
| Stimulateurs cardiaques implantables : place respective des stimulateurs simple et double chambre | Rapport février 09 | Fiche de bon usage et Conclusions incluses dans les avis postérieurs au rapport |
| Endoprothèses aortiques abdominales | Rapport juin 09 | Conclusions incluses dans les avis postérieurs au rapport |
| Stents coronaires à libération de principe actif | Rapport juillet 09 | Conclusions incluses dans les avis postérieurs au rapport |
| DM d'aide à la prévention des escarres | 22/12/09 | Conclusions incluses dans les avis postérieurs au rapport |
| Traitement des plaies par pression négative | Rapport 27/01/10 | Fiche de bon usage |
| Dispositifs hémostatiques utilisés en chirurgie | Rapport juin 11 | Fiche de bon usage |
| Prothèses de hanche métal/métal | 01/05/2013 | Conclusions incluses dans les avis postérieurs au rapport |
| Stents intracrâniens utilisés dans l'angioplastie des sténoses athéromateuses | Rapport janvier 13 | DM intra-GHS |
| Valves aortiques posées par voie transcutanée | Rapport octobre 11 | Conclusions incluses dans les avis postérieurs au rapport |
| Neurostimulateurs médullaires pour le traitement des douleurs chroniques | 09/04/14 | Conclusions incluses dans les avis postérieurs au rapport |

Annexe. Liste des rapports précisant les attentes de la CNEDiMTS en termes de données cliniques

- Évaluation du remplacement du disque intervertébral lombaire par prothèse.
- Traitement de la surdité par pose d'implants cochléaires ou d'implants du tronc cérébral.
- Évaluation des implants de renfort pour le traitement de l'incontinence urinaire d'effort féminine et du prolapsus des organes pelviens de la femme.
- Évaluation des prothèses de hanche (2007 et 2014).
- Évaluation de l'assistance circulatoire mécanique (hors dispositifs légers).
- Évaluation des appareils électroniques correcteurs de surdité.
- Évaluation des implants de réfection de paroi, de suspension et d'enveloppement en chirurgie digestive et dans les indications spécifiques à la chirurgie pédiatrique.
- Évaluation des endoprothèses aortiques abdominales utilisées pour le traitement des anévrysmes de l'aorte abdominale sous-rénale.
- Évaluation des endoprothèses coronaires à libération de principe actif.
- Dispositifs médicaux d'aide à la prévention des escarres (projet de nomenclature).
- Évaluation des dispositifs de compression médicale à usage individuel – Utilisation en pathologies vasculaires.
- Prothèses externes de membre supérieur.
- Réévaluation des bioprothèses valvulaires aortiques implantées par voie artérielle transcutanée ou par voie transapicale.
- Compression-contention médicale à usage individuel – Utilisation en orthopédie rhumatologie traumatologie.
- Implants articulaires du genou.
- Dispositifs médicaux et prestations associées pour traitement de l'insuffisance respiratoire et de l'apnée du sommeil : oxygénothérapie à domicile.
- Dispositifs médicaux et prestations associées pour traitement de l'insuffisance respiratoire et de l'apnée du sommeil : ventilation mécanique à domicile.
- Implants du rachis.

- Implants de pontage.
- Évaluation des endoprothèses utilisées dans l'angioplastie des sténoses athéromateuses intracrâniennes.
- Substituts osseux.
- Vêtements compressifs pour grands brûlés.
- Syndrome d'apnées-hypopnées obstructives du sommeil (SAHOS).
- Dispositifs médicaux pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associées.
- Neurostimulateurs médullaires pour le traitement des douleurs chroniques.
- Dispositifs de fermeture percutanée de l'appendice auriculaire gauche.

Conclusions et perspectives

Les avis de la commission en chiffres

En 2014, la CNEDiMTS a rendu 195 avis, dont 78 sur des demandes de première inscription dans un délai moyen de 86 jours. Un SA suffisant a été attribué dans 65 (83 %) avis, aucune ASA I ou II et seulement 5 ASA III.

La CNEDiMTS compte poursuivre ces évaluations à un rythme soutenu avec la perspective de réduire les délais de décision.

Elle a évalué en 2014, quatre lignes génériques (prothèse d'épaule, DM contraceptifs, DM pour traiter le syndrome d'apnées-hypopnées obstructives du sommeil (SAHOS) et le forfait de mobilisation thoracique et d'aide à la toux). Elle a en outre évalué deux saisines (les neurostimulateurs médullaires pour le traitement des douleurs chroniques à la demande de la DGS/DSS et les lits médicaux disposant de la fonction proclive-déclive à la demande du CEPS).

La CNEDiMTS s'est autosaisie concernant l'évaluation de 2 actes d'implantation d'un DM : dispositifs de fermeture percutanée de l'appendice auriculaire gauche et ciment pour acte de kyphoplastie.

Les phases contradictoires faisant suite à la publication au Journal officiel de 3 avis de projet ont été traitées : oxygénothérapie, nutrition orale, prothèses de hanche.

Extension du périmètre de l'évaluation

► Évaluation des dispositifs médicaux pris en charge dans les prestations d'hospitalisation

L'objectif du législateur étant de ne recommander aux établissements hospitaliers pour certaines catégories que des DM évalués par la CNEDiMTS, la commission a inscrit à son programme de travail 2015 les 4 catégories suivantes : a) les valves cardiaques chirurgicales biologiques ; (b) les défibrillateurs cardiaques implantables sans sonde endocavitaire ; (c) les stents intracrâniens utilisés dans l'angioplastie des sténoses athéromateuses et (d) les défibrillateurs cardiaques implantables conventionnels : avec sonde endocavitaire (simple, double et triple chambre).

La commission a publié un guide afin d'aider les industriels à rédiger leurs dossiers en vue de l'évaluation de leurs DM par cette dernière. Elle a également communiqué le cas échéant ses attentes en matière d'évaluation.

► Évaluation des dispositifs médicaux à usage individuel posés ou utilisés lors d'un acte professionnel

Il est prévu, suite au travail fourni par le comité stratégique de filière, d'étendre l'éligibilité à la LPPR pour des DM à usage individuel mais à caractère temporaire ou partiellement invasif posés ou utilisés pendant un acte. La commission s'apprête donc, dès lors que les textes réglementaires le permettront, à élargir son périmètre d'évaluation à ces DM (dits « consommables onéreux » utilisés lors de la réalisation d'un acte).

Les règles d'évaluation seront en tous points identiques à celles de tout produit revendiquant une inscription à la LPPR. Toute revendication d'amélioration du service attendu devra être soutenue par des données cliniques comparatives.

Optimisation du recueil de données complémentaires

► Études post-inscription et relation avec les conseils nationaux professionnels

La commission considère qu'une étude post-inscription systématique doit progressivement s'imposer pour certaines catégories de DM. Ce suivi sous forme de registres obligatoires garantira aux malades leur suivi ; il pourrait contribuer à la matériovigilance et à la traçabilité ; il aidera les professionnels à connaître le suivi de leurs malades et leur fournira des outils de recherche clinique. Les informations recueillies devront être limitées, seront adaptées selon la nature du DM et ne porteront que sur des événements jugés pertinents. Le recueil de ces informations ne devra pas rompre le parcours de soins du malade.

La validation du projet de protocole de l'étude par la CNEDiMTS et le CEPS devra s'assurer de la collaboration avec les représentants des professionnels de santé.

Toutes les études devront faire l'objet d'une déclaration sur « clinicaltrial.gov ».

► Une nouvelle modalité d'inscription à la LPPR

La commission suit avec attention la mise en œuvre des lignes génériques renforcées, nouvelle modalité d'inscription à la LPPR introduite par l'article 60 de la loi n° 2014-1554 du 22 décembre 2014. Ce nouveau mode d'inscription n'implique pas la CNEDiMTS, mais il offre néanmoins une nouvelle perspective de suivi des DM inscrits sous descriptions génériques, c'est-à-dire sans exigences cliniques spécifiques *a priori*.

Évolution du processus de mise en œuvre du forfait innovation (article L. 165-1-1 du Code de la sécurité sociale)

Le processus de mise en œuvre initialement envisagé pour le forfait innovation était compliqué ; seuls deux DM ont pu bénéficier de cette prise en charge dérogatoire depuis sa mise en place en 2010.

Un processus optimisé, introduit par l'article 57 de la loi n° 2014-1554, est défini par le décret 2015-179 du 16 février 2015.

Deux points majeurs dans l'évolution du processus doivent être soulignés :

- le demandeur déposera un dossier de demande de mise en œuvre du forfait innovation comprenant le protocole d'étude envisagée ;
- l'analyse du dossier scientifique par la HAS sera conduite en parallèle de celle qui sera conduite par le ministère pour la tarification du forfait.

L'objectif est d'aboutir à une mise en œuvre extrêmement rapide.

Les délais étant très courts, l'avis sera émis directement par la HAS, sans avis préalable de la CNEDiMTS. La prise en charge dérogatoire permettra le recueil de données cliniques essentielles pour établir l'intérêt de ces technologies. La CNEDiMTS réévaluera ensuite leur intérêt à l'issue de la période de prise en charge dérogatoire pour envisager une prise en charge de droit commun.

Constitution d'une commission comprenant un nombre plus important de membres

Le nombre (19) de membres composant actuellement la CNEDiMTS est insuffisant au vu de la variété des produits évalués et compte tenu de l'élargissement du champ de la LPPR. La publication du décret permettant d'accroître le nombre de professionnels de santé et surtout d'assurer la participation des patients et des usagers est toujours très attendue par la CNEDiMTS.



Commission évaluation économique et santé publique (CEESP)

La commission évaluation économique et santé publique (CEESP) réalise depuis sa création en 2008 des évaluations médico-économiques de stratégies de soins, de prescriptions ou de prise en charge et de recommandations en santé publique pour aider les pouvoirs publics à optimiser l'utilisation des ressources allouées à la santé.

Cette mission s'est élargie depuis octobre 2013 avec la mise en œuvre du décret n° 2012-1116 du 2 octobre 2012, pris en application de la loi de financement de la sécurité sociale pour 2012, prévoyant la production d'avis d'efficience pour un certain nombre de médicaments et dispositifs médicaux.

Conformément à l'article L. 161-37 du Code de la sécurité sociale, la CEESP établit chaque année un rapport d'activité remis au Parlement.

Le rapport d'activité pour l'année 2014 est construit en trois parties :

- la première partie présente les missions et le fonctionnement ;
- la deuxième partie présente le bilan de 2014 pour l'activité non programmée de la CEESP, correspondant à l'évaluation de l'efficience de produits de santé dans le cadre des demandes d'inscription ou de renouvellement d'inscription sur les listes mentionnées aux articles L. 162-17 et L. 165-1 du Code de la sécurité sociale et L. 5123 du Code de la santé publique.
- la troisième partie porte sur les activités programmées de la CEESP, comprenant notamment :
 - les recommandations en santé publique,
 - les rapports d'évaluation technologique/économique,
 - le cadrage des sujets inscrits au programme de travail.

Missions, composition et fonctionnement

1. Missions de la commission

Pour garantir la pérennité du système de santé fondé en majeure partie sur une prise en charge financière collective des soins de santé, des choix en matière d'allocation des ressources doivent être faits.

La CEESP a été créée pour contribuer à ce que la mesure de l'intérêt pour la société d'une stratégie ou d'un produit soit prise en compte dans les décisions les concernant, notamment celles relatives à leur prix.

Elle s'appuie sur les travaux du service évaluation économique et santé publique (SEESP) et est également amenée à examiner des dossiers du service évaluation des actes professionnels (SEAP).

La CEESP a été créée à l'occasion de la mise en œuvre de la loi de financement de la sécurité sociale pour 2008 qui a confié à la HAS une mission médico-économique sur les stratégies de santé. Cette mission a été confirmée et élargie par la loi de financement de la sécurité sociale pour 2012, en incluant les produits de santé et créant une commission réglementée pour mener à bien cette mission. Le Collège de la HAS, qui détermine la composition de cette commission, a choisi de conserver la composition et le fonctionnement de la CEESP.

La commission a pour mission de :

- rendre un avis médico-économique sur les actes, produits ou prestations de santé (1^{er} alinéa de l'article L. 161-37 du Code de la sécurité sociale) ;
- établir et diffuser des recommandations médico-économiques sur les stratégies de soins, de prescription ou de prise en charge les plus efficaces ;
- à la demande du Collège de la HAS, elle peut également avoir pour mission de préparer ses délibérations relatives :
 - aux avis mentionnés au 2° bis de l'article L. 161-40 du Code de la sécurité sociale sur la liste des consultations médicales périodiques de prévention et des examens de dépistage mis en œuvre dans le cadre des programmes de santé visés à l'article L. 1411-6 du code de la santé publique,
 - aux travaux d'évaluation de la qualité de la prise en charge sanitaire de la population conformément au 3° de l'article L. 161-40 du Code de la sécurité sociale,
 - aux avis relatifs aux actes à visée esthétique (article L. 1151-3 du Code de la santé publique) ;

- apporter une expertise en matière d'évaluation économique et en matière d'évaluation en santé publique effectuées :
 - par le service évaluation économique et santé publique (SEESP),
 - par d'autres services de la HAS.

2. Composition de la commission

2.1 Composition de la commission

La commission évaluation économique et santé publique est composée de 33 membres ayant voix délibérative :

- un Président nommé parmi les membres du Collège ;
- des professionnels de santé ;
- des personnalités nommées en raison de leurs compétences dans le domaine de l'évaluation économique et de la santé publique ;
- des représentants d'usagers ou d'associations de patients.

Les membres de la commission sont nommés par décision du Collège de la HAS pour une période de 3 ans, renouvelable deux fois.

Parmi ces membres, deux vice-présidents sont désignés par le Collège de la HAS.

Le mandat actuel couvre la période de 2011 à 2014. La commission est présidée par Jean-Luc Harousseau, président (du Collège) de la Haute Autorité de santé. Ses deux vice-présidents sont Catherine Le Galès et Guy Launoy¹. Une procédure de renouvellement de la commission pour la période de 2015 à 2018 a été lancée en fin d'année.

2.2 Sous-commissions

Pour préparer ses travaux, la commission se réunit en deux sous-commissions, une sous-commission économie et une sous-commission sciences humaines et sociales pour procéder à des analyses méthodologiques préalables. Leur présidence est assurée par un membre de la commission, assisté par un secrétaire, désignés par le président. En 2014, la présidence de la sous-commission sciences humaines et sociale a été assurée par Daniel Benamouzig, assisté par Jean-Claude K. Dupont et la présidence de la sous-commission économie a été assurée par Benoît Dervaux assisté par Valérie Clément.

En 2014, 11 réunions de la sous-commission économie et 6 réunions de la sous-commission sciences humaines et sociales ont été organisées. Les discussions menées en sous-commission font l'objet d'un compte-rendu transmis à la commission.

2.3 Bureau

Le bureau de la commission se compose du président, des deux vice-présidents, des deux présidents des sous-commissions, et le cas échéant leur secrétaire ainsi que du chef du service évaluation économique et santé publique. Il se réunit sur convocation du président qui peut solliciter la participation de toute personne de la commission ou des services de la HAS.

Le bureau prépare, avec l'appui du service évaluation économique et santé publique, les réunions de la commission et arrête l'ordre du jour.

Il a délégué de la commission pour :

- désigner les rapporteurs des travaux parmi les membres de la commission ;
- examiner les liens d'intérêts des experts externes et valider leur participation aux travaux ;
- statuer sur les observations écrites présentées par les entreprises du médicament ou du dispositif médical à propos des avis rendus par la commission lors de la phase contradictoire, lorsqu'elles touchent à la forme et non au fond des avis.

2.4 Secrétariat de la commission

Le secrétariat de la commission est assuré par le service évaluation économique et santé publique, dirigé par Catherine Rumeau-Pichon. Ce service est intégré à la direction de l'évaluation médicale, économique et de santé publique (DEMESP) de la HAS dirigée par le Dr Jean-Patrick Sales.

Il est chargé d'apporter l'aide administrative nécessaire au bon fonctionnement de la commission et d'assurer la coordination de ses travaux avec les activités des autres commissions de la HAS. Il veille à la qualité des documents préparés pour la commission, à la conduite et à la régularité des procédures ainsi qu'au respect des délais.

3. Fonctionnement de la commission

Le fonctionnement de la commission évaluation économique et santé publique est régi par le Code de la sécurité sociale et par son règlement intérieur.

Pour son fonctionnement, la commission s'appuie sur les travaux du service évaluation économique et santé publique qui assure l'instruction interne des demandes.

Les avis élaborés par la commission, à l'attention notamment du Collège de la HAS ou du Comité d'évaluation des produits de santé (CEPS), se fondent sur un certain nombre de considérants et d'éléments établis scientifiquement. La commission se réunit une fois par mois.

¹ Guy Launoy a démissionné de son mandat en cours d'année.

Ses procès-verbaux sont publiés sur le site Internet de la HAS et diffusés aux membres de la commission, à tous les participants à la séance, au directeur de la HAS et aux membres du Collège, ainsi qu'aux représentants des ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale. Dans le cadre de la mise en œuvre des dispositions législatives sur la transparence et l'expertise, les débats de la commission sont enregistrés, retranscrits par écrit et conservés par son secrétariat. La commission s'est réunie à 11 reprises au cours de l'année 2014.

Activité non programmée : les avis d'efficience

1. Contexte et organisation des avis d'efficience

1.1 Pourquoi évaluer l'efficience ?

La demande de santé est potentiellement illimitée et les réponses pouvant être proposées pour faire face aux besoins non couverts sont nombreuses et parfois coûteuses alors que les ressources permettant de les financer sont contraintes. Les autorités publiques sont aujourd'hui confrontées à la nécessité de concilier l'intérêt individuel du patient qui aspire légitimement à la meilleure prise en charge possible quand son état de santé se dégrade et l'intérêt collectif, qui vise à garantir une prise en charge équitable de tous les patients.

La commission grâce à sa mission d'évaluation économique des produits de santé et technologies de santé (médicaments et dispositifs médicaux), contribue à concilier ces deux objectifs et à favoriser l'explicitation des valeurs collectives sur lesquelles repose la hiérarchisation des priorités de santé publique.

La fixation d'un « juste » prix, c'est-à-dire un prix qui soit en adéquation avec la valeur du produit pour la collectivité, est un facteur clé d'une allocation optimale des ressources collectives. L'objectif de l'évaluation économique est d'éclairer la relation entre le coût d'un produit de santé et les résultats de santé qu'il génère. La doctrine de la commission réunit l'ensemble des éléments lui permettant de se positionner sur l'efficience attendue d'un produit de santé en vue d'aider à la négociation du prix par le CEPS. Pour remplir cette mission, la commission s'appuie sur un cadre réglementaire, l'application d'une méthodologie rigoureuse et une utilisation appropriée des données médicales et économiques disponibles.

1.2 Quel cadre réglementaire pour les avis d'efficience ?

Depuis le 3 octobre 2013, conformément à l'article L. 161-37 du Code de la santé publique, la HAS expertise les études médico-économiques nécessaires à l'évaluation des produits et technologies de santé. Le décret n° 2012-1116 du 2 octobre 2012 prévoit deux conditions cumulatives pour la mise en œuvre de l'évaluation économique des produits de santé :

- la revendication (ou confirmation) d'une ASMR (amélioration du service médical rendu)/ASA (amélioration du service attendu) de niveau I, II ou III ;
- et un « impact significatif [du produit] sur les dépenses de l'assurance maladie compte tenu de son incidence sur l'organisation des soins, les pratiques professionnelles ou les modes de prise en charge des malades, et le cas échéant de son prix ».

La décision n° 2013.0111/DC/SEESP du 18 septembre 2013 du Collège de la HAS précise quant à elle la notion d'« impact significatif sur les dépenses de l'Assurance maladie ». L'impact est qualifié de « significatif » :

- lorsque le chiffre d'affaires annuel du produit toutes indications confondues est supérieur ou égal à 20 millions d'euros (la 2^e année pleine de commercialisation) ;
- lorsque le produit a des incidences sur l'organisation des soins, les pratiques professionnelles ou les conditions de prise en charge des malades.

Le Collège de la HAS s'assure de l'application des termes du décret et considère que l'évaluation économique n'est pas requise lorsqu'une procédure de baisse de prix conventionnelle est amorcée ou que le brevet du produit est dans le domaine public.

Les entreprises qui revendiquent pour leur produit une ASMR ou une ASA de niveau I, II ou III, ainsi qu'un impact significatif sur les dépenses de l'Assurance maladie, doivent soumettre leur demande à la commission évaluation économique et santé publique en déposant un dossier d'efficience au service évaluation économique et santé publique de la HAS, en parallèle au dossier médico-technique soumis à la commission de la transparence (CT) ou à la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDIMTS).

La décision d'éligibilité à l'évaluation économique relève du Collège de la HAS qui constate, au vu des revendications de l'industriel, l'impact ou l'absence d'impact significatif du produit sur les dépenses de l'Assurance maladie. La commission peut également être sollicitée par le CEPS pour instruire un dossier n'entrant pas dans les critères réglementaires.

L'avis d'efficience rendu par la CEESP est principalement destiné au CEPS en vue de la négociation du prix. Il est également transmis à l'industriel qui commercialise le produit. Les avis d'efficience sont publiés sur le site Internet de la HAS.

1.3 Quelle procédure pour l'évaluation des avis d'efficience ?

Pour rendre ses avis, la CEESP s'appuie sur les travaux du service évaluation économique et santé publique ainsi que sur les comptes rendus des deux sous-commissions.

Les sous-commissions sont composées chacune d'une partie des membres de la CEESP en fonction de leur domaine d'expertise. Concernant l'activité non programmée :

- la sous-commission économie est systématiquement mobilisée dans l'expertise technique des modélisations déposées par les industriels ;
- la sous-commission sciences humaines et sociales peut également être mobilisée, à la demande d'un membre de la CEESP, dans l'expertise des dossiers lorsque le produit évalué soulève des enjeux particuliers (éthiques, sociaux, etc.).

Les procédures élaborées pour permettre à la CEESP de rendre son avis dans les délais impartis définissent le rôle de chacun aux différentes étapes de l'évaluation.

► **Recevabilité administrative des dossiers**

Le service évaluation économique et santé publique s'assure de la recevabilité administrative du dossier en vérifiant que toutes les pièces nécessaires à l'évaluation de l'efficacité sont bien présentes (exhaustivité des documents fournis notamment du rapport technique, des publications, du modèle, etc.).

Si les éléments d'appréciation communiqués par l'industriel ou le fabricant sont insuffisants, le service évaluation économique et santé publique peut leur notifier les renseignements complémentaires exigés et suspendre les délais d'instruction jusqu'à réception des informations demandées.

► **Instruction et expertise des dossiers**

Pour chaque dossier déposé, le chef du service évaluation économique et santé publique désigne une équipe composée de deux ou trois chefs de projet et d'un rapporteur économiste de la commission.

L'équipe projet assure l'expertise des études déposées. Elle rédige l'analyse critique des dossiers en vue de la présentation en sous-commission économie puis en séance de la commission. Elle prépare les avis soumis pour adoption à la commission et veille à la qualité des documents préparés, ainsi qu'au respect des procédures et des délais.

Le service évaluation économique et santé publique peut également faire appel à un expert externe dans l'objectif d'apporter des informations scientifiques (cliniques, méthodologiques, etc.) complémentaires nécessaires à l'évaluation du dossier. Les liens d'intérêts des experts ainsi sollicités sont pris en compte. Ils ne participent ni aux délibérations ni au vote de la commission.

► **Échanges techniques avec l'industriel et examen des dossiers en sous-commission économie**

Au cours de l'analyse de la qualité méthodologique de l'évaluation par l'équipe projet du service évaluation économique et santé publique, des questions techniques peuvent être, le cas échéant, adressées à l'industriel. L'entreprise dispose alors d'un délai de 15 jours pour apporter des réponses écrites et de 8 jours pour solliciter une présentation orale de ses réponses au cours d'un rendez-vous technique en sous-commission économie.

L'échange technique est l'occasion pour les industriels de justifier les choix méthodologiques qu'ils ont effectués, d'apporter des clarifications sur des imprécisions constatées dans le rapport technique et de présenter, le cas échéant, les réponses aux questions techniques qu'ils ont par ailleurs développées et fournies dans un rapport complémentaire en vue de la préparation de l'avis rendu par la CEESP.

Le dossier est programmé en sous-commission économie en vue d'une expertise technique, afin de valider l'analyse critique méthodologique et l'adéquation du projet d'avis avec cette analyse critique.

► **Examen en commission**

Suite à l'analyse critique du dossier d'évaluation et des réponses apportées par l'industriel, un projet d'avis d'efficacité est discuté et voté en séance plénière de la commission. Le cas échéant, les modifications demandées par la commission sont intégrées avant le vote de l'avis. Le dossier est programmé en séance plénière de la commission le mois suivant l'examen par la sous-commission économie.

► **Audition en phase contradictoire**

Suite à l'examen en séance plénière de la commission, le projet d'avis est envoyé à l'industriel qui, conformément aux dispositions de l'article R. 161-71-1 du CSS, dispose d'un délai de 8 jours à compter de la date de réception du projet d'avis pour faire d'éventuelles observations ou demander à être entendu par la commission au cours d'une audition.

L'industriel peut également demander par courrier que des modifications soient apportées à l'avis en le justifiant sur la base des éléments initialement versés au dossier.

Lors de l'audition qu'il a sollicitée dans le cadre de la phase contradictoire, l'industriel dispose de 15 minutes pour exposer ses arguments portant sur ses principaux points de désaccord avec l'appréciation de la commission. Ces points portent principalement sur des requalifications de réserves ou sur des reformulations.

Pour ces auditions, les industriels transmettent au préalable au service évaluation économique et santé publique toutes les observations écrites qu'ils souhaitent faire. La phase contradictoire porte sur l'avis rendu par la commission sur la base des données du dossier déposé et le cas échéant des données remises (rapport complémentaire) lors de l'échange technique par l'entreprise qui ont fait l'objet d'une analyse approfondie. L'entreprise ne peut donc pas, dans le cadre de ces auditions, présenter de nouvelles données.

À l'issue de l'audition, la commission délibère à nouveau, tenant compte, le cas échéant, des arguments et éclairages présentés par l'entreprise puis décide d'accepter ou non ses demandes. Son avis définitif est alors communiqué à l'entreprise qui dispose de 8 jours calendaires pour signaler exclusivement les éventuelles erreurs matérielles.

► **Transmission des avis au Comité économique des produits de santé (CEPS)**

Les avis de la commission deviennent définitifs :

- dès réception du courrier de l'industriel mentionnant qu'il n'émet pas de remarque sur le projet d'avis qui lui a été transmis ;
- à la fin du délai réglementaire de 8 jours si l'industriel n'a fourni aucune réponse suite à l'envoi du projet d'avis ;
- dès l'adoption de l'avis éventuellement modifié, à la suite d'observations écrites ou de l'audition de l'industriel.

Les avis définitifs de la commission sont transmis au CEPS par courrier électronique.

► Publication des avis d'efficience

Les avis de la commission sont publiés sur le site Internet de la HAS après inscription des produits sur les listes des spécialités remboursables aux assurés sociaux et agréés aux collectivités.

1.4 Quels outils sont mis à disposition de l'industriel pour la réalisation des avis d'efficience ?

► Documents de support technique

La HAS a mis à disposition des industriels, dès l'été 2013, divers documents afin de faciliter le dépôt d'un dossier en vue d'un avis d'efficience auprès de la commission évaluation économique et santé publique (CEESP) :

- bordereau de dépôt ;
- rapport de présentation type ;
- notice de dépôt ;
- étapes d'élaboration des avis d'efficience ;
- format de l'avis.

L'ensemble de ces documents est téléchargeable sur le site Internet de la HAS (www.has-sante.fr/portail/jcms/c_1627022/fr/depot-dun-dossier-en-vue-dun-avis-defficience).

Les procédures ont été élaborées dans un souci de mettre en œuvre l'expertise scientifique la plus approfondie possible, tout en respectant le délai de 90 jours entre la réception du dossier soumis par l'industriel et l'envoi de l'avis définitif au CEPS. Elles répondent également à la volonté de promouvoir une approche pragmatique de l'évaluation économique, c'est-à-dire de prendre en compte les difficultés opérationnelles que rencontrent les producteurs des modèles économiques.

► Les rencontres précoces avec l'industriel

Afin de favoriser la conformité des études économiques déposées aux recommandations de la HAS, la possibilité est offerte à l'industriel de solliciter une rencontre précoce avec le service évaluation économique et santé publique. Cette rencontre permet à l'industriel, d'une part, de présenter à la HAS les principaux choix méthodologiques vers lesquels il s'oriente pour structurer son étude économique, et d'autre part, de partager les questions méthodologiques soulevées. Ces rencontres sont optionnelles, non liantes, confidentielles et gratuites. Les réponses apportées par le service évaluation économique et santé publique n'engagent pas la commission quant aux avis qu'elle sera amenée à rendre lors de l'évaluation du dossier déposé par l'industriel.

Les rencontres font l'objet d'un compte-rendu rédigé par l'industriel demandeur, et le cas échéant corrigé par le service évaluation économique et santé publique.

► Projet européen *Shaping European Early Dialogues for health technologies* (SEED)

SEED est un projet international financé par la Commission européenne. Il s'appuie sur 14 agences d'évaluation des technologies de santé européennes fédérées au sein du consortium SEED. La HAS est leader du consortium SEED. L'objet du projet SEED est la réalisation de projets pilotes de dialogue précoce (ou *early dialogue*) entre les agences d'évaluation des technologies de santé (HTA) et les développeurs de produits de santé, médicaments et dispositifs médicaux, au cours de la phase de développement de ces produits.

Le dialogue précoce permet aux entreprises développant des produits de santé de rencontrer les agences européennes d'HTA afin de leur présenter leur plan de développement pour un produit et de leur poser des questions précises relatives à ce plan. L'objectif d'un dialogue précoce est de réduire le risque d'inadéquation des données produites pour l'évaluation d'un produit en vue du remboursement. Le processus du dialogue précoce prévoit un dépôt de dossier suivi d'une discussion y compris sur les aspects économiques en séance plénière entre l'entreprise développant le produit et les 14 agences d'évaluation européennes membres du consortium SEED.

► Guide méthodologique sur l'évaluation économique à la HAS

Dans un objectif de transparence, et compte-tenu des débats scientifiques qui parcourent ce champ disciplinaire, la HAS a publié en 2011 un document intitulé « Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS » (www.has-sante.fr/portail/jcms/r_1499251/fr/choix-methodologiques-pour-l-evaluation-economique-a-la-has) dans lequel elle explicite le cadre de référence qui est le sien. Ce document est un outil de travail permettant de clarifier les règles que l'institution se fixe à elle-même, dans le cadre des travaux qu'elle conduit, et des attentes qu'elle a vis-à-vis des modèles soumis par les industriels auprès de la commission évaluation économique et santé publique (CEESP).

Les outils d'évaluation ont vocation à être actualisés régulièrement pour prendre en compte au mieux les difficultés pratiques rencontrées par les industriels et tenir compte des contraintes de l'expertise. Sur la base de l'expérience acquise, la sous-commission économie travaille régulièrement sur les choix méthodologiques en vue de l'actualisation du guide. Un document présentant le rapport technique type qui est attendu par la commission est par ailleurs en cours d'élaboration.

2. Évaluation et avis de la commission

2.1 Quels sont les principaux déterminants de l'évaluation économique ?

L'objectif de l'évaluation économique est de mettre en regard les bénéfices de santé et les coûts générés par un produit de santé, comparativement à l'ensemble de ses alternatives cliniquement pertinentes. Cet objectif se traduit par l'estimation d'un ratio différentiel coût-résultat (RDCR) qui permet d'identifier quels sont les produits les plus efficaces, c'est-à-dire ceux qui permettent de maximiser les gains en santé pour une quantité de ressources donnée.

Le calcul du RDCR dépend de plusieurs facteurs dont la documentation permet d'apprécier le degré d'incertitude attaché aux résultats et donc le degré de confiance accordés à l'étude médico-économique soumise. Les principaux déterminants de l'évaluation sont :

- les choix structurants de l'étude ;
- la qualité des données intégrées ;
- l'analyse de l'incertitude.

► Les choix structurants de l'étude soumise

Les choix structurants de l'étude comprennent :

- le type d'étude soumise et le critère de résultat retenu, qui permet de définir les effets du traitement pris en compte (sur la durée et les préférences associées à l'état de santé) ;
- la perspective adoptée, qui permet de savoir selon quel point de vue l'étude est réalisée ;
- l'horizon temporel, qui permet de définir la durée pendant laquelle les effets des interventions évaluées sont mesurés ;
- l'actualisation, qui permet de tenir compte de la valeur relative des gains en santé et des coûts immédiats et différés dans le temps ;
- la population étudiée, qui permet de définir les individus concernés par les interventions évaluées ;
- les interventions de santé considérées, qui permettent de comparer l'ensemble des interventions envisageables pour faire face au problème de santé considéré (par exemple, différents médicaments ou chirurgie, etc.).

Les choix structurants doivent être dûment justifiés par rapport au contexte clinique de l'évaluation. La conformité des choix au guide méthodologique est appréciée au regard de la pathologie, de ses conséquences et des alternatives préventives, curatives ou non proposées en pratique courante. Les justifications apportées peuvent s'appuyer sur la littérature scientifique disponible, incluant les recommandations de bonne pratique applicables, des données observationnelles, ou des descriptifs encyclopédiques, ainsi que des avis d'experts formalisés.

► La modélisation et l'intégration des données

Un modèle est une représentation simplifiée de la réalité. La cohérence de la structure du modèle, de l'approche choisie, des états de santé, des événements intercurrents pris en compte avec l'histoire de la maladie et les effets attendus des interventions comparées doit être appréciée.

Le degré de confiance sur les résultats du modèle dépend de la robustesse des données intégrées et de leurs extrapolations sur l'horizon temporel. Les données sources, les méthodes choisies pour intégrer et extrapoler les données et les hypothèses sous-jacentes qui y sont associées sont trois facteurs déterminants de l'évaluation.

Les données intégrées comprennent les données d'efficacité de l'intervention étudiée et des alternatives comparées, les coûts et les résultats de santé associés à chacune des interventions considérées.

Tous les rapports techniques soumis doivent inclure une revue systématique des études cliniques et économiques concernant l'intervention étudiée en respectant les critères de qualité sur la recherche, la sélection et l'analyse critique des études. En matière de résultat comme de coût, les études économiques mobilisent différentes sources de données en tenant compte de leur pertinence et de leur capacité à limiter les biais et à rendre compte de la réalité des pratiques. L'explicitation de leurs limites permet de documenter l'impact des données utilisées sur les conclusions de l'étude. Les sources de variabilité et d'incertitude sur les résultats et les coûts sont identifiées, et traitées avec les méthodes adaptées.

L'ensemble des données soumises par l'industriel sont analysées de manière à déterminer la fiabilité et la transposabilité des résultats soumis dans le système de soins français.

► L'analyse de l'incertitude

L'exploration de l'incertitude fait partie de toute étude économique. Les sources d'incertitude sont diverses. Elle peut par exemple provenir des choix structurants, des hypothèses sur la modélisation, du choix des sources des paramètres testés ou de leur variabilité. Deux types d'analyse de sensibilité doivent être mis en œuvre pour apprécier l'incertitude : les analyses de sensibilité déterministes et probabilistes.

La réalisation d'une analyse de sensibilité déterministe permet d'estimer la variation du RDCR lorsqu'un paramètre varie ou un choix est modifié. Les analyses de sensibilité probabiliste simulent la stabilité du RDCR de l'analyse de référence lorsque les paramètres varient simultanément selon des distributions statistiques.

Une attention particulière est portée à la variabilité des résultats du RDCR en fonction du niveau de prix considéré pour le produit évalué.

2.2 Quelle forme prend l'avis rendu par la commission ?

La commission rend un avis sur la conformité méthodologique de l'étude soumise et précise dans sa conclusion quels sont les principaux éléments à prendre en considération dans l'appréciation de l'efficacité du produit évalué.

► Conformité méthodologique

Un avis sur la conformité méthodologique de l'étude soumise est d'abord formulé afin de valider ou non la méthode proposée pour la démonstration de l'efficacité et d'identifier le niveau d'incertitude attaché aux résultats présentés par l'industriel ou le fabricant. La commission considère 5 cas de figure :

- *la méthode est conforme sans réserve ;*
- *la méthode est acceptable avec des réserves mineures ; l'incertitude sur les résultats est faible ;*
- *la méthode est acceptable malgré des réserves importantes ; l'incertitude sur les résultats est forte ;*
- *la méthode est non conforme, en raison de réserves majeures ; l'étude est invalide ;*
- *la méthode de l'étude est considérée comme non suffisamment documentée ; la conformité de l'étude ne peut pas être caractérisée.*

► Conclusion de la CEESP

La conclusion de la commission se fonde notamment sur la conformité méthodologique (évaluée au regard des déterminants précédemment cités). En cas de non-conformité méthodologique, la CEESP statue sur le caractère non conforme de l'étude en raison de réserves majeures et considère que les résultats de l'étude soumise ne sont pas exploitables. Ainsi, aucun résultat quantitatif n'est repris dans sa conclusion et il est précisé que l'efficacité n'est pas démontrée. Dans certains cas, la commission considère qu'une partie de l'étude est invalide mais tient compte de certains résultats de l'étude afin d'apporter des éclairages aux décideurs (par exemple, le résultat global pour l'indication peut être rejeté lorsque la population de l'indication est très hétérogène et des résultats peuvent alors être présentés par sous-population).

Lorsque la méthode de l'étude est considérée comme acceptable, la CEESP précise :

- le ratio différentiel coût-résultat des analyses ou le bénéfice net moyen permettant d'interpréter le résultat ;
- la nature des réserves méthodologiques ;
- l'appréciation du niveau d'incertitude caractérisant les résultats et les principales sources d'incertitude ;
- les éléments permettant d'apprécier l'impact d'une variation de prix sur le RDCR.

La CEESP peut également mentionner les éléments permettant de mettre en perspective l'apport de l'étude par rapport au contexte dans lequel elle s'inscrit. Il s'agit généralement de commentaires qualitatifs précisant l'interprétation de la CEESP des résultats.

À noter : dans un souci d'aide à la décision publique et en vue de la négociation des prix, la commission peut être amenée dans sa conclusion à se prononcer sur le caractère élevé du ratio différentiel coût-résultat. Pour autant, aucune valeur de référence² n'a été définie pour considérer un RDCR comme « trop » élevé.

► Données complémentaires

Une troisième partie présente les données complémentaires attendues. Cette partie poursuit deux objectifs :

- orienter les études futures de façon à réduire l'incertitude attachée aux résultats sur des données non disponibles à ce jour (paramètres incertains ou hypothèses non validées) ou sur des questions non envisagées dans l'évaluation initiale (analyse dans une population particulière par exemple), dans la perspective du renouvellement d'inscription de la spécialité sur les listes des spécialités remboursables aux assurés sociaux ou à plus courte échéance si nécessaire ;
- orienter le recueil des données de façon à documenter l'efficacité /les coûts/la qualité de vie de l'intervention étudiée en pratique courante (populations rejointes, recueil des coûts, impact sur l'organisation des soins, des pratiques et stratégies de prises en charge, concordance des hypothèses d'extrapolation avec la pratique médicale courante à moyen terme, prise en compte de nouvelles stratégies thérapeutiques, etc.) ;
- proposer éventuellement la réalisation d'études d'impact budgétaire sur l'intervention en question.

2.3 Comment le niveau des réserves est-il déterminé ?

La commission attend que l'évaluation économique réalisée soit la plus fiable possible compte tenu de l'état des connaissances sur la pathologie et le contexte clinique ainsi que la disponibilité des données au moment de sa réalisation.

Le niveau de réserve dépend également de l'impact attendu de cette réserve sur les résultats du modèle. Les analyses de sensibilité permettent dans une certaine mesure d'apprécier l'incertitude liée à certains choix lorsque des alternatives sont testées. Le niveau de réserve sera d'autant plus important que l'impact attendu du choix auquel elle se réfère sur les résultats est important ou non documenté. Les facteurs pouvant conduire à une réserve majeure sont :

- l'absence de prise en compte d'une (des) intervention(s) alternative(s) principale(s) de l'intervention évaluée ;
- l'absence non justifiée de prise en compte de la qualité de vie dans le cas d'une pathologie où cette dimension est primordiale ;
- la structure de modèle inadaptée à la pathologie ;
- le recours à une méthode inadaptée pour intégrer des données alors que l'impact attendu concernant ces données est important ;
- l'absence d'exploration de l'incertitude sur les résultats du modèle.

Jusqu'à présent, l'échange technique a été mis en œuvre de façon systématique pour lever les principales réserves émises sur la base de l'évaluation initialement soumise lorsqu'elles portaient sur des choix modifiables à court terme.

² Ou « seuil ».

Ainsi, deux situations peuvent être distinguées. Une réserve majeure peut être justifiée :

- par un choix non modifiable à court terme (ou que l'industriel n'a pas souhaité modifier pendant l'échange technique) ;
- par l'absence de données cliniques et/ou économiques suffisantes pour permettre un éclairage en termes d'efficience.

Dans la seconde situation, la commission reconnaît que l'industriel a fait ce qui était possible, mais que l'état des connaissances reste néanmoins un obstacle à la production d'une information utile en termes d'efficience.

2.4 Quelle est la contribution des avis d'efficience à la négociation des prix ?

Les avis d'efficience sont élaborés dans un souci d'aide à la décision publique. La conclusion de la commission doit permettre au CEPS de disposer d'éléments utiles à la négociation du prix. Les avis d'efficience sont fondés sur les prix revendus par l'industriel, ce qui peut limiter l'information produite en termes d'efficience une fois le prix déterminé si celui-ci est différent.

Afin de surmonter ces limites, la commission a souhaité que les résultats soient simulés pour différents prix dans l'étude fournie par l'industriel, ce qui permet d'indiquer la variation du RDCR associée à une variation du prix revendu. L'information pourrait être améliorée, à la fois dans les dossiers fournis par l'industriel et la retranscription des résultats dans les avis, par exemple en associant systématiquement des analyses de sensibilité probabilistes à chacune des simulations effectuées ou en explicitant les prix et les RDCR associés. Une variation du prix du comparateur est également un élément fondamental d'interprétation du RDCR, en particulier lorsque plusieurs produits à même visée thérapeutique arrivent sur le marché dans un délai court ou lorsque le brevet d'un comparateur arrive à échéance.

Néanmoins, au-delà des différents prix simulés, le résultat produit, sous forme de RDCR, soulève la question de son interprétation. En France, comme indiqué plus haut, il n'y a pas de valeur de référence reconnue pour interpréter le RDCR et permettre de statuer dans l'absolu sur l'efficience des produits de santé.

La commission a souhaité participer à la réflexion à mener sur ce sujet en publiant en 2014 un état des lieux sur les valeurs de référence pour l'évaluation économique en santé (cf. partie sur les activités programmées).

Par la publication des avis, la commission espère favoriser l'acquisition des connaissances sur les enjeux économiques qui accompagnent l'inclusion d'un produit dans le périmètre des biens et services remboursables, sans lesquelles le débat public sur la quantité de ressources que la collectivité est prête à consacrer à la santé ne pourrait se développer.

Par ailleurs, elle espère favoriser l'explicitation des valeurs collectives sur lesquelles repose la hiérarchisation des priorités de santé publique, et par là même participer activement à un processus progressif de rationalisation des décisions publiques en santé.

2.5 Quel est le lien entre les différents avis de la HAS ?

Les deux avis émis par les deux commissions de la HAS pour un produit sont rendus de manière indépendante, ne portent pas sur les mêmes dimensions d'expertise et sont donc complémentaires.

2.6 Quel est le champ de la réévaluation pour les renouvellements d'inscription ?

Les médicaments et dispositifs médicaux inscrits respectivement sur la liste des médicaments et sur la liste des produits et prestations remboursables par la sécurité sociale font l'objet d'une réévaluation quinquennale conformément au Code de la santé publique, fondée sur les dossiers déposés par l'industriel.

Dans le cadre d'un renouvellement d'inscription, la commission doit être en mesure de se prononcer sur les informations non documentées dans l'évaluation initiale et signalées dans le chapitre « données manquantes » et sur l'efficience constatée de l'intervention évaluée. Dès lors que le produit rentre dans le champ du décret (ASMR obtenue et impact significatif), il doit fournir un dossier d'efficience complet lors de sa demande de réinscription.

2.7 Les demandes de données complémentaires et études post-inscription

Des demandes de données complémentaires, dans le cadre d'études post-inscriptions peuvent être formulées par la commission, puis reprises dans la convention signée entre le Comité économique des produits de santé (CEPS) et l'industriel. Les conditions de réalisation de ces études sont prévues dans les accords cadre signés par le CEPS avec les Entreprises du médicament (LEEM) et un comité de suivi CEPS/HAS vient maintenant établir une coordination dans leur suivi. La CEESP examine les études post-inscription dès lors qu'elles intègrent une dimension économique.

2.8 Caractère indépendant, transparent et impartial des avis de la commission

Comme toutes les instances de la HAS, la CEESP se doit d'assurer le caractère indépendant, transparent et impartial de ses avis.

Les membres de la commission et toute personne lui apportant son concours sont tenus de se conformer aux dispositions de la charte de déontologie et du guide de déclaration d'intérêts et de gestion des conflits d'intérêts de la HAS (www.has-sante.fr/portail/jcms/c_522970/deontologie-et-independance).

Ainsi, les chefs de projet du SEESP et les membres de la CEESP remplissent une déclaration publique d'intérêts examinée lors de leur nomination et mise à jour annuellement ou à l'initiative des signataires en cas de changement de situation. Les membres de la commission et toute personne lui apportant son concours sont tenus de se conformer aux dispositions de la charte de déontologie et du guide de déclaration d'intérêts et de gestion des conflits de la HAS en vigueur et sont astreints à un devoir de réserve. L'instruction des dossiers par le service évaluation économique et santé publique de la HAS, sans lien avec les industriels, garantit l'exposé des données disponibles sans biais de lecture.

Les chefs de projet chargés d'instruire le dossier dans le service n'ont aucun contact direct avec les industriels dont les sollicitations parviennent au SEESP par une adresse neutre administrée.

Les avis et leur synthèse, les points principaux des débats de la commission sont publiés systématiquement sur le site de la HAS, assurant la transparence de cette évaluation et de ses conclusions.

3. Bilan de l'activité 2014 sur les avis d'efficience

3.1 Demandes déposées

Cette partie concerne les demandes déposées et enregistrées entre le 1^{er} janvier et le 31 décembre 2014. Elles peuvent ne pas avoir encore fait l'objet d'une validation par la CEESP au 31 décembre 2014. Dans ce cas, l'avis ne sera présenté que dans le compte rendu d'activité de 2015.

En 2014, le service évaluation économique et santé publique a enregistré 86 demandes mais n'en a retenu que 66 entrant dans le cadre du décret (41 médicaments et 25 dispositifs médicaux). Ces demandes ont été examinées par le Collège de la HAS qui a acté l'éligibilité à une évaluation économique pour 21 dossiers (20 médicaments et 1 dispositif médical), compte tenu des revendications d'ASMR/ASA et de l'impact sur les dépenses de l'Assurance maladie.

Tableau 1. Répartition des demandes déposées en 2014

| Demandes déposées | Nombre de dossiers |
|--|--------------------|
| Nombre de dossiers déposés | 86 |
| <i>Dont éligibles</i> | 21 |
| <i>Dont inéligibles</i> | 45 |
| <i>Dont hors décret</i> | 20 |
| Nombre de décisions rendues par le Collège (éligibilité) | 66 |

Tableau 2. Dossiers éligibles en 2014

| PRODUIT - Laboratoire | Pathologie | Domaine thérapeutique |
|--|--|-------------------------|
| ZOSTAVAX (vaccin zona) - SPMSD | Vaccin prévention zona | Infectiologie |
| SOVALDI (sofosbuvir) - Gilead | Hépatite C | Infectiologie |
| OPSUMIT (macitentan) - ACTELION | Hypertension artérielle pulmonaire (HTAP) | Cardiologie |
| TIVICAY (dolutegravir) - VIIV Healthcare | VIH | Infectiologie |
| TECFIDERA (diméthyle fumarate) - BIOGEN IDEC | Sclérose en plaques | Neurologie |
| ROTATEQ (vaccin rotavirus) - SPMSD | Vaccin gastro-entérite rotavirus | Infectiologie |
| ROTARIX (vaccin rotavirus) - GSK | Vaccin gastro-entérite rotavirus | Infectiologie |
| NPLATE (romiplostim) - AMGEN | Purpura thrombopétique auto-immun | Hématologie |
| ADEMPAS (riociguat) - BAYER | Hypertension pulmonaire thromboembolique chronique | Cardiologie/Pneumologie |
| OLYSIO (siméprévir) - JANSSEN | Hépatite C | Infectiologie |
| MITRACLIP (DM) - ABBOTT | Insuffisance mitrale | Cardiologie |
| BOTOX (toxine botulinique de type A) - ALLERGAN | Hyperactivité vésicale idiopathique | Urologie |
| ENTYVIO (Vedolizumab) - TAKEDA | Recto-colite hémorragique et maladie de Crohn | Hépto-gastroentérologie |
| XOLAIR (Omalizumab) - NOVARTIS | Urticaire chronique spontanée | Dermatologie |
| ESBRIET (Pirfenidone) - INTERMUNE | Fibrose pulmonaire idiopathique | Pneumologie |

| PRODUIT - Laboratoire | Pathologie | Domaine thérapeutique |
|--|--|-----------------------|
| GAZYVARO (Obinutuzumab) - ROCHE | Leucémie lymphoïde chronique | Cancérologie |
| DAKLINZA (Daklatasvir) - BRISTOL-MYERS SQUIBB | Hépatite C | Infectiologie |
| FLUENZ TETRA (vaccin grippal) - ASTRAZENECA | Vaccin Grippe | Infectiologie |
| ZYDELIG (Idelalisib) - GILEAD | Leucémie lymphoïde chronique/Lymphome folliculaire | Hématologie |
| HARVONI (ledipasvir/sofosbuvir) - GILEAD | Hépatite C | Infectiologie |
| IMBRUVICA (Ibrutinib) - JANSSEN-CILLAG | Leucémie lymphoïde chronique | Infectiologie |

3.2 Avis rendus

Cette partie présente les avis rendus par la commission en 2014. Les données présentées peuvent correspondre à des demandes déposées avant 2014 ou dont l'instruction a débuté avant le 1^{er} janvier 2014. Les avis dont l'adoption ou la phase contradictoire était en cours au 31 décembre 2014 n'ont pas été comptabilisés dans ce bilan, bien que la commission ait procédé à l'examen du dossier. Ils figureront dans le bilan de l'année 2015.

En 2014, 15 avis d'efficacité sur des médicaments ont été validés par la commission et transmis au CEPS avec un délai d'instruction moyen de 106 jours. Trois avis ont été publiés sur le site Internet de la HAS au 31 décembre 2014. Les autres le seront après publication au Journal officiel de l'inscription sur les listes des spécialités agréées à l'usage des collectivités ou divers services publics et des spécialités remboursables aux assurés sociaux.

Tableau 3. Avis rendus en 2014

| Produit évalué ³ | Publication en 2014 |
|---|---------------------|
| DEFITELIO (defibrotide) (maladie veino-occlusive hépatique sévère) | |
| VECTIBIX (panitumumab) (cancer colorectal) | |
| LEMTRADA (alemtuzumab) (sclérose en plaques) | |
| SOVALDI (sofosbuvir) | 17/12/2014 |
| KADCYLA (trastuzumab emtansine) | 05/12/2014 |
| XOFIGO (dichlorure de radium 223) (cancer de la prostate) | |
| ZOSTAVAX (vaccin zona) | |
| OPSUMIT (macitentan) | |
| TIVICAY (dolutegravir) | 05/12/2014 |
| TECFIDERA (diméthyle fumarate) | |
| ROTATEQ (vaccin rotavirus) | |
| ROTARIX (vaccin rotavirus) | |
| ADEMPAS (riociguat) | |
| OLYSIO (siméprévir) | |
| BOTOX (toxine botulinique de type A) | |

³ Les pathologies sont mentionnées à titre indicatif pour les dossiers déposés en 2013 n'apparaissant pas sur le tableau 2.

Tableau 4. Répartition des avis rendus en 2014 selon le contexte de la demande

| Contexte de la demande | Nombre de dossiers |
|---|--------------------|
| Inscription sur la liste des produits agréés aux collectivités et divers services sociaux | 8 |
| Inscription sur la liste des produits agréés aux collectivités et divers services sociaux et sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux | 7 |

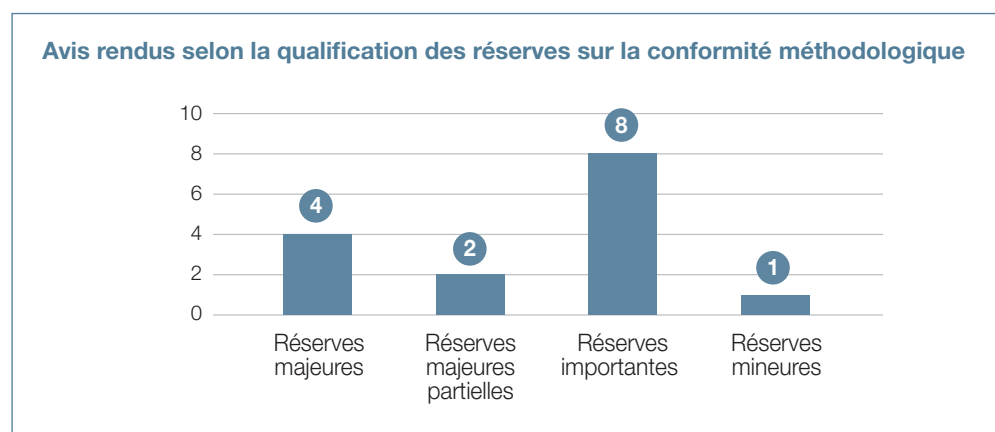
Tableau 5. Répartition des avis rendus en 2014 selon le type de demande

| Type de la demande | Nombre de dossiers |
|---|--------------------|
| Première inscription | 13 |
| Extension d'indication | 1 |
| Modification des conditions d'inscription | 1 |

Parmi les 15 dossiers déposés en 2014, 2 dossiers incluaient une analyse d'impact budgétaire en plus de l'étude d'efficacité. Les 13 autres dossiers ne comportaient qu'une étude d'efficacité.

► Conformité méthodologique

Concernant la conformité méthodologique des études médico-économiques déposées par les industriels, les avis sont classés en fonction de la réserve la plus importante émise. Quatre avis ont été rendus avec des réserves majeures invalidant l'ensemble du modèle médico-économique. Pour 2 avis, une réserve majeure a été émise sur les résultats présentés par l'industriel compte tenu des choix réalisés pour alimenter le modèle mais la CEESP a toutefois pu produire, à partir des éléments fournis dans le dossier, un résultat sur des sous-populations cohérentes avec le contexte clinique (la réserve majeure est alors qualifiée de partielle). Enfin, 8 avis ont été émis avec des réserves importantes et 1 avec des réserves mineures.



Sur les 3 avis publiés, la répartition des réserves est la suivante.

Tableau 6. Réserves et RDCR des 3 avis publiés en 2014

| Nom du produit | Niveau maximal des réserves émises sur la conformité méthodologique | RDCR présenté en analyse de référence* |
|----------------|--|--|
| KADCYLA | Réserves mineures | 191 661€/QALY |
| SOVALDI | Réserves importantes et invalidation du RDCR calculé sur toute la population de l'indication (réserve majeure partielle) | De 5 866 €/QALY à 75 518 €/QALY selon la population et le comparateur considérés |
| TIVICAY | Réserves importantes | 16 526 €/QALY |

* L'interprétation du RDCR doit tenir compte de l'incertitude associée au résultat, précisée dans le texte de l'avis.

► Fondements de l'avis de la CEESP

L'avis de la commission sur la conformité méthodologique se fonde sur une analyse critique détaillée de l'étude économique soumise. Il mentionne le cas échéant l'existence de réserves majeures et les décrit. En l'absence de réserves majeures, l'avis liste les réserves importantes et mentionne l'existence de réserves mineures, sans les détailler.

La qualification des réserves est notamment jugée au regard de l'incertitude qu'elle génère sur les résultats, de la façon dont cette incertitude est documentée et du risque que le choix méthodologique favorise le produit évalué.

Dans les paragraphes qui suivent sont présentées les réserves référencées dans l'analyse critique des dossiers évalués.

• Réserves sur les choix structurants

Sur les 15 avis validés, 12 ont fait l'objet de réserves sur les choix structurants de l'étude soumise et 1 sur l'objectif de l'étude. Dans 3 avis, il s'agissait d'au moins une réserve majeure et dans 8 avis d'au moins une réserve importante.

Les réserves majeures portaient notamment sur le choix de comparer les alternatives deux à deux et non tous comparateurs confondus, comme cela est préconisé par le guide méthodologique d'évaluation économique à la HAS et le choix des données cliniques.

Le choix des comparateurs retenus dans l'étude médico-économique est le choix structurant qui soulève le plus souvent des réserves (10 avis sur 15, dont 6 avis avec au moins une réserve importante). Les réserves importantes portaient principalement sur la non-prise en compte d'au moins un des comparateurs pertinents dans l'étude (5 dossiers) et sur le choix d'une comparaison considérant les produits comme parfaitement substituables sans tenir compte des séquences de traitement (2 dossiers).

La majorité des études médico-économiques déposées par les industriels est réalisée sur un horizon temporel vie entière (13 sur 14 avis analysés⁴). Ce choix a été remis en question dans un dossier et les analyses de sensibilité portant sur des horizons temporels différents de celui choisi en analyse de référence ont souvent été utilisées pour apprécier l'impact de ce paramètre.

Le choix de la population d'analyse a fait l'objet de réserves dans 3 études dont une réserve importante notant que l'étude ne portait que sur une partie de la population de l'indication.

• Réserves sur la modélisation

Sur les 15 avis validés, 14 ont fait l'objet de réserves sur la modélisation dont 3 avec une réserve majeure et 9 avec au moins une réserve importante. Dans 8 avis, plus de 4 réserves étaient formulées.

Les réserves majeures portaient sur les données cliniques utilisées pour estimer les probabilités du modèle.

La prise en compte de la dimension temporelle de l'évaluation a fait l'objet de réserves dans 9 avis, dont 6 avis avec des réserves importantes. Les réserves méthodologiques les plus fréquentes concernent les méthodes d'extrapolation retenues (5 avis) et la durée de vie simulée trop longue (3 avis).

Le type de modèle mis en œuvre n'a pas fait l'objet de réserves. La plupart des études reposaient sur une modélisation de multi-état de type Markov. Deux modèles de micro simulations et un modèle dynamique ont été proposés. Huit études ont fait l'objet de réserves sur la structure du modèle, le choix des états de santé, et les hypothèses dont 3 présentant au moins une réserve importante. Le choix de la structure ou des hypothèses peut être en lien avec les données cliniques disponibles.

Trois avis ont fait l'objet de réserves dont une importante sur la population simulée indiquant principalement le manque d'information sur la transposabilité entre la population simulée et la population à traiter en France.

• Réserves sur l'évaluation des résultats de santé

Sur les 15 avis validés, 13 ont fait l'objet de réserves sur l'estimation des résultats de santé en termes d'utilité. Parmi ces dossiers, une réserve majeure a été émise et au moins une réserve importante dans 5 dossiers.

Ces réserves portaient sur les sources et la méthode d'estimation de l'utilité de base des états de santé (données source, valorisation des états de santé, algorithmes de « mapping ») et sur l'estimation des désutilités appliquées à l'utilité de base.

• Réserves sur les coûts

Sur les 15 avis validés, 12 ont fait l'objet de réserves sur l'estimation des coûts dont au moins une réserve importante dans 4 dossiers. Cinq études ont fait l'objet d'au moins 4 réserves mineures. Les principales critiques portaient, d'une part, sur les choix en matière de mesure ou de valorisation des coûts pouvant être favorable au produit et, d'autre part, sur le manque de robustesse de la méthode mise en œuvre.

• Réserves sur la présentation des résultats et les analyses de sensibilité

Sur les 15 études évaluées, 12 ont fait l'objet de réserves sur la présentation des résultats et les analyses de sensibilité dont 2 avec au moins une réserve majeure et 9 avec au moins une réserve importante. Six études font l'objet d'au moins 4 réserves.

Les réserves majeures remettaient en cause la présentation d'un résultat global sur une population très hétérogène, la présentation par comparaison deux à deux des comparateurs et l'interprétation d'un résultat. Les réserves importantes soulignaient généralement l'incomplétude des analyses de sensibilité réalisées.

⁴ Cette question ne s'applique pas à 1 des 15 avis analysés en 2014.

► Conclusions de la CEESP sur l'efficience

Les conclusions de la CEESP se distinguent en fonction du niveau de réserves obtenu :

- pour 4 avis validés comportant une réserve majeure, la CEESP a conclu que l'efficience du produit n'était pas démontrée ;
- pour 2 avis validés comportant une réserve majeure invalidant les résultats proposés par l'industriel, la CEESP a été en mesure de produire un résultat à son initiative à partir du modèle et des données fournies par l'industriel ;
- lorsque les réserves ont été importantes ou mineures (9 avis) ou lorsque la réserve majeure a été partielle (2 avis), la conclusion de la CEESP a rapporté les résultats de l'évaluation médico-économique en termes de ratio différentiel coûts-résultats ou d'efficience :
 - les niveaux de RDCR présentés dans les études étaient très variables, allant de moins de 10 000 €/QALY à plus de 200 000 € ;
 - 2 produits étaient associés à plusieurs RDCR en fonction de sous-populations ou du comparateur retenu pour faire l'analyse.

La CEESP s'est attachée à fournir au décideur une interprétation des résultats de l'étude médico-économique, en particulier en précisant l'incertitude qui les entourait : sous-estimation probable du RDCR (3 dossiers), niveau de confiance faible (2 dossiers), non transposabilité des résultats à la pratique médicale courante (2 dossiers) ou encore en précisant des sous-populations pour lesquels les résultats étaient plus ou, au contraire, moins favorables en termes d'efficience.

L'analyse des conclusions de la commission sur les 15 premiers avis permet de relever trois éléments méthodologiques nécessitant une attention particulière : les limites sur les données cliniques, le choix des comparateurs et l'incohérence de l'horizon temporel avec l'histoire de la maladie.

La CEESP a également pu porter un éclairage plus large sur les études médico-économiques analysées en soulignant l'existence d'un débat public autour d'un produit ou d'une pathologie, ou en attirant l'attention sur les évolutions à court terme du marché (développement de nouveaux comparateurs en cours, échéance de brevet) ou en insistant sur l'importance de considérer également dans les évaluations les stratégies non médicamenteuses.

3.3 Contacts avec les industriels

► Échanges techniques

Des questions techniques ont été posées pour les 15 avis validés en 2014 et pour 4 dossiers, l'industriel a souhaité présenter ses réponses oralement lors de l'échange technique. Pour tous les avis, l'échange technique a permis de lever une partie des réserves et d'en requalifier certaines.

► Auditions en phase contradictoire

En 2014, pour 14 des 15 avis rendus, des observations ont été formulées par les industriels sur les projets d'avis et pour 6 d'entre eux, une audition en phase contradictoire a été sollicitée.

Les observations formulées ont été prises en considération lorsqu'elles étaient justifiées et argumentées sur la base du dossier initialement transmis et/ou de l'échange technique. La même logique a été appliquée dans le cadre des auditions. Sur les 6 auditions, trois ont abouti à la requalification d'une réserve, deux à la suppression d'au moins une réserve, et des reformulations ont été acceptées pour la grande majorité des dossiers concernés.

► Rencontres précoces

En 2014, 32 rencontres précoces ont été organisées. Environ 50 % des produits pour lesquels une rencontre précoce a été organisée, ont donné lieu au dépôt d'un dossier éligible à l'évaluation médico-économique en 2014. Dans l'idéal, la rencontre précoce doit avoir lieu en temps utile pour mettre en place les études qui serviront de base au dossier d'efficience et s'assurer ainsi du recueil des données nécessaires.

► Projet européen *Shaping European Early Dialogues for health technologies (SEED)*

En 2014, cinq « *early dialogues* » incluant des aspects économiques ont eu lieu. Ils concernaient quatre médicaments (2 en oncologie et 2 dans le domaine des maladies rares) et un dispositif médical.

► Études post-inscription

En 2014, la CEESP a examiné le volet économique de deux protocoles d'étude post-inscription de dispositifs médicaux.

3.4 Impact sur les prix des avis publiés en 2014

En raison du faible nombre de médicaments dont les avis ont été validés en 2014 et disposant d'un prix publié, aucun lien significatif ne peut être fait à ce jour entre le prix remboursable et le RDCR estimé par l'industriel ou les réserves émises par la CEESP.

À titre indicatif, sur les 15 avis validés, seuls 3 ont fait l'objet d'une publication de prix à l'issue des négociations entre le CEPS et les industriels en 2014. Il s'agit de trois médicaments inscrits sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités et divers services publics dont un est également inscrit sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux.

Les trois produits ont obtenu le niveau d'ASMR revendiqué par l'industriel soit un niveau de I à III (à l'exception d'une sous-population spécifique pour un produit) ouvrant la possibilité d'une procédure de dépôt de prix, garantissant, sous conditions, un prix non inférieur aux prix obtenus dans 4 pays européens de référence. L'avis de la CEESP comportait des réserves importantes dans deux dossiers, le dernier comportait uniquement des réserves mineures.

Deux de ces produits ont obtenu un prix facial inférieur de 4 % au prix revendiqué ; leurs RDCR établis sur la base du prix revendiqué étaient très variables, allant d'environ 16 000 €/QALY à plus de 190 000 €/QALY.

Un produit a obtenu un prix inférieur de 26 % au prix revendiqué pour un RDCR établi sur la base du prix revendiqué très variable en fonction des sous-populations évaluées allant de 5 866 €/QALY à 75 518 €/QALY).

3.5 Complémentarité des avis de la HAS

Dans les avis rendus par les deux commissions réglementaires en 2014 (11 dossiers analysés), au moins une limite portant sur les données cliniques a été signalée à la fois dans l'avis de la CEESP et dans l'avis de la CT dans 8 dossiers. Les limites signalées par la CEESP portent seulement sur les données cliniques intégrées dans la modélisation économique. Une cohérence entre le niveau de réserves motivant les avis de la CEESP et le niveau de SMR et/ou d'ASMR octroyés par la CT a été retrouvée. En particulier, sur les 4 avis rendus par la CEESP avec des réserves majeures invalidant l'ensemble du modèle médico-économique, 3 dossiers comportaient une réserve majeure relative aux données cliniques. Pour 2 de ces dossiers, la CT a octroyé des niveaux de SMR et d'ASMR inférieurs à ceux revendiqués par l'industriel fondés sur les mêmes arguments que la CEESP à savoir un niveau de preuve insuffisant des données cliniques présentées ou une absence de données pertinentes *versus* un comparateur actif. Pour le troisième dossier, la CT a octroyé un niveau de SMR et d'ASMR inférieurs à ceux revendiqués par l'industriel fondés sur des arguments différents de ceux de la CEESP, les données cliniques mobilisées dans l'évaluation économique étant différentes de celles retenues dans le dossier soumis à la CT.

Par ailleurs, la CT n'a pas octroyé un SMR suffisant à un dossier sur des arguments qui n'ont pas conduit la SEESP à émettre une réserve majeure. Ces arguments portaient sur la tolérance du produit (risque d'événements indésirables graves).

Autres activités

1. Activité programmée : évaluations et recommandations

1.1 Description et méthode

La HAS est chargée, d'évaluer la qualité, l'efficacité et l'efficience des actions ou programmes de prévention, notamment d'éducation pour la santé, de diagnostic ou de soins et d'évaluer périodiquement des programmes de dépistage. La commission évaluation économique et santé publique participe à cette mission en réalisant des évaluations économiques et des recommandations en santé publique.

Depuis 2008, la HAS réalise des évaluations économiques des stratégies de soins, de prescriptions ou de prise en charge pour aider les pouvoirs publics à optimiser l'utilisation des ressources allouées à la santé. L'objectif de l'évaluation économique est de hiérarchiser les différentes options envisageables en fonction de leur capacité à engendrer les meilleurs résultats possibles à partir des ressources à mobiliser, en vue d'une allocation optimale des ressources. On parle à ce propos de recherche de l'efficience.

La commission est également amenée à élaborer, dans le cadre de son programme de travail, des recommandations en santé publique. L'évaluation des actions de santé publique repose sur une approche de type populationnel appréciant le rapport bénéfices/risques mais aussi coût-efficacité des différentes interventions possibles à l'échelle de la population. L'évaluation des interventions en santé publique consiste à réunir les arguments permettant de juger de l'opportunité de mettre en place ces actions ou de modifier des programmes existants et d'en préciser les modalités afin d'émettre une recommandation dite « de santé publique ». Dans ce cadre, elle intervient le plus souvent en amont de la mise en place d'interventions en santé publique de niveau de complexité varié (actions, programmes ou politiques).

La méthode de travail repose, d'une part, sur l'analyse et la synthèse critiques de la littérature scientifique disponible, et, d'autre part, sur l'avis d'un groupe pluridisciplinaire de professionnels et de représentants d'usagers ou de patients concernés par le thème des recommandations. Dans certains cas, elle peut faire appel à l'analyse de bases de données et à la réalisation d'un modèle économique.

Les thèmes de travail proviennent de saisines dont l'origine principale est le ministère de la Santé (Direction générale de la santé, Direction générale de l'offre de soins) et de l'Assurance maladie. Les sujets peuvent également être proposés par des sociétés savantes, l'Institut national du cancer, l'Union nationale des caisses d'assurance maladie, l'Union nationale des professionnels de santé, des organisations représentatives des professionnels ou des établissements de santé, des associations agréées d'usagers.

Les thèmes de travail retenus sont choisis une fois par an par le Collège de la HAS et alimentent son programme de travail.

Pour chaque thème retenu, la méthode de travail comprend les étapes suivantes :

- un cadrage du sujet est réalisé par le service évaluation économique et santé publique afin d'évaluer l'intérêt de la question posée et la disponibilité de la littérature scientifique, de définir le périmètre de l'étude, les questions d'évaluation, la méthode d'évaluation et le calendrier envisagé. L'évaluation des interventions en santé publique inclut systématiquement au moment du cadrage un questionnement des dimensions médicale, économique, organisationnelle, sociologique, éthique le plus précis possible. L'ensemble des orientations proposées par le service sont ensuite discutées par la commission évaluation économique et santé publique qui peut, le cas échéant, élargir le champ de l'étude, ou définir des réorientations. Sur proposition de la commission évaluation économique et santé publique, le Collège de la HAS valide la note de cadrage et autorise sa diffusion ;
- après une recherche documentaire approfondie réalisée en collaboration avec le service documentation, le service évaluation économique et santé publique sélectionne, analyse et synthétise la littérature médicale, économique et autres dimensions pertinentes en vue de proposer un argumentaire scientifique servant de base à l'élaboration des recommandations. Des données originales peuvent, le cas échéant, être produites en complément de l'analyse de la littérature (modèles économiques, méta-analyses, analyse des bases de données, etc.) ;

- un groupe de travail pluridisciplinaire peut être constitué par le service évaluation économique et santé publique après prise en compte de leurs déclarations publiques d'intérêts. Son rôle consiste à apprécier la qualité de l'argumentaire scientifique et à apporter les compléments d'information utiles compte tenu des pratiques françaises. Les recommandations en santé publique sont ensuite rédigées, sur la base des éléments de l'argumentaire et des conclusions des discussions du groupe ;
- un groupe de lecture est ensuite consulté sur le fond et la forme de l'argumentaire scientifique ainsi que sur les recommandations rédigées avec l'aide du groupe de travail ;
- des parties prenantes peuvent être auditionnées pour recueillir leur avis sur les problématiques soulevées par le sujet et leur expérience de terrain ;
- la version finale de l'argumentaire et des recommandations et leur processus d'élaboration sont ensuite discutés par la commission évaluation économique et santé publique. À sa demande, et en particulier en cas de changement important des recommandations proposées, l'argumentaire et les recommandations peuvent être revus. La commission rend son avis au Collège de la HAS ;
- sur proposition de la commission évaluation économique et santé publique, le Collège de la HAS valide le rapport final et autorise sa diffusion. L'intégralité de l'argumentaire, les recommandations et leur synthèse sont mises en ligne sur le site de la HAS (www.has-sante.fr/portail/jcms/1250012/fr/sante-publique-et-organisation-des-offres-de-soin). Par ailleurs, la commission peut être amenée à examiner un volet économique dans une évaluation portant sur un médicament, un dispositif médical, un acte ou une technologie de santé réalisée en collaboration avec les autres commissions de la HAS concernées. L'élaboration de ce volet répond à la même méthode que les évaluations économiques en général, mais les exigences de la commission sont concentrées sur la dimension économique.

1.2 Bilan en 2014

En 2014, la Commission a émis deux rapports d'évaluations médico-économiques, quatre recommandations de santé publique ainsi que trois notes de cadrage. Chacun de ces travaux est brièvement décrit ci-après.

► Rapports d'évaluation médico-économique (2)

Les rapports d'évaluations médico-économiques publiés en 2014 sont les suivants.

- **Évaluation clinique et économique des dispositifs médicaux et prestations associées pour prise en charge du syndrome d'apnées hypopnées obstructives du sommeil (SAHOS). Mis en ligne le 3/12/2014.**

Cette évaluation, menée en collaboration par le service évaluation économique et santé publique et le service évaluation des dispositifs médicaux a fait l'objet d'une présentation devant la CEESP et la CNEDIMTS et d'une validation par le Collège de la HAS.

Elle s'inscrit dans un contexte de recours en forte croissance aux traitements par pression positive continue (PPC), constituant un enjeu économique et sanitaire croissant pour l'Assurance maladie.

L'évaluation clinique a eu pour objectif de recommander de nouvelles modalités de remboursement sur la liste des produits et prestations remboursables (LPPR) par l'Assurance maladie pour les dispositifs de PPC et les prestations associées et de définir la place des orthèses d'avancée mandibulaire (OAM) par rapport à la PPC dans la stratégie de prise en charge du SAHOS.

L'évaluation économique a eu pour objectif de comparer l'efficacité des stratégies de prise en charge du SAHOS (PPC, OAM et mesures hygiéno-diététiques) en fonction des indications, des populations cibles, des parcours de soins des patients et des prestations prises en charge en France. L'un des axes de réflexion était de déterminer le niveau de sévérité à partir duquel il apparaît efficace de traiter le SAHOS. Le SAHOS sévère défini par un indice d'apnées-hypopnées (IAH) supérieur à 30 n'était pas concerné par l'évaluation économique.

Les données cliniques suggèrent que, parmi les patients ayant un SAHOS avec IAH inférieur à 30, ceux ayant une comorbidité cardiovasculaire grave associée sont susceptibles de tirer un bénéfice du traitement par PPC. La modélisation économique a montré que le traitement par PPC était efficace chez ces patients par rapport à l'absence de traitement, y compris pour des disponibilités à payer très basses. En effet, traiter un patient présentant de fortes comorbidités cardiovasculaires par PPC *versus* absence de traitement coûterait 10 119 € par année de vie gagnée et 10 128 €/QALY.

Traiter un patient présentant de faibles comorbidités cardiovasculaires par OAM comparativement à l'absence de traitement revient à payer 45 579 €/QALY pour un SAHOS léger (IAH entre 5 et 15) et 32 976 € pour un SAHOS modéré (IAH entre 15 et 30). Un seuil minimal pour l'IAH à 15 événements par heure a été proposé pour la mise sous traitement.

- **Évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale en France. Mis en ligne le 19/11/2014.**

À la demande de la Caisse nationale d'Assurance maladie des travailleurs salariés et de la DGOS, la HAS et l'Agence de la biomédecine ont conduit une évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge des patients atteints d'insuffisance rénale chronique terminale. Cette évaluation a permis de mettre en évidence l'impact médico-économique de différentes stratégies alternatives à la prise en charge observée, et de discuter de points méthodologiques concernant l'évaluation économique.

En conditions réelles, la prise en charge d'un patient en IRCT étant très fréquemment décomposée par les recours successifs à différents traitements, cette étude a montré l'intérêt de ne pas comparer les traitements deux à deux, mais de comparer des stratégies détaillant les différentes modalités d'organisation de la prise en charge au-delà des trois techniques de traitement (hémodialyse, dialyse péritonéale et transplantation).

Les résultats de l'étude sur les coûts de prise en charge, fondée sur les données du système d'information de l'Assurance maladie, ont confirmé également la nécessité de tenir compte des modalités de traitement (selon le lieu de prise en charge et l'environnement

médical et paramédical et non uniquement selon la technique de traitement), mais aussi des facteurs de variation du coût liés aux caractéristiques cliniques des patients et à leur position dans la trajectoire de soins (démarrage du traitement, changement de modalités de traitement, transplantation et décès). À titre d'exemple, le coût moyen de prise en charge d'un patient en IRCT sur les 15 premières années après le démarrage d'un traitement de suppléance variait de 2 736 € par mois pour les jeunes de 18 à 45 ans non diabétiques à 7 045 € par mois pour les personnes âgées de plus de 70 ans diabétiques (coûts actualisés).

L'évaluation médico-économique a été conduite à partir d'une modélisation simulant des modifications dans la trajectoire de soins des patients, ce qui a permis d'évaluer les conséquences de ces changements d'un point de vue clinique et économique. Dix modalités de traitement de l'IRCT ont été prises en considération. Partant de la place importante de l'hémodialyse en centre dans les trajectoires des patients relevées dans les données du registre REIN⁵, et considérant qu'une partie des patients pouvaient être pris en charge différemment sans perte de chance, l'évaluation a voulu déterminer l'impact médico-économique de stratégies alternatives définies selon 4 axes : développement de la transplantation rénale, développement de la dialyse hors centre, préférence des patients pour des traitements qui favorisent leur autonomie et prise en charge à proximité du domicile des patients.

L'évaluation a montré que pour tous les groupes d'âge, les stratégies fondées sur le développement de la transplantation rénale sont efficaces par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées. Ce résultat confirme, à partir de données françaises, les conclusions des études publiées dans d'autres pays.

Le nombre insuffisant de greffons a justifié d'évaluer l'impact médico-économique de stratégies de dialyse avec des choix différents des pratiques observées. Par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées, certaines sont efficaces dans tous les groupes d'âge de patients de plus de 45 ans : c'est le cas par exemple des stratégies « ambitieuses » fondées sur le développement conjoint de la dialyse péritonéale au démarrage et de l'hémodialyse hors centre dans les trajectoires des patients qui permettent de diminuer les coûts de prise en charge d'environ 300 à 400 € par mois et par patient. Ces changements importants de pratiques posent cependant la question de la disponibilité et de la formation du personnel soignant à ces différentes techniques et aussi de l'impact organisationnel de ces changements sur les offreurs de soins et de l'accès des patients à une offre de soins diversifiée.

Par ailleurs, par rapport à la stratégie fondée sur les pratiques observées, en montrant qu'il existe, selon les groupes de patients, plusieurs stratégies alternatives qui sont moins coûteuses pour une efficacité équivalente, les résultats de cette évaluation ont pour objectif d'aider les autorités de tutelle, en particulier la DGOS et les ARS, dans la définition des orientations de l'offre de soins.

► Recommandations en santé publique (4)

En 2014, la HAS a émis 4 recommandations de santé publique.

• Dépistage systématique de la thrombophilie avant une primo-prescription de contraception hormonale combinée. Mis en ligne le 25/09/2014.

La contraception hormonale combinée (CHC) augmente de 2 à 6 fois le risque de maladie thromboembolique veineuse (MTEV). Cependant, la MTEV étant un événement rare chez les personnes jeunes, l'incidence de la MTEV chez les utilisatrices de CHC reste faible, de l'ordre de 5 à 12 pour 10 000 femmes par an, selon le type de CHC utilisé. Ce risque est encore augmenté chez les femmes qui ont une thrombophilie. Peu d'études, de faible niveau de preuve, ont cependant évalué le risque de MTEV associé à la thrombophilie chez les utilisatrices de CHC. Le risque de MTEV associé à la thrombophilie parmi les utilisatrices de CHC varie fortement selon le type de thrombophilie. La plupart des femmes qui développent une MTEV n'ont cependant pas de thrombophilie identifiable.

Il n'existe aucune étude empirique comparative (ni essai contrôlé randomisé, ni étude observationnelle) portant sur l'efficacité du dépistage systématique de la thrombophilie avant prescription de CHC. Aucune étude comparative n'a évalué les effets indésirables et les études disponibles, chez des femmes dépistées, ne permettent pas de tirer des conclusions sur l'impact psycho-social d'un tel dépistage.

Les études de modélisation économique disponibles suggèrent que le rapport coût-efficacité du dépistage systématique de la thrombophilie avant prescription de CHC est très élevé. Compte tenu de la faible incidence de la MTEV chez les femmes jeunes et de la prévalence de la thrombophilie, un dépistage systématique de la thrombophilie avant primo-prescription de CHC ne permettrait d'éviter qu'un faible nombre de MTEV, pour un coût très élevé.

Recommandations : La HAS ne recommande pas de dépister systématiquement la thrombophilie avant une prescription de contraception hormonale combinée (CHC).

Pour réduire les risques et notamment le risque thromboembolique, la HAS insiste sur l'importance de suivre les règles de prescription et d'adapter la méthode contraceptive en fonction des besoins et caractéristiques de chaque femme. Comme elle l'a rappelé dans ses fiches mémo sur la contraception, la HAS souligne qu'il convient notamment de :

- prendre en compte l'histoire personnelle et familiale de la femme et ne pas prescrire de CHC en cas d'antécédents personnels ou familiaux de maladie thromboembolique veineuse survenus chez un apparenté du 1^{er} degré avant l'âge de 50-60 ans ;
- prendre en compte les facteurs de risque de maladie thromboembolique (chirurgie, fractures et traumatismes, cancer, obésité, *post-partum*, tabagisme, etc.) ;
- privilégier en première intention une pilule de 1^{re} et 2^e génération (le risque étant deux fois plus élevé pour les pilules de 3^e et 4^e génération) si une pilule est prescrite ;
- délivrer une information claire à chaque femme sur les différentes méthodes contraceptives existantes ainsi que sur les effets indésirables et les précautions d'emploi d'une CHC ;
- réévaluer à chaque consultation la pertinence d'utiliser une CHC selon l'évolution des facteurs de risque dans la vie de la femme.

⁵ REIN est le registre français des traitements de suppléance de l'IRCT tenu par l'Agence de la biomédecine.

La HAS rappelle également l'importance de fournir aux femmes une information claire sur les effets indésirables et les précautions d'emploi des CHC. Elle souligne par ailleurs le besoin d'une meilleure connaissance du risque de MTEV associé à la thrombophilie chez les utilisatrices de CHC.

• **Place des tests rapides d'orientation diagnostique (TROD) dans la stratégie de dépistage de l'hépatite C.**

Mis en ligne le 27/5/2014.

À la demande de la DGS, la HAS a émis des recommandations sur la place des tests rapides d'orientation diagnostique (TROD) dans la stratégie de dépistage de l'hépatite C.

Au vu de leurs performances actuelles satisfaisantes et des avantages présentés par les TROD (utilisation simple, rapidité du résultat, acceptabilité, absence de prélèvement veineux initial, utilisation dans un cadre délocalisé) par rapport au dépistage biologique, la HAS a positionné les TROD comme un outil de dépistage complémentaire intéressant dès lors qu'ils peuvent permettre d'améliorer l'accès au dépistage, dans un cadre médicalisé et non médicalisé, de certains individus que les structures habituelles de dépistage n'arrivent actuellement pas à rejoindre.

La HAS a toutefois précisé que le dépistage par TROD ne vise pas à concurrencer ou remplacer les dispositifs traditionnels de dépistage et qu'une confirmation systématique par une méthode biologique en cas de positivité reste nécessaire.

Deux catégories de populations susceptibles de bénéficier prioritairement des TROD VHC ont été définies :

- les personnes à risque éloignées des structures d'accès commun (notamment usagers de drogue marginaux ou personnes originaires ou ayant reçu des soins dans des pays à forte prévalence du VHC) ;
- les personnes à risque fréquentant les structures d'accès aux soins et que les avantages des TROD arriveraient plus facilement à convaincre de l'intérêt d'un dépistage immédiat (notamment usagers de drogue suivis dans des programmes de traitement substitutif des opiacés, personnes détenues, personnes vivant avec le VIH).

La HAS a également précisé dans ces recommandations les structures dans lesquelles l'utilisation des TROD VHC pouvait être envisagée, les acteurs aptes à les utiliser (y compris non médicaux) et les conditions d'encadrement et de prise en charge qui lui apparaissent nécessaires pour élargir l'accès au dépistage au plus près des individus, garantir un dépistage de qualité, orienter les personnes dépistées vers une prise en charge optimale et garantir un accès équitable sur l'ensemble du territoire.

Elle a enfin préconisé un suivi de la mise en œuvre du dépistage de l'hépatite C par TROD, afin d'être en mesure d'évaluer en France l'impact de l'utilisation de ces tests sur la réduction des contaminations secondaires et l'accès aux soins des personnes dépistées.

• **Dépistage du cancer du sein en France : identification des femmes à haut risque et modalités de dépistage (volet 2).**

Mis en ligne le 19/5/2014.

À la demande de l'INCa et dans le cadre du Plan Cancer 2009-2013, la HAS a souhaité élaborer des recommandations sur le dépistage du cancer du sein chez les femmes à haut risque.

Un premier travail (volet 1) a porté sur l'identification des facteurs de risque (FdR) du cancer du sein. La description des facteurs de risque a été réalisée au moyen d'une revue systématique de la littérature épidémiologique et un classement des FdR a été effectué avec l'aide d'un groupe de travail pluridisciplinaire réuni par la HAS en octobre 2011. Ce classement a permis de distinguer deux groupes :

- groupe 1 : FdR pour lesquels l'évaluation conduite par la HAS dans le cadre du volet 1 a montré qu'il n'était pas nécessaire d'aménager les modalités de dépistage par rapport au programme national de dépistage organisé actuellement proposé ;
- groupe 2 : FdR justifiant potentiellement, du point de vue épidémiologique, un dépistage spécifique, pour lesquels il est apparu nécessaire de poursuivre l'évaluation à la recherche de stratégies de dépistage efficaces, sûres et efficientes.

Le second travail (volet 2) a porté sur la recherche de stratégies efficaces, sûres et efficientes pour les facteurs de risque du groupe 2. En l'absence d'étude mesurant l'efficacité comparative de plusieurs stratégies de dépistage dans les différents groupes à risque sur des critères de réduction de la mortalité, les recommandations sont fondées essentiellement sur l'avis des experts, réunis au sein d'un groupe de travail pluridisciplinaire dont l'accord a été formalisé selon les méthodes en vigueur à la HAS. Des stratégies de dépistage spécifiques ont été proposées pour les quatre situations suivantes :

- antécédent personnel de cancer du sein et de carcinome canalaire *in situ* ;
- antécédent d'irradiation thoracique médicale à haute dose (antécédent de maladie de Hodgkin) ;
- antécédent personnel d'hyperplasie canalaire ou lobulaire atypique et de carcinome lobulaire *in situ* ;
- antécédent familial de cancer du sein avec score d'indication à la consultation d'oncogénétique (score d'Eisinger) ≥ 3 et pas d'identification d'une mutation BRCA1 ou 2 dans la famille (ou recherche non réalisée).

En dehors de ces situations, il est rappelé qu'il n'y a pas lieu de réaliser une mammographie ou une échographie mammaire de dépistage en dehors de la tranche d'âge de participation au programme national de dépistage organisé, c'est-à-dire entre 50 et 74 ans.

• **Dépistage néonatal de la drépanocytose en France : pertinence d'une généralisation du dépistage à l'ensemble des nouveau-nés. Mis en ligne le 11/3/2014.**

À la demande de la DGS, un rapport d'orientation sur la question de la pertinence de l'extension du dépistage néonatal de la drépanocytose en France métropolitaine a été réalisé.

La drépanocytose est une maladie de l'hémoglobine grave, rare et peu connue en France. Après avoir recherché et examiné la littérature sur le sujet et auditionné des experts de la maladie et des représentants d'associations de patients, la HAS conclut qu'il n'y a pas d'éléments permettant de justifier la pertinence d'une stratégie de dépistage néonatal systématique de la drépanocytose en France métropolitaine.

Concernant l'information des parents sur l'hétérozygotie de leurs nouveau-nés, la HAS rappelle des conditions générales de délivrance, avec la nécessité d'un consensus entre les professionnels de santé sur le contenu de l'information aux hétérozygotes et d'un temps d'échange et d'interactions entre parents et professionnels de santé formés.

Le rapport d'orientation propose un point de situation sur le dépistage néonatal de la drépanocytose en France et dans certains pays industrialisés (Europe, Amérique du Nord).

► Notes de cadrage (3)

En 2014, la Commission a émis 3 notes de cadrage.

• **Place de la stratégie couplant les dosages de la trypsine immunoréactive (TIR) et de la protéine associée à la pancréatite (PAP) dans le dépistage systématique de la mucoviscidose en France. Mis en ligne le 15/5/2014.**

En 2009, la HAS a fait un état des lieux du programme de dépistage de la mucoviscidose 5 années après sa mise en place. Dans ce rapport, la HAS avait pointé l'intérêt d'un dosage « tout biologique » comparé à la stratégie actuelle qui associe un dosage biologique et un test génétique. Compte tenu de l'intérêt potentiel d'une telle stratégie, une étude a été financée par la CNAMTS pour étudier ses performances par rapport à la stratégie actuelle. Un volet économique a été associé à l'étude clinique.

L'objectif de l'évaluation demandée à la HAS par la DGS et l'AFDPHE est d'apprécier la pertinence de l'introduction du dosage de la PAP dans le dépistage néonatal systématique de la mucoviscidose en se fondant sur une évaluation économique et en tenant compte des enjeux éthiques. La note de cadrage précise la méthode envisagée. Lors de la validation de la note de cadrage, la commission a notamment indiqué que les enjeux éthiques du dépistage devaient être documentés conformément au guide méthodologique sur l'évaluation des aspects éthiques à la HAS, publié en 2013.

• **Cancer du poumon : évaluation de la pertinence d'un dépistage des populations fortement exposées au tabac en France – point de situation, analyse critique des études contrôlées randomisées. Mis en ligne le 19/12/2014.**

La HAS a été sollicitée par des professionnels⁶ directement intéressés à la question du dépistage du cancer du poumon mais qui souhaitent un avis indépendant à partir d'une analyse rigoureuse du corpus d'études disponibles. Le sujet est également mentionné dans le Plan Cancer 2014-2019.

Au vu de l'hétérogénéité des positions exprimées dans la littérature et des nombreuses questions qui se posent sur l'efficacité, les inconvénients et les risques associés à ce dépistage, le rapport vise à réaliser un point de situation sur la pertinence d'un dépistage du CBP par scanographie thoracique « à faible dose non injecté » en France à partir d'une analyse critique des études contrôlées randomisées, documentant :

- a) l'efficacité, les inconvénients et les risques associés à un dépistage du cancer du poumon par scanographie thoracique non injecté à faible dose ;
- b) l'impact du dépistage du CBP par scanographie thoracique à faible dose sur les comportements tabagiques ;
- c) les enseignements qui peuvent en être tirés pour le contexte français.

• **Autotests VIH : informations à l'intention des professionnels de santé et des associations. Mis en ligne le 20/10/2014.**

En raison de la commercialisation prochaine des autotests de dépistage de l'infection par le VIH (ADVIH) sur le marché français, il est apparu nécessaire à la DGS de disposer d'un document d'information destiné aux professionnels de santé et aux associations afin de leur permettre de répondre aux interrogations des utilisateurs potentiels d'ADVIH et de les accompagner dans leur démarche de dépistage.

Cette note de cadrage présente la saisine, le contexte, le plan prévisionnel de réalisation de ce projet et la composition du groupe de lecture associé à la rédaction du document. L'objectif n'est pas d'évaluer la place des ADVIH dans la stratégie de dépistage du VIH, ni de valider l'intérêt de leur commercialisation mais de mettre à disposition une liste de questions et réponses pratiques afin d'encadrer leur utilisation.

► Autres travaux

Le service évaluation économique et de santé publique a également contribué aux travaux menés conjointement avec d'autres services.

• **Analyse des enjeux éthiques dans le cadre de l'« Évaluation des risques liés aux pratiques de mésothérapie à visée esthétique », menée conjointement avec le service évaluation des actes professionnels. Mis en ligne le 22/07/2014.**

Le travail a consisté, dans le cadre d'une phase préparatoire, à repérer au travers des débats soulevés par les actes de mésothérapie à visée esthétique l'existence d'enjeux éthiques.

Une recherche documentaire sur Medline a été effectuée, cette recherche s'étendait au-delà du seul périmètre des actes de mésothérapie afin d'identifier les controverses que soulève plus généralement la médecine esthétique.

Des bases de données plus spécifiques pour identifier la littérature éthique : Cairn, FRANCIS, Philosopher's, ETHXWeb, JSTOR, Eurothics ou Endebit ont également été consultées. Dans un deuxième temps, les arguments éthiques identifiés ont été classés à partir du cadre de référence fondé sur les quatre principes de Beauchamp et Childress (1979) : bienfaisance, non malfaisance, autonomie et justice.

⁶ L'Intergroupe francophone de cancérologie thoracique, la Société de pneumologie de langue française, le groupe d'oncologie de la Société française de pneumologie de langue française, la Société française de radiologie, la Société d'imagerie thoracique ont sollicité la HAS pour une évaluation du dépistage du cancer broncho-pulmonaire par scanner thoracique non injecté faiblement dosé.

La mise en perspective des arguments mettant en jeu les principes de bienfaisance, de non malfaisance, d'autonomie et de justice, au moyen de la grille d'analyse, a permis d'identifier trois principaux désaccords.

La méthode s'appuie sur le guide de la HAS « L'évaluation des aspects éthiques » (2013).

1.3 Guides méthodologiques

► Valeurs de référence pour l'évaluation économique en santé (validation Collège décembre 2014). Mis en ligne le 18/12/2014

Dans le contexte de développement de l'activité de production des avis d'efficience, l'objectif de ce travail était de proposer une revue de la littérature sur les questions opérationnelles soulevées par l'interprétation des résultats d'une analyse coût-résultat dans les décisions de prix et de remboursement des produits de santé. Plus précisément, il s'agissait de :

- décrire les méthodes proposées pour estimer une valeur de référence, recenser les valeurs identifiées dans la littérature et apprécier la faisabilité de la mise en pratique de ces méthodes en France ;
- identifier les points de débat soulevés dans la littérature par l'utilisation d'une valeur de référence dans les décisions de remboursement et de fixation des prix des produits de santé ;
- décrire les processus de décision à l'étranger qui intègrent le critère d'efficience, avec ou sans valeur de référence ;
- décrire les principaux critères associés au critère d'efficience dans les processus de priorisation.

Par cette revue de la littérature, la HAS souhaite porter dans le débat public la question de l'utilisation des analyses d'efficience dans les processus de fixation du prix et de remboursement des produits de santé.

► Collaboration à l'élaboration du guide méthodologique : test compagnon associé à une thérapie ciblée. Mis en ligne le 07/04/2014

Pour certaines interventions de santé, la démonstration d'efficacité et/ou de la tolérance ne concerne qu'une sous-population des patients atteints de la maladie ciblée. Cette sous-population est identifiée par un test diagnostique ou un acte qui devient un préalable nécessaire à la mise en œuvre d'une autre intervention de santé. L'évaluation économique doit alors intégrer les données relatives au test ou à l'acte dans le même temps que celles liées à l'intervention évaluée.

Un chapitre sur la réflexion économique générale de l'évaluation économique d'un test compagnon associé à une thérapie ciblée a été intégré dans le guide méthodologique général. Il a été mentionné que la démonstration de l'utilité clinique du test diagnostique est un prérequis à l'évaluation de l'efficience conjointe d'un test compagnon et de la thérapie ciblée associée. En d'autres termes, une évaluation économique labellisée « évaluation conjointe d'un test compagnon associé à une thérapie ciblée » correspond à une évaluation médico-économique fondée sur des données d'un niveau de preuve suffisant pour démontrer l'utilité clinique.

1.4 Analyse des bases de données

De nombreuses bases de données sont disponibles pour les travaux de la HAS :

- des bases de données médico-administratives (données exhaustives de l'Assurance maladie – DCIR et SNIIRAM, données exhaustives d'hospitalisation de tous les établissements de santé – PMSI) ;
- des bases de données commerciales (GERS, EPPM, Panel Xpr-So) ;
- des données d'enquête en population générale ou sur des populations spécifiques (Baromètres Santé et Cancer de l'INPES).

Les bases de données sont utilisées dans le cadre des évaluations médico-économiques et des recommandations en santé publique afin de fournir des éléments de contexte sur le sujet traité, d'observer et d'analyser des pratiques professionnelles, des parcours de soins ou des prises en charge, ainsi que d'évaluer le coût d'une prise en charge.

À ce titre, une analyse a été réalisée en 2014, à partir des données exhaustives de l'Assurance maladie, dans le cadre de l'évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale en France. Cette analyse consistait à évaluer le coût de la prise en charge d'un patient en IRCT en fonction des différentes modalités de traitement et des facteurs de variation. Cette analyse a permis de conclure sur la nécessité de développer un entrepôt de données (Datamart) regroupant des données médico-économiques relatives à la prise en charge de l'IRCT alimenté régulièrement par le SNIIRAM.

Ces analyses sont également fournies dans le cadre de recommandations réalisées par d'autres services de la HAS, notamment les recommandations de bonnes pratiques professionnelles.

Plus généralement, les bases de données peuvent également être utilisées pour vérifier la robustesse et la fiabilité des données fournies par les industriels dans les avis d'efficience, les avis émis par la commission de la transparence ou la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé.

Perspectives

Afin de tenir compte des évolutions scientifiques et de l'expérience acquise avec les premiers avis d'efficience, une actualisation du guide méthodologique pour l'évaluation économique est programmée en 2015.

Elle reposera sur un travail conjoint entre le service évaluation économique et santé publique et la sous-commission économie. L'ensemble des documents produits à cette occasion sera présenté pour validation à la CEESP.

Cette actualisation pourrait notamment incorporer un chapitre spécifique sur les méthodes d'analyse d'impact budgétaire, en vue d'une potentielle extension de l'avis d'efficience, en complément de l'analyse coût-résultat, à l'analyse de l'impact budgétaire. Dans le cas des médicaments innovants et très chers, cette information est utile, notamment s'ils sont susceptibles d'avoir un impact budgétaire conséquent pour l'Assurance maladie (par exemple, la mise sur le marché des nouveaux traitements de l'hépatite C).

Les avis d'efficience pourront également bénéficier de l'apport d'un deuxième rapporteur en CEESP, non spécialisé en évaluation économique. L'objectif est notamment d'améliorer la lisibilité des avis, et par suite leur appropriation tant par le décideur public que par l'ensemble des personnes intéressées par l'évaluation des produits de santé.

S'agissant d'une mission nouvelle, il avait été convenu que les avis d'efficience ne soient pas publiés avant l'issue de la négociation de prix entre l'industriel et le CEPS. Pour autant, les obligations de publicité des travaux et de transparence qui s'imposent à une autorité indépendante justifient de s'interroger sur la nécessité de conserver cette règle pour les années à venir.

Pour ce qui concerne les activités issues du programme de travail, la CEESP poursuivra son implication dans les évaluations de santé publique et mettra en œuvre, autant que de besoin, l'évaluation de toutes les dimensions importantes, aussi bien médicales, qu'économiques ou éthiques. La multi-disciplinarité de sa composition lui donne les compétences d'une approche globale des questions de santé publique.

Enfin, l'évaluation économique pourra jouer un rôle important dans l'aide à la décision en matière d'organisation de l'offre de soins.

Liste des tableaux

| | |
|---|-----|
| Tableau 1. Répartition des demandes déposées en 2014..... | 130 |
| Tableau 2. Dossiers éligibles en 2014 | 130 |
| Tableau 3. Avis rendus en 2014..... | 131 |
| Tableau 4. Répartition des avis rendus en 2014 selon le contexte de la demande..... | 132 |
| Tableau 5. Répartition des avis rendus en 2014 selon le type de demande..... | 132 |
| Tableau 6. Réserves et RDCR des 3 avis publiés en 2014 | 132 |



Photos

S. Lévy / P. Grollier / Architecte :
Cabinet A. Béchu (bâtiment HAS)
Cyril Bailleul (portraits),
Agnès Deschamps, Mourad Mokrani,
David Delaporte, Henri Granjean,
BSIP, Fotolia, Thinkstock

Conception maquette

Maquetting

Réalisation maquette

Éric Darvoy - HAS

Impression

IME by ESTIMPRIM
Autechaux



2, avenue du Stade de France - 93218 Saint-Denis La Plaine Cedex
Tél. : +33 (0) 1 55 93 70 00 - Fax : +33 (0)1 55 93 74 00