

# HAS

HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

## Rapport d'activité | 2015

---



Retrouvez la version complète  
et la synthèse du rapport  
annuel d'activité 2015  
de la HAS sur le site :

**[www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr)**

Haute Autorité de santé  
**Rapport d'activité** | 2015

---





**Pr Agnès BUZYN**  
*Présidente du Collège de  
la Haute Autorité de santé*

Saluer le travail accompli au cours de l'année 2015 dans ce propos introductif m'est d'autant plus aisé que ce résultat est celui des équipes de la HAS, obtenu sous la conduite de Jean-Luc Harousseau, mon prédécesseur. Je défendrai ce rapport sans réserve, notamment devant les commissions des affaires sociales des deux chambres mais aussi auprès de tous nos partenaires.

Nous sommes confrontés depuis quelques années à des innovations de rupture, nombreuses, qui apparaissent à un rythme soutenu. C'est une excellente nouvelle pour les patients et cela impose à la HAS d'interroger et d'adapter ses outils et méthodes.

L'année 2015 a ainsi vu s'installer pleinement les avis d'efficience initiés l'année précédente. Leur publication plus rapide à l'avenir les renforcera encore. Les innovations nous conduisent par ailleurs à améliorer l'articulation de nos différentes commissions : les avis rendus en vue de l'accès au panier de biens et services remboursables doivent être intégrés aux travaux des commissions qui définissent les stratégies de prise en charge et les parcours de santé. Après l'arrivée des nouveaux traitements contre l'hépatite C, c'est l'immunothérapie contre les cancers qui a été évaluée ainsi en 2015. La mise en place du Forfait innovation témoigne quant à elle de l'attention particulière portée aux dispositifs et actes innovants, stimulés entres autres par l'avènement de la e-santé. Promulguée début 2016, la loi de modernisation de notre système de santé adapte notre cadre juridique aux défis engendrés par l'innovation. En témoigne par exemple l'article 143 qui nous conforte dans l'importance de nous positionner sur les stratégies thérapeutiques en y intégrant la place des médicaments. Pour l'avenir, la lecture du rapport de Dominique Polton sur l'évolution des modalités d'évaluation des médicaments ouvre des pistes stimulantes.

Je relève avec intérêt que la HAS s'est positionnée en 2015 sur un certain nombre de sujets sanitaires parfois controversés, comme la greffe rénale, les troubles bipolaires ou encore les troubles de l'attention.

# Éditorial

Outre le bilan de la certification en V2010, vous découvrirez dans ce rapport l'essor en cours de la certification des établissements en V2014. Les premières visites se sont déroulées et les premières décisions ont été rendues. L'innovation du patient traceur ou encore celle du compte qualité marquent une nouvelle étape, plus médicalisée et plus exigeante. Je mesure combien la poursuite du déploiement nécessite le plein engagement de tous, établissements et équipes de la HAS. Je tiens à les en remercier.

En novembre dernier, la HAS a emménagé dans de nouveaux locaux réunissant ses services pour la première fois depuis sa création en 2005. Je me félicite de l'opportunité qui nous est ainsi offerte de renforcer la transversalité entre nos services.

Notre cadre juridique va connaître en 2016 une refonte profonde issue des ordonnances prévues dans le cadre de la loi de modernisation de notre système de santé. J'ai la plus grande confiance en la capacité des équipes de la HAS à saisir tout le potentiel de ces nouvelles opportunités. Il me reviendra d'impulser sur ces bases un nouveau projet stratégique pour la HAS, qui portera mon objectif de travailler au plus près des besoins des professionnels, au service des patients et plus largement des usagers du système de santé.

Bonne lecture

**Pr Agnès BUZYN**  
Présidente du Collège de la Haute Autorité de santé

# Sommaire

La sécurité du patient, un engagement de tous ! 8

---

Évaluation et recommandation 12

---

■ Médicaments	13
■ Dispositifs médicaux	15
■ Technologies de santé et actes	17
■ Évaluation médico-économique et de santé publique	19
■ Bonne pratique professionnelle	21
■ E-santé	22

Certification, indicateurs et information médicale 24

---

■ Certification des établissements de santé	25
■ Indicateurs de qualité et de sécurité	28
■ 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	37

## La HAS 40

---

■ Organisation	41
■ Missions	46
■ Relations internationales	47
■ Associations de patients et d'usagers	50
■ Communication et information des publics	52
■ Textes législatifs et réglementaires parus en 2015/2016	58
■ Fonctionnement	60
■ Compte financier 2015	64

## Rapports des commissions réglementaires 74

---

■ Commission de la transparence (CT)	75
■ Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS)	100
■ Commission évaluation économique et santé publique (CEESP)	125

# La sécurité du patient, un engagement de tous !

La sécurité du patient a pour objectif de limiter la survenue des événements indésirables ou d'en limiter les conséquences quand ils surviennent. Il s'agit là d'un véritable problème de santé publique puisque en établissement de santé un patient hospitalisé sur dix subirait un événement indésirable associé aux soins (EIAS) plus ou moins grave et un sur mille en meurt. C'est pourquoi, en 2013, la ministre des Affaires sociales et de la Santé, en partenariat avec la HAS, a mis en place le Programme national pour la sécurité des patients (PNSP).

Le PNSP a pour objectifs de mieux structurer et de renforcer les actions dans le domaine de la sécurité du patient et d'orienter l'ensemble des acteurs de santé vers des priorités d'actions.

## — « La sécurité du patient, c'est moi, c'est nous... »

Communiquer et impliquer le patient pour améliorer sa sécurité lors de ses soins est un enjeu majeur pour la qualité et la sécurité d'une prise en charge.

Cependant, soignants et soignés évoluent dans un système complexe et leur relation est par essence asymétrique. Cela rend parfois la communication entre ces deux partenaires difficile. Néanmoins, il est essentiel de rendre le patient (et son entourage) « coacteur » en l'associant à l'équipe. Il devient ainsi un véritable partenaire.

Dans le cadre du PNSP, la HAS a d'ores et déjà mené plusieurs actions en ce sens.

D'une part, la HAS a intégré des représentants d'usagers à la commission de la transparence et à la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé. Ils sont également associés à la procédure de certification des établissements de santé. Les représentants d'usagers sont désormais présents dans l'ensemble des commissions spécialisées de la HAS.

D'autre part, pour favoriser l'amélioration de la communication entre le soignant et le soigné, la HAS a publié différents documents à destination des patients. L'objectif est de les aider à mieux communiquer avec les professionnels de santé lors d'une consultation ou encore

avec leur pharmacien. Par ailleurs, un outil de reformulation pour le professionnel de santé afin de s'assurer de la bonne compréhension par le patient (« Faire dire ») est également mis à disposition.

Enfin, pour mieux centrer la prise en charge autour du point de vue du patient, la HAS a développé la méthode du patient traceur, dans le cadre de la procédure V2014 de certification des établissements de santé. Méthode d'amélioration de la qualité des soins en équipe, elle analyse la qualité et la sécurité de la prise en charge d'un patient tout au long de son parcours, en prenant en compte l'expérience du patient et de ses proches. La HAS travaille aujourd'hui sur une adaptation de cette méthode pour la médecine de ville et pour évaluer une équipe (Pacte).

Dans la perspective de rendre le patient « coacteur » de sa sécurité, la HAS s'attache désormais à déployer l'ensemble de ces outils au niveau des établissements et des professionnels.

Elle va également développer un exemple de programme de formation intégrant ces outils pour favoriser leur prise en compte dans la formation initiale et continue des professionnels de santé.

## — Accepter de changer

D'après la littérature internationale, l'équipe de soins, quels que soient sa définition et son contour, apparaît aujourd'hui comme la pierre angulaire de la construction de la sécurité.

Pour obtenir une cohésion de l'équipe, le changement à opérer est culturel car il faut refonder les valeurs du « travailler ensemble ». La HAS s'est attachée à mener des actions pour développer les compétences et le travail en équipe, faire prendre conscience de la dimension de l'équipe, renforcer les retours d'expérience et améliorer la culture de sécurité.

---

## Le PNSP : les engagements de la HAS

La HAS s'est engagée sur 25 actions et a créé, en 2013, la mission Sécurité du patient (MSP) dont le rôle est d'optimiser les démarches ou dispositifs déjà en place, portés par la HAS, et d'assurer une transversalité avec les autres institutions. Les quatre axes développés dans le PNSP mettent le patient au cœur du dispositif et de l'équipe des soins. En insistant sur la culture de sécurité, la formation, la communication, le programme touche l'ensemble des dimensions qui impactent la sécurité des patients.

---

“ La sécurité des patients est encore à un stade précoce de développement en termes de recherche et de données probantes. Les dernières années ont vu une augmentation du nombre de publications scientifiques dans des revues à comité de lecture sur des thèmes tels que la culture sécurité, le signalement des incidents et les systèmes d'apprentissage. Il y a eu également un important développement de ressources et d'outils mis à disposition des professionnels de santé pour renforcer la sécurité des soins. La recherche concernant la sécurité des patients dans le cadre des soins primaires est le plus souvent de nature exploratoire. Les études robustes d'évaluation des actes de soins qui permettraient d'améliorer la sécurité des patients sont assez rares. Une [revue de la littérature](#) sur les 7 dernières années a mis en évidence les risques liés aux soins primaires et l'efficacité des interventions visant à les minimiser. Elle a constaté qu'un risque accru de préjudice était associé à divers facteurs liés au patient tels que l'âge ou les comorbidités, et qu'une diminution du risque était associée à une durée plus longue du suivi dans le même lieu de soins et à une durée plus importante des consultations cliniques. Il a également été constaté que les enquêtes sur les incidents sont plus productives lorsqu'elles font appel à plusieurs méthodes, comme les rapports d'incidents et les systèmes d'apprentissage, la revue de dossiers cliniques et l'analyse de bases de données des erreurs médicales. Le nombre croissant de dispositifs et de boîtes à outils (en particulier conçus pour les soins primaires) mettant l'accent sur la sécurité des patients offre une preuve que la culture sécurité des patients est en train de se développer dans le cadre des soins primaires. Il reste à étudier si leur utilisation permettra une meilleure sécurité des soins délivrés aux patients. ”

*Associate Professor Meredith Makeham, Centre for Health Systems and Safety Research, Australian Institute of Health Innovation*

## Développer les compétences

Afin d'agir sur les compétences, à la fois techniques et non techniques, de tous les professionnels de santé, la HAS mène des actions de promotion de la simulation en santé. Approche pédagogique active et innovante, la simulation en santé correspond à « l'utilisation d'un matériel, de la réalité virtuelle ou d'un patient standardisé, pour reproduire des situations ou des environnements de soins, pour enseigner des procédures diagnostiques et thérapeutiques et permettre de répéter des processus, des mises en situation cliniques ou des prises de décision par un professionnel de santé ou une équipe de professionnels. »

La HAS a d'ores et déjà publié plusieurs guides de bonnes pratiques. La réflexion se porte désormais notamment sur le développement de scénarios en simulation à partir d'événements indésirables.

## Développer le travail en équipe

Le milieu des soins a toujours été considéré comme un lieu où le travail en équipe est un mode de fonctionnement s'inscrivant dans les valeurs du soin. Cependant, il existe une différence entre un groupe de personnes travaillant ensemble et un groupe de personnes travaillant efficacement en équipe.

La pratique du travail en équipe rassemble les professionnels autour de buts communs et de la recherche de solutions pour améliorer la prise en charge du patient en collaborant avec d'autres acteurs. L'objectif est d'assurer des soins appropriés, sûrs, accessibles, délivrés au bon moment, et suppose donc une bonne coordination.

Pour promouvoir le travail en équipe, la HAS a notamment lancé une initiative basée sur des expériences étrangères réussies. Une expérimentation du **programme d'amélioration continue du travail en équipe (Pacte)** a ainsi été menée. Celui-ci a pour but d'aider les équipes pluriprofessionnelles à travailler sur les facteurs organisationnels et humains. La HAS a mis à disposition des équipes un outil de diagnostic du fonctionnement de l'équipe, innovant, inspiré des modules CRM (*Crew Resource Management*) de l'aviation et adapté à la santé : le CRM santé.

Après 1 an d'expérimentation, les 18 équipes engagées ont lancé des actions sur la gestion des risques, la communication et la synergie d'équipe. Ce programme est aujourd'hui entré dans une phase pilote élargie à une soixantaine d'équipes volontaires. Il intègre les outils

élaborés ou adaptés par la HAS et destinés à aider les professionnels à mieux communiquer et travailler ensemble. Il s'agit par exemple du guide « Annonce d'un dommage associé aux soins », ou encore de l'outil « situation antécédents évaluation demande » (Saed) dont l'objectif est de faciliter la communication entre professionnels de santé.

Autre levier mis en place par la HAS, l'accréditation en équipe médicale des spécialités à risque. Le socle réglementaire de l'accréditation en équipe existe dans le décret d'origine qui mentionne « l'accréditation des médecins et des équipes médicales exerçant en établissement de santé ». La HAS a redéfini les modalités de réalisation de la démarche pour y intégrer cette dimension collective. Les fondamentaux de l'accréditation restent présents dans l'approche en équipe.



Les enjeux pour la HAS à terme sont de permettre à chaque équipe volontaire de réaliser **Pacte** en établissement de santé mais aussi en ville et de déployer l'accréditation des médecins en équipe.

### Partager et apprendre de ses expériences

Les différentes enquêtes portant sur la culture de sécurité ont mis en évidence que globalement la culture de sécurité est encore peu développée, notamment les dimensions de culture non punitive de l'erreur et de soutien du management. La culture de sécurité s'acquiert le plus

souvent avec l'expérience, au contact des patients. Pourtant, les concepts qui sous-tendent la sécurité des patients sont maintenant largement développés et leur connaissance permettrait d'acquérir cette culture plus rapidement.

C'est dans cette optique que l'Organisation mondiale de la santé a publié, en 2011, un guide pédagogique destiné aux professionnels de santé, et traduit en 2015 par la DGOS en lien avec la HAS.

La HAS met également à disposition des professionnels différents outils et méthodes pour renforcer les retours d'expérience et améliorer la culture sécurité.

Une enquête culture sécurité a été intégrée à la démarche Pacte. Une version adaptée aux médecins généralistes est également disponible. Par ailleurs, les équipes médico-soignantes, regroupant des professionnels travaillant habituellement ensemble et contribuant à la prise en charge d'un patient, sont encouragées à réaliser des revues de morbi-mortalité (RMM).

Il s'agit d'une analyse collective, rétrospective et systémique de cas marqués par la survenue d'un décès, d'une complication ou d'un événement qui aurait pu causer un dommage au patient. L'objectif est de mettre en œuvre et suivre des

---

## “ La sécurité du patient, en quoi vos missions y contribuent-elles ? ”



*“ La sécurité du patient est une priorité de la certification qui mobilise les acteurs à tous les niveaux d'intervention. L'amélioration de la sécurité est un objectif majeur des démarches de certification des établissements de santé. Les nouveaux outils déployés pour la version 2014 de la certification visent à mettre en évidence de manière renforcée la capacité des établissements à identifier et à maîtriser leurs risques, et donc à garantir la sécurité des patients. Il s'agit du compte qualité, grâce auquel l'établissement de santé est invité à analyser ses résultats, identifier ses risques, les analyser et mettre en place des plans d'actions pour s'améliorer. Il s'agit également des méthodes de visite utilisées par les experts-visiteurs pour évaluer au plus près des pratiques professionnelles si l'établissement a mis en place sur le terrain un système cohérent pour maîtriser ses risques. ”*

**Sébastien Leloup, chef du service certification des établissements de santé**

*“ La sécurité devient une préoccupation centrale des patients dans le cadre de leur prise en charge à l'hôpital. Cela se traduit dans Scope santé par la sélection, par les représentants d'usagers et associations de patients, de données sur la sécurité à afficher prioritairement sur le site, par la mise en évidence sur le site de ces données, regroupées dans une catégorie clairement intitulée « sécurité des patients », facilement consultable pour chaque établissement de santé, et enfin par la possibilité de comparer les résultats sur la sécurité des patients entre établissements et de les positionner par rapport à une distribution nationale. ”*

**Sabine Cohen-Hygounenc, chef de service, mission Information des usagers sur la qualité des prises en charge**



actions pour améliorer et sécuriser la prise en charge des patients.

Enfin, en 2015, la HAS a publié une méthode facilitant l'analyse d'un EIAS pour les professionnels de santé exerçant en soins de ville. En effet, les risques existent aussi en ville mais ils sont différents de ceux rencontrés en établissement de santé. Une approche spécifique est nécessaire avec des outils d'analyse adaptés à ce contexte. Parmi eux, les professionnels de santé peuvent utiliser cette méthode qui va permettre d'identifier l'EIAS, de chercher les causes profondes, de prendre des mesures pour éviter qu'il se reproduise et de par-

tager l'expérience acquise avec d'autres professionnels.

## — Favoriser les initiatives des professionnels et la déclinaison locale

Pour atteindre ces objectifs visant à améliorer la sécurité des patients, il est important d'encourager et valoriser les

initiatives des professionnels en développant un pragmatisme local.

La HAS souhaite encourager la transposition des produits génériques nationaux au niveau local de la sécurité du patient. L'enjeu sera d'intégrer la notion de sécurité du patient dans l'ensemble des pratiques et tout au long de la prise en charge.



“ La pertinence c'est délivrer la bonne intervention en santé au bon moment, au bon endroit, pour le bon patient. C'est un sujet majeur et ancien, d'évaluation et d'amélioration de la qualité. C'est aussi un enjeu de sécurité. En effet, une intervention inutile ou un défaut d'intervention fait courir des risques non justifiés au patient. ”

**Marie-Hélène Rodde-Dunet, chef du service évaluation de la pertinence des soins et amélioration des pratiques et des parcours**

“ Il faut d'abord rappeler que tous les indicateurs développés et généralisés par la HAS sont des indicateurs de qualité et de sécurité des soins. L'année 2015 a été une année de transition avant la reprise, par la HAS, des indicateurs portant sur les infections associées aux soins qui étaient antérieurement gérés par la DGOS. 2015 était aussi l'année du recueil des indicateurs de spécialités issus du dossier du patient et servant à évaluer les pratiques, notamment en termes de sécurité : AVC, IDM, dialyse et prise en charge de l'hémorragie du post-partum. Enfin, nous avons poursuivi le développement d'indicateurs de résultats orientés sur la sécurité du patient construits à partir du PMSI. Ils seront restitués aux établissements à des fins d'alerte. Le premier d'entre eux concerne le taux d'événements thromboemboliques survenus

après la pose de prothèse totale de hanche et de genou. Il sera rendu aux établissements dans le courant de l'année 2016. Sur le même modèle, des indicateurs de mortalité hospitalière devraient être développés. ”

**Arnaud Fouchard, adjoint au chef du service indicateurs pour l'amélioration de la qualité et de la sécurité des soins**



“ La question de la sécurité des patients est une des dimensions traitées dans le cadre des évaluations technologiques. En effet, l'appréciation de l'efficacité au regard des risques est centrale dans la majorité des évaluations des actes. La sécurité est abordée sous deux angles : l'analyse des événements indésirables liés à l'acte professionnel ou à la technologie et la définition des conditions de réalisation de l'acte professionnel voire la préconisation de la mise en œuvre d'un processus d'encadrement de l'acte (via l'article L.1151-1 du Code de la santé publique) le cas échéant. Il convient également de souligner la mission dévolue à la HAS de l'appréciation de la dangerosité des actes à visée esthétique. ”

**Michèle Morin-Surroca, chef du service évaluation des actes professionnels**

# Évaluation et recommandation

<b>■ Médicaments</b>	<b>13</b>
- Benzodiazépines dans l'anxiété	13
- Association corticoïde/bêta-2 mimétique dans l'asthme et la BPCO	13
- Les anti-PD1 dans le mélanome malin avancé	14
- Prévention des événements cardio-vasculaires : évaluation internationale et nationale de Zontivity (vorapaxar)	14
<b>■ Dispositifs médicaux</b>	<b>15</b>
- Dispositifs utilisés suite au traitement d'un cancer	15
- Révision de plusieurs catégories de sièges pour personnes handicapées	16
- Prévention de la mort subite cardiaque	17
- Évaluation conjointe d'un dispositif et de son acte d'implantation dans l'insuffisance mitrale	17
<b>■ Technologies de santé et actes</b>	<b>17</b>
- Diagnostic par recherche du génome viral et sérologie de l'infection congénitale à cytomégalo virus	18
- Test in vitro de dépistage de l'infection tuberculeuse latente par détection de production d'interféron gamma	18
- Crosslinking du collagène cornéen et anneaux intracornéens dans le traitement des ectasies cornéennes	18
- La radiothérapie conformationnelle avec modulation d'intensité dans le cancer du col de l'utérus	19
<b>■ Évaluation médico-économique et de santé publique</b>	<b>19</b>
<b>Évaluation des produits de santé</b>	
- De nouveaux médicaments pour la prise en charge des adultes infectés par le virus de l'hépatite C	19
- Nouvelle indication et avis d'efficacité dans l'urticaire chronique spontanée	20
<b>Évaluation des stratégies de prise en charge</b>	
- Trisomie 21 : de nouveaux tests	21
- Chimiothérapie : conditions de son développement en hospitalisation à domicile (HAD)	21
<b>■ Bonne pratique professionnelle</b>	<b>21</b>
- Greffe rénale : réduire les inégalités d'accès	22
- Troubles bipolaires : diagnostiquer plus tôt pour réduire le risque de suicide	22
- Déficit de l'attention chez l'enfant et l'adolescent : repérer et prendre en charge	22
- Urétrites et cervicites : une prise en charge étendue aux partenaires sexuels	22
<b>■ E-santé</b>	<b>22</b>
- Référentiel de bonnes pratiques sur les applications et objets connectés en santé	23
- Télémédecine	23
- Territoire de soins numériques	23
- DataSets de bonnes pratiques	23

La HAS a notamment pour mission d'évaluer, d'un point de vue médical et économique, les produits, actes, prestations et technologies de santé, ainsi que les actions et programmes de santé publique. Les commissions à base législative et réglementaire, que sont la commission de la transparence (CT), la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMITS) et la commission évaluation économique et santé publique (CEESP), émettent des rapports et avis en vue de l'admission au remboursement et de la fixation du prix.

La HAS élabore également des recommandations sur les stratégies de prise en charge et contribue ainsi à la régulation des bonnes pratiques professionnelles.

## ■ Médicaments



En 2015, la commission de la transparence (CT) a poursuivi sa mission d'évaluation des médicaments afin d'éclairer les pouvoirs publics sur leur prise en charge. La CT a ainsi rendu 805 avis, fondés notamment sur le service médical rendu (SMR) des médicaments, qui prend en compte la gravité de la pathologie, l'efficacité et les effets indésirables du produit, sa place dans la stratégie thérapeutique, eu égard aux alternatives, son caractère préventif, curatif ou symptomatique ainsi que son intérêt pour la santé publique, et l'amélioration du service médical rendu (ASMR) qu'ils sont susceptibles d'apporter par rapport aux traitements déjà disponibles.

À titre d'illustration des activités de cette commission, sont présentées les activités d'appréciation de l'intérêt thérapeutique des médicaments de la classe des benzodiazépines dans l'anxiété (après avoir réalisé cette réévaluation pour les benzodiazépines dans l'insomnie en 2014), des associations corticoïde/bêta-2 mimétique dans l'asthme et la BPCO, des anti-PD1 dans le mélanome malin avancé ou encore du vorapaxar dans la prévention des événements cardio-vasculaires.

### Benzodiazépines dans l'anxiété

Les manifestations anxieuses peuvent avoir un impact fort sur la qualité de vie au quotidien.

C'est pourquoi, en 2015, la CT a réévalué les benzodiazépines utilisées dans cette indication : alprazolam (Xanax), bromazépam (Lexomil), clobazam (Urbanyl), clorazé-

805

avis de la commission de la transparence

4

fiches bon usage

104

synthèses d'avis

9

rencontres précoces

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

Activité 2015	Première inscription	Extension d'indication	Renouvellement d'inscription	Autres demandes	Total
Demandes enregistrées – nbre dossiers	247 (29 %)	41 (5 %)	330 (39 %)	224 (27 %)	842
Avis rendus	232 (29 %)	40 (5 %)	330 (41 %)	203 (25 %)	805

100

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

pate (Tranxene), clotiazépam (Veratran), diazépam (Valium), loflazépate (Victan), lorazépam (Temesta), nordazépam (Nordaz), oxazépam (Seresta), prazépam (Lysanxia) et leurs génériques.

Environ 7 millions de personnes auraient consommé des benzodiazépines anxiolytiques en 2014, dont 16 % en traitement chronique, sur plusieurs années. Or, efficaces sur une courte période, la CT a confirmé leur intérêt thérapeutique important mais sur une courte durée.

En effet, de façon générale, les benzodiazépines anxiolytiques sont efficaces pendant une courte période (8 à 12 semaines) mais leurs effets indésirables (sommolence diurne, chutes, accidents, troubles de la mémoire, etc.) et le risque de dépendance qu'elles induisent doivent conduire à inscrire leur prescription dans une stratégie à court terme, soit dans un

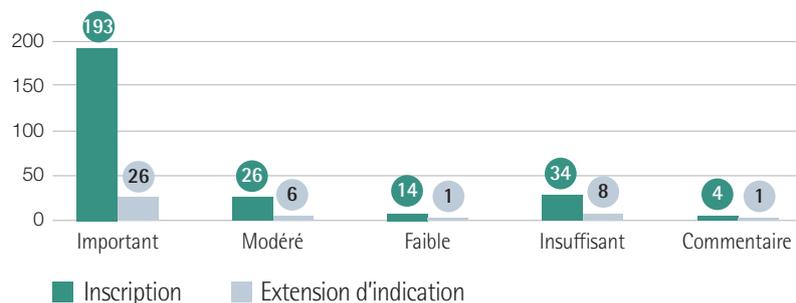
contexte de crise aiguë d'angoisse, soit en seconde intention dans les troubles anxieux ou les troubles de l'adaptation.

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

### Association corticoïde/bêta-2 mimétique dans l'asthme et la BPCO

Très fréquent en France, l'asthme est une maladie respiratoire chronique due à une inflammation transitoire des bronches. Quatre associations fixes corticoïde/bêta-2 mimétique de longue durée d'action (LABA) ont été évaluées par la CT. Elle a publié une fiche de bon usage de ces associations dans le traitement de fond de l'asthme persistant. Ces associations, qui n'ont pas démontré

### RÉPARTITION DES SMR\* ATTRIBUÉS EN 2015\*\*



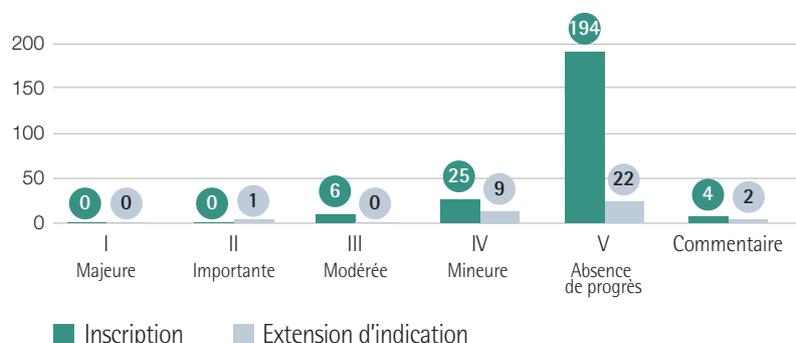
\* SMR : service médical rendu.

\*\* Données toutes procédures confondues, uniquement demandes de 1<sup>re</sup> inscription ou inscription dans une extension d'indication. Un même avis peut comporter des SMR différents, notamment selon les indications.

En 2015, la HAS a réalisé une évaluation d'Opdivo (nivolumab, anti-PD1) dans le traitement des patients adultes atteints d'un mélanome avancé (non résecable ou métastatique) en monothérapie. Compte tenu des données disponibles, le Collège de la HAS a conclu qu'Opdivo apporte une amélioration du service médical rendu (ASMR III) dans la stratégie thérapeutique de prise en charge des patients adultes atteints d'un mélanome avancé. L'analyse de l'efficacité montre que le surcoût à consentir pour cette amélioration attendue d'efficacité est cependant très élevé.

► Pour en savoir plus, consulter [l'avis du Collège de la HAS de la spécialité Opdivo](#).

### RÉPARTITION DES ASMR\* ATTRIBUÉES EN 2015\*\*



\* ASMR : amélioration du service médical rendu.

\*\* Données toutes procédures confondues, uniquement demandes de 1<sup>re</sup> inscription ou inscription dans une extension d'indication. Un même avis peut comporter des ASMR différents, notamment selon les indications.

### Prévention des événements cardio-vasculaires : évaluation internationale et nationale de Zontivity (vorapaxar)

En France, en 2008, les cardiopathies ischémiques étaient responsables d'environ 300 000 hospitalisations. Parmi elles, près de 56 000 hospitalisations complètes étaient dues à un infarctus du myocarde.

En termes de mortalité, les cardiopathies ischémiques représentent la deuxième cause de décès tant pour les hommes que pour les femmes. Ainsi le poids des cardiopathies ischémiques sur la santé publique est majeur. Celui des syndromes coronaires aigus est lui aussi considéré comme important. Malgré le plus faible nombre de patients éligibles au traitement par le vorapaxar (Zontivity) en prévention secondaire de l'infarctus du myocarde (patients sans antécédents d'AVC, d'AIT ou d'hémorragie intracrânienne et patients sans insuffisance hépatique sévère), le poids financier sur la santé publique concernant la sous-population de patients susceptibles de recevoir du vorapaxar reste important.

En association avec de l'acide acétylsalicylique (AAS) et si nécessaire avec du clopidogrel, le vorapaxar est indiqué dans la réduction des événements athérombotiques chez les patients adultes ayant des antécédents d'infarctus du myocarde.

Zontivity a fait l'objet d'une évaluation commune européenne (*Rapid assessment evaluation*) coordonnée par le réseau EUnetHTA (*European Network for HTA*) réalisée conjointement par la HAS et le ministère de la Santé de la Slovaquie et d'une évaluation par la CT. Son intérêt clinique a été jugé insuffisant pour une prise en charge par la solidarité natio-

d'avantage clinique les unes par rapport aux autres, sont remboursables dans le traitement de l'asthme persistant modéré à sévère.

Elles peuvent être prescrites en seconde intention dans le cas où les patients sont soit insuffisamment contrôlés par une corticothérapie inhalée et un bêta-2 agoniste de courte durée d'action administré par voie inhalée « à la demande », soit contrôlés par une corticothérapie inhalée associée à un bêta-2 agoniste de longue durée d'action par voie inhalée.

► Pour en savoir plus, consulter [la fiche bon usage](#).

### Les anti-PD1 dans le mélanome malin avancé

Cancer cutané à fort potentiel métastatique, le mélanome est lié à la transformation maligne de cellules pigmentaires de la peau, les mélanocytes. Le taux de survie à 5 ans passe de 88 %

en cas de détection précoce à 18 % pour les stades III avancés non résecables, et à moins de 5 % pour les mélanomes de stade IV (stade métastatique). La prise en charge actuelle en première ligne du traitement du mélanome avancé (non résecable ou métastatique) est orientée dès le diagnostic vers une sélection des patients en fonction de l'existence ou pas d'une mutation B-RAF de la tumeur, retrouvée dans 38 % des cas. Aujourd'hui, le besoin thérapeutique n'est ainsi que partiellement couvert. Il existe donc un réel besoin pour de nouveaux médicaments qui doivent être soumis à divers objectifs tels que l'augmentation du taux de réponse, de la survie globale, l'amélioration de la tolérance et de la qualité de vie des patients. De nouvelles classes thérapeutiques et associations médicamenteuses ont récemment obtenu une autorisation de mise sur le marché européenne et sont en cours d'évaluation par les autorités de santé (inhibiteurs des protéines kinases MEK, anti-PD1...).

nale en raison, notamment, d'un bénéfice clinique mineur en termes de morbidité et de l'absence d'efficacité démontrée en termes de mortalité.

► Pour en savoir plus, consulter [l'avis sur le médicament de Zontivity](#).

## — Dispositifs médicaux



Dans le cadre de ses missions d'évaluation, la HAS émet des avis sur le service attendu de 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 (CNEDiMITS) qui en a la charge.

En 2015, 210 avis sur des dispositifs ont été publiés par la CNEDiMITS. Elle a notamment évalué plusieurs dispositifs utilisés dans les suites du traitement d'un cancer, des catégories de sièges pour personnes handicapées, les défibrillateurs cardiaques automatiques implantables avec sonde(s) endocavitaires, ainsi qu'un clip de réparation mitrale bord à bord et son acte d'implantation dans l'insuffisance mitrale.

### Dispositifs utilisés suite au traitement d'un cancer

La HAS a évalué plusieurs catégories de produits utilisés suite au traitement d'un cancer : les prothèses capillaires, les implants mammaires et les prothèses mammaires externes. Ces évaluations s'inscrivent dans le cadre du 3<sup>e</sup> plan cancer (2014-2019) qui vise notamment à améliorer la qualité de vie des patients et réduire les conséquences économiques du cancer. Par ailleurs, le contexte sanitaire particulier de cette année a fait émerger un lien entre la survenue de lymphome anaplasique à grandes cellules et le port d'un implant mammaire. Les prothèses capillaires visent à pallier le handicap créé par la perte de cheveux. Sur les 52 000 patients concernés chaque année par la

**210**  
avis de la CNEDiMITS (hors actes et rapports d'évaluation technologique)

**20**  
avis faisant suite à des saisines concernant principalement des groupes homogènes de produits

**2**  
fiches bon usage

**3**  
fiches indication thérapeutique

**3**  
rencontres précoces

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

Activité 2015	Première inscription	Renouvellement d'inscription	Modification des conditions d'inscription	Autre demande (radiation, modification administrative)	Total
Demandes enregistrées déposées par les fabricants	95	69	35	11	210

Avis en réponse à des demandes déposées par les fabricants	89	75	35	11	210
--	----	----	----	----	-----

**87**  
jours : délai moyen d'instruction des dossiers de demande d'inscription

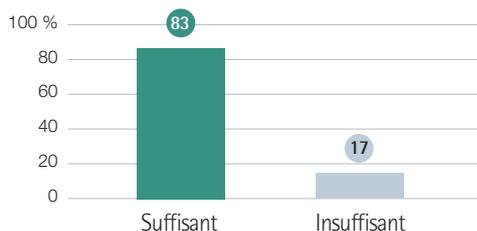
prescription de prothèses capillaires, plus de la moitié sont atteints de cancer. La HAS a mené une évaluation dans le but de mieux définir les conditions de prise en charge, ainsi que les produits les plus appropriés en termes de rendu visuel et de confort. Dans son avis, la CNEDiMITS recommande la prise en charge des prothèses capillaires totales, partielles et des accessoires en cas d'alopécie temporaire ou définitive, partielle ou totale, de l'adulte et de l'enfant, consécutive à une pathologie ou à sa prise en charge.

Autres dispositifs concernés, les implants mammaires. En France, environ 400 000 femmes sont porteuses d'implants mammaires, dont 20 % suite à un cancer. En raison d'une augmentation de cas de lymphome anaplasique à grandes cellules associé à un implant mammaire (LAGC-AIM) et à la demande de la DGS, la HAS a mené une évaluation sur les implants mammaires et leurs alternatives. Cette évaluation constituait une actualisation

de ses travaux de 2009. Les nouvelles données disponibles ne permettant pas d'apporter d'éléments supplémentaires pour que soient envisagées des modifications des implants pris en charge et des conditions de remboursement (indications, contre-indications), la CNEDiMITS a recommandé d'individualiser les implants sous nom de marque afin de permettre leur suivi *via* les bases de données médico-administratives. Elle préconise également un encadrement de leur utilisation et la mise en place systématique d'une concertation pluridisciplinaire.

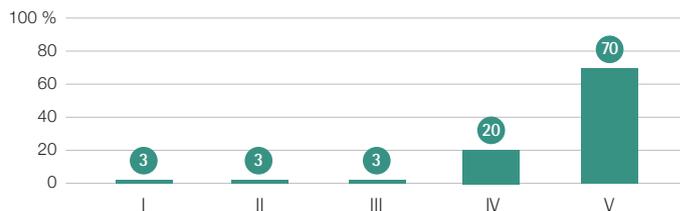
Enfin, la CNEDiMITS a émis des recommandations sur les modalités de prescription et de délivrance des prothèses mammaires externes. Ces recommandations font suite à l'avis de projet de modification de la procédure d'inscription et des conditions de prise en charge des prothèses mammaires externes, publié au Journal officiel du 19 mai 2015, et à la phase contradictoire

## RÉPARTITION DES SA\*/SR\*\* ATTRIBUÉS EN 2015



\* SA : service attendu dans les 1<sup>res</sup> inscriptions et modifications.  
 \*\* SR : service rendu dans les renouvellements.

## RÉPARTITION DES ASA\*/ASR\*\* ATTRIBUÉS EN 2015



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

## Évaluation des groupes homogènes de produits en 2015

### Révisions des descriptions génériques

#### LPPR

- Postiches pour homme ou femme (désormais dénommés prothèses capillaires).
- Syndrome d'apnées-hypopnées centrales du sommeil et respiration de Cheyne-Stokes – dispositifs médicaux pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associées.
- Solutés de réhydratation orale.
- Sièges pouvant être adaptés sur un châssis à roulettes (sièges coquilles de série, sièges modulables et évolutifs de série).
- Corsets-sièges (désormais dénommés sièges moulés).

#### Intra-GHS

- Défibrillateurs cardiaques implantables.

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

#### LPPR

- Ventilation assistée.
- Pompes à insuline externes, portables et programmables.
- Implants mammaires.
- Perfusion à domicile.
- Prothèses mammaires externes.
- Pansements.
- Lits médicaux.

#### Intra-GHS

- Défibrillateurs cardiaques implantables.

### Saisines du ministère/CEPS

- Implants mammaires.
- Projet d'arrêté fixant de nouvelles durées d'inscription applicables aux descriptions génériques.
- Occlusion de l'appendice auriculaire gauche par voie transcutanée : critères d'éligibilité des centres implantateurs (article L.1151-1 du CSP).
- Valves aortiques transcutanées : réévaluation des critères d'éligibilité des centres implantateurs (article L.1151-1 du CSP).
- Solutions d'acide hyaluronique.
- Modification des modalités d'utilisation et de prescription des neurostimulateurs pour stimulation cérébrale profonde – indication Parkinson.

prévue à l'article R.165-9 du Code de la sécurité sociale. Les prothèses mammaires externes sont indiquées après mastectomie totale ou partielle, en cas d'asymétrie congénitale ou acquise et en cas d'hypoplasie majeure ou aplasie.

► Pour en savoir plus, consulter les avis de la CNEDIMTS sur [l'évaluation des postiches](#), sur [l'évaluation des implants mammaires](#) et sur [les prothèses mammaires externes](#).

### Révision de plusieurs catégories de sièges pour personnes handicapées

Dans le handicap, plusieurs catégories d'aides techniques utilisées pour le maintien en position assise lors de déficits posturaux ont fait l'objet d'une évaluation en 2015 : les sièges coquilles de série, les sièges modulables et évolutifs de série et les sièges moulés (corsets-sièges).

L'intérêt clinique de ces dispositifs a ainsi été réévalué et les conditions de prise en charge ont été définies par la CNEDiMITS. Parmi les évolutions majeures apportées par la commission, figure une redéfinition des produits contenus dans ces différentes catégories et des indications de prise en charge.

Les sièges coquilles, tels que définis, répondent au besoin de maintien en position assise d'une population limitée aux

personnes âgées avec un degré de perte d'autonomie jugé important.

Les corsets-sièges, désormais appelés « sièges moulés », sont destinés aux patients ayant une déficience grave de la station assise d'origine neurologique, orthopédique et/ou congénitale. Leur nomenclature a été actualisée pour introduire la modularité à tous les niveaux, afin d'optimiser le positionnement du patient en fonction des zones anatomiques concernées par la déficience.

Les sièges évolutifs et modulables de série sont également destinés aux patients ayant une déficience grave de la station assise d'origine neurologique, orthopédique ou congénitale et peuvent constituer une alternative aux sièges moulés (corsets-sièges).

Une nomenclature modulaire a également été recommandée afin de mettre en adéquation les spécifications de ces sièges avec leur objectif d'aide au positionnement.

D'autres types de sièges (destinés à l'hygiène ou au transport notamment) ont été identifiés dans ces descriptions génériques. Au vu de leur finalité et de leurs caractéristiques techniques extrêmement différentes, la CNEDiMITS a également recommandé l'individualisation de descriptions génériques spécifiques pour les sièges de bain et sièges automobiles en recommandant pour cette dernière catégorie une prise en charge forfaitaire chez les enfants handicapés de plus de 10 ans.

► Pour en savoir plus, consulter les rapports d'évaluation sur [les sièges moulés \(corsets-sièges\)](#) et sur [les sièges coquilles de série et les sièges de série modulables et évolutifs](#).

## Prévention de la mort subite cardiaque

Cause de décès cardio-vasculaire la plus fréquente dans le monde, la mort subite cardiaque (MSC) est le plus souvent liée à une tachyarythmie ventriculaire responsable d'une instabilité hémodynamique avec perte de conscience, sans récupération spontanée. Malgré les politiques de santé publique, fondées sur la chaîne de la survie et le développement de l'accès aux défibrillateurs externes automatiques, le taux de survie à 1 mois reste très faible en France.

Pour prévenir les MSC, les défibrillateurs cardiaques automatiques implantables (DAI) peuvent être indiqués pour débiter un traitement électrique antiarythmique en réponse à la détection d'un trouble du

rythme ventriculaire potentiellement léthal. En 2015, les DAI avec sonde(s) endocavitaire(s) ont fait l'objet d'une évaluation par la CNEDiMITS afin d'actualiser les conditions de prise en charge dans la prévention primaire et secondaire de la MSC.

Le choix du type de dispositif (simple, double ou triple chambre) à implanter doit donc reposer sur l'évaluation individuelle du patient en tenant compte de son état clinique (nécessité de stimulation cardiaque définitive, besoin de détection du trouble du rythme ou insuffisance cardiaque associée), des complications liées au dispositif médical, du coût et du bénéfice attendu pour le patient.

Une mise à jour des spécifications techniques minimales a été réalisée afin de prendre en compte les évolutions techniques et les nouvelles fonctionnalités disponibles avec ces dispositifs.

► Pour en savoir plus, consulter [le rapport d'évaluation sur les défibrillateurs cardiaques automatiques implantables avec sonde\(s\) endocavitaire\(s\)](#).

## Évaluation conjointe d'un dispositif et de son acte d'implantation dans l'insuffisance mitrale

L'insuffisance mitrale est la deuxième valvulopathie la plus fréquente en Europe. Il s'agit d'une affection grave engageant le pronostic vital des patients. La CNEDiMITS a réalisé une évaluation conjointe, en 2015, d'un clip de réparation mitrale bord à bord et de son acte d'implantation. Cette évaluation s'est inscrite dans une démarche particulière liée au fort potentiel d'amélioration de la prise en charge des patients atteints d'insuffisance mitrale.

L'ambition de la HAS a ainsi été de réduire les délais d'évaluation tout en évitant les risques sanitaires et/ou financiers excessifs liés à un accès trop précoce à une technique insuffisamment évaluée et un retard de mise à disposition auprès des patients d'une technique porteuse de progrès.

Dans son rapport, la HAS recommande de limiter la technique de réparation mitrale bord à bord aux patients avec insuffisance mitrale sévère, d'origine dégénérative, symptomatique malgré une prise en charge optimale, non éligibles à la chirurgie de réparation ou de remplacement valvulaire et répondant aux critères échocardiographiques d'éligibilité.

La HAS insiste sur la validation des critères de contre-indication chirurgicale par une équipe multidisciplinaire et recom-

mande fortement l'obtention de l'avis d'un gériatre. Enfin, seuls les patients ayant une espérance de vie supérieure à 1 an doivent pouvoir bénéficier de cette procédure.

Dans les autres indications, et/ou pour des risques opératoires moins élevés, la place de cette technique dans la stratégie thérapeutique reste indéterminée.

► Pour en savoir plus, consulter [le rapport d'évaluation sur le clip de réparation mitrale bord à bord et son acte d'implantation](#).

## Technologies de santé et actes



Dans le domaine des technologies de santé et des actes professionnels, la HAS est chargée d'évaluer des matériels, équipements et procédures ou stratégies utilisés par des professionnels de santé dans un but préventif, diagnostique ou thérapeutique.

---

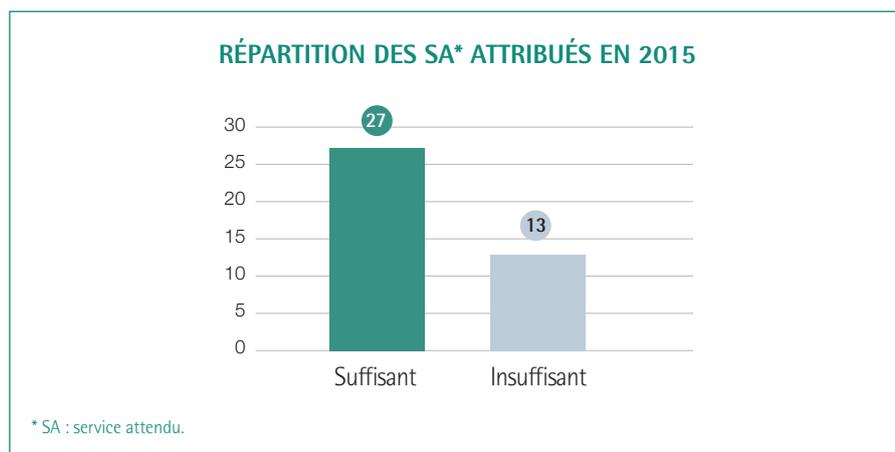
**20** rapports d'évaluation technologique (dont 9 rapports d'évaluation et 11 argumentaires)

**9** avis rendus à l'Uncam sur des tests de mutations et d'actes liés à des dispositifs médicaux

**1** rencontre précoce dans le cadre du projet SEED (*Shaping European Early Dialogues for health technologies*)

---

## Répartition des avis sur les actes relatifs aux rapports d'évaluation technologique, aux tests de mutations et aux actes liés aux dispositifs médicaux



Ces évaluations visent à éclairer la décision des pouvoirs publics ou à apporter une mise au point des connaissances scientifiques (études cliniques, évaluations technologiques internationales notamment) sur un sujet à un moment donné.

En 2015, la HAS a publié 20 rapports d'évaluation technologique dont 11 argumentaires d'avis – comme par exemple sur le diagnostic par sérologie et/ou par recherche du génome viral de l'infection congénitale à cytomégalovirus (CMV) ou le test *in vitro* de dépistage de l'infection tuberculeuse latente par détection de production d'interféron gamma – et 9 rapports d'évaluation, dont un rapport sur le *crosslinking* du collagène cornéen et les anneaux intracornéens dans le traitement des ectasies cornéennes et un rapport sur la radiothérapie conformationnelle avec modulation d'intensité dans le cancer du col de l'utérus.

Par ailleurs, 9 avis ont été rendus à l'Uncam sur des tests de mutation et d'actes liés à des dispositifs médicaux.

Ces travaux ont donné lieu à 40 avis dont 27 ont bénéficié d'un service attendu suffisant et 13 d'un service attendu insuffisant.

### Diagnostic par recherche du génome viral et sérologie de l'infection congénitale à cytomégalovirus

Le cytomégalovirus (CMV), communément à l'origine d'infections asymptomatiques, peut causer des infections graves, notamment chez le fœtus. Il est ainsi la première cause d'infection congénitale virale et la première cause non héréditaire de perte auditive neurosensorielle et de retard mental dans la petite enfance.

L'Uncam a saisi la HAS, pour avis concernant l'inscription à la nomenclature des actes de biologie médicale (NABM) de plusieurs examens diagnostiques dans le cadre de la transmission mère-enfant *in utero* de l'infection à CMV : test de mesure de l'avidité des IgG anti-CMV et mesure de la charge virale du CMV par amplification génique (PCR) de plusieurs types de prélèvements (liquide amniotique et urines/salive du nouveau-né). L'Uncam proposait également la suppression de la NABM de la recherche des IgG anti-CMV seules dans le contexte de la grossesse et de la culture cellulaire orientée du CMV. Constatant la cohérence entre les conclusions de l'analyse de la littérature synthétique et la quasi-totalité du contenu de la demande de l'Uncam, la HAS a conclu favorablement aux propositions de l'Uncam.

► Pour en savoir plus, consulter [l'argumentaire](#).

### Test *in vitro* de dépistage de l'infection tuberculeuse latente par détection de production d'interféron gamma

Avec environ 3 millions de décès par an, la tuberculose est la première cause de mortalité infectieuse dans le monde. La grande majorité des personnes infectées ne présente aucun signe ni symptôme et n'est pas contagieuse, mais elle est susceptible de développer une tuberculose active et de devenir contaminante.

En France, malgré une incidence nationale faible, les données épidémiologiques montrent que la tuberculose n'est pas encore totalement maîtrisée.

L'Uncam a saisi la HAS, pour avis concernant l'inscription à la NABM des tests

de dépistage de l'infection tuberculeuse latente par détection de la production d'interféron gamma (tests « IGRA » - *Interferon gamma release assays*) dans plusieurs indications définies.

À l'issue de son évaluation par une procédure courte (analyse de cohérence entre les données de la littérature synthétique et la demande soumise), la HAS a conclu que les tests IGRA constituaient une modalité diagnostique dans les indications suivantes : enfants migrants de moins de 15 ans en provenance d'une zone de forte endémie tuberculeuse, patients infectés par le VIH, aide au diagnostic de tuberculose maladie en cas de forme extra-pulmonaire de tuberculose et de diagnostic difficile chez l'enfant. La HAS a également renouvelé son avis favorable (émis en décembre 2006) concernant l'indication d'utilisation des tests IGRA avant la mise en route d'un traitement par anti-TNF alpha.

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

### Crosslinking du collagène cornéen et anneaux intracornéens dans le traitement des ectasies cornéennes

L'ectasie cornéenne est une maladie dégénérative de la cornée d'évolution non prévisible (elle n'est ni systématique, ni linéaire dans le temps). Ainsi, certains patients présentent des formes sévères et rapidement progressives qui altèrent fortement la vision, voire entraînent une cécité conduisant à un handicap important, tandis que d'autres gardent toute leur vie une forme fruste et isolée. Avant l'arrivée de nouvelles technologies, le principe de prise en charge de la maladie consistait à corriger la perte d'acuité visuelle. La prise en charge débutait par le port de lunettes puis de lentilles lorsque la correction devenait insuffisante, et en cas d'échappement ou d'intolérance aux lentilles, la greffe était envisagée avec des résultats inconsistants et non pérennes dans le temps. L'Académie française d'ophtalmologie a sollicité la HAS pour évaluer deux nouveaux actes : le *crosslinking* du collagène cornéen, indiqué pour stabiliser la maladie, et la pose d'anneaux intracornéens dont le but est de réhabiliter la vision des patients afin de leur éviter ou de retarder la greffe de cornée.

Après une évaluation menée sur la base d'une littérature de faible niveau de preuve et de la position favorable des parties prenantes, la HAS a donné un avis favorable à l'inscription sur la liste des

actes et prestations de ces deux nouveaux actes. Toutefois, la HAS propose dans son rapport un encadrement spécifique de ces techniques et préconise la mise en œuvre d'un registre exhaustif de suivi des enfants et des ectasies post-LASIK ainsi que d'études cliniques visant à apporter des informations sur l'efficacité à long terme de ces deux techniques.

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

## La radiothérapie conformationnelle avec modulation d'intensité dans le cancer du col de l'utérus

Face à l'évolution des techniques en radiothérapie, la Société française de radiothérapie oncologique a sollicité la HAS pour actualiser les indications de « la radiothérapie conformationnelle avec modulation d'intensité (RCMI) », au regard des nouvelles données disponibles. Procédure de haute technicité, la RCMI consiste à faire varier la forme du faisceau d'irradiation au cours d'une même séance pour s'adapter aux contraintes de forme et de volume de l'organe traité.

Le cancer du col de l'utérus a été identifié conjointement par la HAS, l'INCa et la DGOS comme l'une des indications les plus pertinentes à évaluer. Le traitement de première ligne du cancer du col de l'utérus repose essentiellement sur la chirurgie ou la radiothérapie (parfois une combinaison des deux).

La HAS a publié un rapport d'évaluation de la sécurité et de l'efficacité cliniques de la RCMI dans le traitement du cancer du col de l'utérus. À l'issue de ce rapport, la HAS a donné un avis favorable à l'inscription de la RCMI dans le cancer du col utérin sur la liste des actes et prestations sous réserve : d'une maturité des centres (ressources suffisantes, compétences spécifiques et respect des procédures d'assurance qualité), de l'information des patients, du recueil exhaustif des données de toxicité tardive et du taux de rechutes locales et d'une identification des cancers radio-induits dans le cadre du système national de vigilance sanitaire.

La HAS estime par ailleurs nécessaire de procéder au recueil de données cliniques (efficacité et toxicité) dans le cadre d'une étude contrôlée comparative si les protocoles (dose totale, dose par fraction, durée du traitement ou débit de traitement) ne sont pas modifiés par rapport à la RTC-3D et dans le cadre d'études contrôlées randomisées si la modalité de

traitement modifie la dose totale, la dose de fraction, la durée du traitement et le débit (i.e. hypofractionnement).

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

### Permettre un accès rapide des patients aux technologies innovantes, tel est l'objectif du « Forfait innovation »

*Le Forfait innovation est une prise en charge dérogatoire d'un produit ou d'un acte innovant, décidé par les ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale, après avis de la HAS.*

*Cette démarche vient en prolongement de la loi de financement de la sécurité sociale 2015 et entend rendre ce dispositif plus réactif. Cette loi propose d'accélérer l'évaluation des technologies de santé innovantes. La HAS s'est ainsi vu confier l'évaluation de l'éligibilité des projets susceptibles de bénéficier du Forfait innovation au regard du caractère innovant de la technologie et de la pertinence du protocole de l'étude. Leur prise en charge dérogatoire est conditionnée à la réalisation d'une étude clinique ou médico-économique qui permettra d'apporter les données manquantes nécessaires pour confirmer l'intérêt de la technologie innovante.*

→ Pour en savoir plus, consulter la rubrique « Forfait innovation ».

“ Les dispositifs ou actes innovants font l'objet d'une attention institutionnelle particulière pour mettre à la disposition des malades les technologies susceptibles d'apporter un progrès thérapeutique important ou de réduire les dépenses de santé. ”

Pr Jacques Belghiti, président du comité d'experts HAS du Forfait innovation, membre du Collège de la HAS, président de la CNEDI/MTS.

## Évaluation médico-économique et de santé publique



Depuis 2008, la HAS émet des recommandations et avis médico-économiques sur les stratégies de soins, de prescription ou de prise en charge les plus efficaces. Cette mission s'est élargie en octobre 2013 avec la production d'avis d'efficacité de certains produits de santé. L'objectif de ces avis est d'aider les pouvoirs publics à fixer le niveau de prix du médicament ou du dispositif médical.

La commission évaluation économique et santé publique (CEESP) se prononce ainsi sur le rapport « coût/efficacité » des produits de santé susceptibles d'avoir un impact significatif sur les dépenses de l'Assurance maladie (AM).

Principalement destinés au Comité économique des produits de santé (CEPS), en vue de la négociation des prix, ces avis d'efficacité sont réalisés parallèlement à l'évaluation en vue de l'admission au remboursement.

En 2015, la HAS a rendu 21 avis d'efficacité, concernant par exemple des médicaments indiqués dans la prise en charge des adultes infectés par le virus de l'hépatite C ou encore le traitement de l'urticaire chronique spontanée.

La CEESP a également poursuivi son évaluation de l'efficacité des stratégies diagnostiques et thérapeutiques ainsi que des actions de santé publique, concernant par exemple les performances des tests de dépistage de la trisomie 21 fœtale par analyse de l'ADN libre circulant ou les conditions du développement de la chimiothérapie en hospitalisation à domicile.

### Évaluation des produits de santé

#### De nouveaux médicaments pour la prise en charge des adultes infectés par le virus de l'hépatite C

À la suite de l'évaluation du sofosbuvir (Sovaldi), la CT et la CEESP ont évalué

2

rapports d'évaluation médico-économique

6

recommandations en santé publique

21

avis d'efficience

11

avis courts (Uncam)

21

rencontres précoces

3

avis sur des projets d'arrêté ou de décret

“ Évaluer ne signifie pas rationner. Notre rôle consiste avant tout à éclairer les décideurs publics et les citoyens. La CEESP contribue 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 leur prix et leur remboursement. ”

Catherine Le Galès-Camus, vice-présidente de la CEESP.

priorisation, médicalement justifiée, a été préconisée par le Collège de la HAS en proposant en priorité ces traitements aux patients dont la maladie hépatique est au stade de fibrose F3 ou F4 ou aux patients ayant certaines comorbidités. L'analyse de la CEESP pour ces produits montre une très grande hétérogénéité de l'efficience selon le stade de fibrose, mais également selon les prix simulés pour les nouveaux antiviraux d'action directe, et en particulier le prix du sofosbuvir. La question de leur impact budgétaire demeure posée, étant donné la taille de la population cible.

La CT a reconnu que Viekirax® et Exviera® apportaient un progrès thérapeutique mineur dans la prise en charge de l'hépatite chronique C de génotypes 1 et/ou 4 et que Harvoni®, apportait un progrès thérapeutique mineur par rapport aux autres associations à base de sofosbuvir actuellement disponibles dans la prise en charge de l'hépatite C chronique de génotypes 1, 3 et 4. Considérant les réserves méthodologiques majeures qui invalident les résultats, la CEESP a, quant à elle, considéré que l'efficience de Harvoni® n'était pas démontrée. L'efficience

de Viekirax® et Exviera® n'est démontrée que pour certaines sous-populations et très variable selon les stades de fibrose.

► Pour en savoir plus, consulter les avis et synthèses d'avis sur [Sovaldi](#), [Viekirax® & Exviera®](#) et [Harvoni®](#), ainsi que la recommandation du Collège sur [la prise en charge de l'hépatite C par les médicaments antiviraux à action directe \(AAD\)](#).

### Nouvelle indication et avis d'efficience dans l'urticaire chronique spontanée

La HAS a mené une double évaluation de Xolair® (omalizumab) par la CT et la CEESP. Ce médicament, qui présente un progrès mineur dans la prise en charge de l'urticaire chronique spontanée en échec aux antihistaminiques anti-H1, a désormais l'autorisation de mise sur le marché (AMM). Son efficacité a été démontrée *versus* placebo en traitement additionnel, notamment en termes de pourcentage de patients ayant un bon contrôle de la maladie. Les effets observés sont purement suspensifs et régressent dès l'arrêt du traitement, au 6<sup>e</sup> mois.

trois nouveaux médicaments antiviraux d'action directe, Viekirax®, association fixe d'ombitasvir, de paritaprèvir et de ritonavir, Exviera® (dasabuvir) et Harvoni®, association fixe de lédirasvir et de sofosbuvir.

Ces médicaments ont démontré leur efficacité dans près de 90 % des cas, sans effets indésirables majeurs. Une

### Les avis d'efficience

Après seulement 2 ans d'existence depuis la mise en œuvre effective du décret n° 2012-1116 du 2 octobre 2012, les avis d'efficience se sont pleinement installés dans le paysage de l'évaluation des produits de santé. Si leur impact réel sur les niveaux de prix des médicaments et dispositifs médicaux est encore difficile à apprécier, ils contribuent à améliorer la connaissance du décideur public quant aux enjeux des décisions de remboursement et de prix qu'il prend. Plusieurs rapports récents ont souligné les efforts de lisibilité qu'il reste encore à fournir, mais également la nécessité de publier immédiatement ces avis, ne serait-ce que dans une visée pédagogique et à des fins de transparence. L'efficience est un enjeu fondamental du système de santé, et il importe que ces éléments du débat soient portés à la connaissance de tous.

L'année 2015 s'achève sur un bilan positif de cette activité qui a su s'implanter, mais il convient également de ne pas méconnaître un certain nombre de défis à venir, au rang desquels on peut compter la mise en œuvre des dispositions de l'accord-cadre LEEM-CEPS, le développement des analyses d'impact budgétaire, la qualification plus précise de l'efficience au-delà même des critiques méthodologiques qui peuvent être faites sur l'argumentation fournie par l'industriel. De manière plus générale, l'enjeu du prix des médicaments, notamment dans le cas d'innovations, et la prise en compte de l'équité dans l'allocation des ressources publiques seront au cœur des travaux de la CEESP et de la HAS.

### Conditions d'éligibilité aux avis d'efficience

Les produits doivent être innovants (l'industriel doit revendiquer une ASMR – amélioration du service médical rendu – ou une ASA – amélioration du service attendu – de niveau I, II ou III). Ils doivent également être susceptibles d'avoir un « impact significatif » sur les dépenses de l'AM, en raison des conséquences attendues sur les pratiques professionnelles, les modes de prise en charge, l'organisation des soins ou le chiffre d'affaires prévisionnel (ou constaté).

### Rencontres précoces

Le développement des échanges entre les industriels et la HAS a été un point important de cette procédure. Vingt et une rencontres précoces ont été organisées en 2015, dont environ 43 % ont abouti à un dépôt de dossier.

Il a été bien toléré dans les études, cependant les risques cardio-vasculaires et ceux liés à l'effet immunosuppresseur (notamment carcinogène) n'ont pas été évalués à long terme. Le service médical rendu par Xolair® 150 mg, poudre et solvant pour solution injectable et solution injectable en seringue préremplie, est modéré dans cette indication.

L'efficacité d'un traitement par Xolair® de l'urticaire chronique spontanée, telle qu'évaluée par l'industriel, est extrêmement incertaine et sera influencée par les conditions d'utilisation du produit en pratique clinique (durée de traitement, degré de sévérité de la maladie, coprescription).

► Pour en savoir plus, consulter [les avis et synthèse d'avis sur Xolair®](#).

## Évaluation des stratégies de prise en charge

### Trisomie 21 : de nouveaux tests

La trisomie 21 est une anomalie chromosomique dont la prévalence à la naissance augmente avec l'âge maternel. Son dépistage repose sur la mesure, par échographie, de la clarté nucale du fœtus combinée au dosage des marqueurs sériques du premier ou, à défaut, du deuxième trimestre de la grossesse. Ce dépistage estime pour les femmes enceintes un taux de risque qui, s'il est supérieur ou égal à 1/250, peut conduire à proposer un diagnostic de confirmation.

En France, toute femme enceinte est informée de la possibilité de recourir au dépistage combiné de la trisomie 21 au premier trimestre de la grossesse. De nouveaux tests pourraient modifier les modalités actuelles de dépistage. Il s'agit des tests de dépistage prénatal dits non invasifs (DPNI) de la trisomie 21 fœtale, fondés sur la recherche d'une surreprésentation de séquences d'ADN fœtal provenant du chromosome 21 au sein de l'ADN fœtal libre et circulant dans le sang maternel.

Afin de définir la place de ces tests et dans l'attente des résultats des études en cours en France, la HAS a publié une première évaluation des performances des DPNI fondée sur une analyse de la littérature. Ayant montré que le taux de détection de trisomie 21 par le DPNI est supérieur à 99 % et le taux de faux positifs inférieur à 1 % dans le groupe de femmes identifiées comme à risque, cette analyse des performances justifie la mise à jour des modalités actuelles de dépistage.

La HAS rappelle qu'en cas de résultat positif, le diagnostic de confirmation repose toujours sur l'établissement du caryotype fœtal après amniocentèse ou choriocentèse, et que ces tests ne se substituent pas aux techniques de surveillance de la grossesse, notamment échographiques. Dans un second volet, la HAS va, avec les experts et les professionnels de santé, et à partir des résultats des études françaises en cours, analyser notamment les enjeux éthiques, économiques et organisationnels afin de définir précisément la place de ces tests dans la stratégie de dépistage de la trisomie 21 en France.

► Pour en savoir plus, consulter [le volet 1 de la recommandation en santé publique](#).

### Chimiothérapie : conditions de son développement en hospitalisation à domicile (HAD)

Avec la hausse des diagnostics de cancer en France et le développement de nouvelles molécules anticancéreuses, le nombre de chimiothérapies réalisées sur le territoire augmente rapidement.

Les chimiothérapies à domicile, en particulier en HAD, pourraient permettre d'éviter des déplacements et de la fatigue au patient, mais aussi de désengorger les services d'hospitalisation de jour.

Constatant le ralentissement du développement de l'activité en HAD, de manière générale, les pouvoirs publics ont souhaité leur donner une nouvelle impulsion en doublant leur activité à l'horizon 2018. La DGOS a ainsi missionné la HAS pour élaborer un rapport économique et organisationnel sur les modalités de réalisation des chimiothérapies anticancéreuses en HAD.

Dans ce rapport, la HAS a ainsi identifié les freins mais aussi les leviers du développement de la chimiothérapie en HAD en France.

Elle formule notamment 18 recommandations destinées aux décideurs (DGOS, ARS, HAD et établissements prescripteurs). Celles-ci sont déclinées au niveau national, régional et local, et portent sur le périmètre et la nature de l'activité de chimiothérapie à développer en HAD, le renouvellement de la politique tarifaire, l'amélioration de la prise en charge et les traitements.

Certaines de ces recommandations peuvent être mises en œuvre de manière isolée, d'autres nécessitent d'être articulées entre elles, notamment celles qui visent à encourager le développement de cette activité, qui ne pourra être réalisé

sans la levée de plusieurs freins, notamment tarifaires.

► Pour en savoir plus, consulter [la recommandation en santé publique et organisation des soins](#).

## — Bonne pratique professionnelle



La HAS met à la disposition des professionnels de santé des recommandations de bonne pratique.

Accompagnées d'outils favorisant leur mise en œuvre, ces recommandations font la synthèse de l'état de l'art et des données de la science afin d'améliorer la qualité des prises en charge.

En 2015, la HAS a notamment travaillé sur la greffe rénale, les troubles bipolaires, le déficit de l'attention chez l'enfant et l'adolescent ou encore sur les urétrites et les cervicites.

6 recommandations de bonne pratique (dont 3 labels méthodologiques)

7 fiches mémo, dont 3 mises à jour

8 protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS)

2 mises à jour de guides méthodologiques

5 mémos Cnamts (article 53)

## Greffe rénale : réduire les inégalités d'accès

La greffe d'un rein est le meilleur traitement pour la plupart des personnes atteintes d'insuffisance rénale chronique terminale.

En effet, lorsqu'elle est possible, la greffe offre une meilleure espérance et une meilleure qualité de vie par rapport à la dialyse, elle est aussi plus efficace.

Si l'attribution d'un greffon relève d'un barème de points fixé par la réglementation, l'inscription sur la liste d'attente est laissée à l'appréciation des équipes médicales. Or des inégalités d'accès à cette liste existent aujourd'hui en France (en termes d'âge, de genre, de comorbidité, de délais d'inscription) et la HAS estime qu'au moins 1 800 personnes non inscrites pourraient y accéder.

Pour réduire ces inégalités et uniformiser les pratiques, la HAS a publié des recommandations afin de définir les critères d'accès à la liste d'attente, pour permettre davantage d'équité et de transparence dans l'accès à la greffe. L'enjeu : favoriser au maximum l'accès précoce à la transplantation de toute personne dont la survie ou la qualité de vie pourraient être ainsi nettement améliorées.

Ces recommandations précisent notamment que tout patient de moins de 85 ans, avec une maladie rénale chronique irréversible de stade 4 (susceptible d'évoluer vers le stade 5 dans les 12 mois) ou de stade 5, dialysé ou non, doit pouvoir accéder à la liste s'il ne présente pas de contre-indications à la greffe.

► Pour en savoir plus, consulter [la recommandation de bonne pratique](#).

## Troubles bipolaires : diagnostiquer plus tôt pour réduire le risque de suicide

Classé parmi les dix pathologies les plus invalidantes selon l'Organisation mondiale de la santé, le trouble bipolaire débute généralement entre 15 et 25 ans et nécessite une prise en charge tout au long de la vie. Il s'agit d'un trouble complexe, difficile à diagnostiquer, et il s'écoule en moyenne 10 ans entre son apparition et la mise en place d'un traitement adapté.

Il se caractérise par une alternance d'épisodes hypomaniaques ou maniaques et d'épisodes dépressifs légers, modérés ou sévères, avec des intervalles de rémission plus ou moins longs. Un repérage précoce et une prise en charge adaptée sont essentiels car cette maladie

engendre un risque élevé de suicide, de troubles psychiatriques et de désinsertion familiale et sociale.

Dans le cadre de son programme pluriannuel en santé mentale (2013-2016), la HAS a publié une fiche pratique pour permettre aux médecins traitants de reconnaître ce trouble et d'agir plus précocement.

En cas de suspicion, le médecin traitant doit réaliser un entretien et un examen clinique pour établir un diagnostic et évaluer la sévérité du trouble bipolaire et le risque de suicide. S'il envisage l'existence d'un trouble bipolaire, il doit adresser le patient à un psychiatre afin de confirmer le diagnostic, prescrire le traitement adapté et mettre en place un suivi conjoint. Il est également conseillé d'associer les proches ainsi que les autres professionnels de santé en contact avec le patient.

► Pour en savoir plus, consulter [le rapport et la fiche mémo](#).

## Déficit de l'attention chez l'enfant et l'adolescent : repérer et prendre en charge

Souvent réduit au terme « hyperactivité » ou associé à des enfants turbulents, le trouble déficit de l'attention avec ou sans hyperactivité (TDAH) est pourtant un trouble complexe, difficile à repérer et qui associe différents symptômes (déficit de l'attention, hyperactivité motrice et impulsivité).

Le prendre en charge est essentiel pour les enfants et adolescents qui en souffrent au quotidien. Pour aider les médecins de premier recours (médecin généraliste ou pédiatre) à savoir réagir, établir un pré-diagnostic et accompagner les enfants et adolescents concernés et leur famille, la HAS a publié une recommandation de bonne pratique.

Diagnostiquer un TDAH peut s'avérer difficile car il n'existe pas de signes neurologiques ou physiques propres au trouble. L'expression TDAH est en outre variable d'un individu à l'autre : les trois symptômes vont se manifester de manière très différente selon l'âge et parfois le contexte de vie. C'est la présence de ces trois symptômes dans plusieurs environnements et leur persistance dans le temps qui caractérise le TDAH. Par sa connaissance de l'enfant, le médecin de premier recours est l'acteur clé dans le repérage. Il pourra décider d'orienter l'enfant vers un médecin spécialiste du TDAH (psychiatre, pédopsychiatre, pédiatre, neuropédiatre, neurologue...). Ce dernier aura pour rôle de confirmer ou

non le prédiagnostic, d'élaborer une prise en charge adaptée à l'enfant et d'accompagner l'enfant et la famille.

La recommandation de la HAS précise également qu'en première intention, une prise en charge non médicamenteuse doit être mise en œuvre, combinant en fonction des besoins de l'enfant des mesures psychologiques, éducatives et sociales. Si ces mesures sont insuffisantes, un traitement médicamenteux peut être initié mais selon des règles de prescription très strictes.

► Pour en savoir plus, consulter [la recommandation de bonne pratique](#).

## Urétrites et cervicites : une prise en charge étendue aux partenaires sexuels

Inflammation de l'urètre et du col de l'utérus généralement d'origine infectieuse, l'urétrite et la cervicite sont des infections sexuellement transmissibles. Habituellement non compliquée, cette infection peut être à l'origine de complications graves et faciliter la transmission du VIH.

Face à l'augmentation de la résistance aux antibiotiques et pour aider les professionnels de santé à délivrer une prescription adaptée de ces médicaments, la HAS a réalisé une fiche mémo sur la stratégie diagnostique et thérapeutique de prise en charge des urétrites et cervicites non compliquées.

► Pour en savoir plus, consulter [la fiche mémo](#).

## E-santé



Le terme « e-santé » recouvre un vaste domaine d'applications des technologies de l'information et de la télécommunication au service de la santé.

Dans ce domaine, la HAS s'est vu confier un certain nombre de missions concernant notamment la santé mobile, la télémédecine, le programme « Territoire de soins numériques »...

Afin de piloter ses travaux dans ce domaine, la HAS a mis en place une instance de gouvernance spécifique. Ses missions : définir les orientations stratégiques, renforcer la cohérence des projets engagés et préparer les arbitrages.

## Référentiel de bonnes pratiques sur les applications et objets connectés en santé

Les outils de santé connectée se développent à une allure vertigineuse et le champ de la santé connectée est aussi vaste que celui de la santé en général.

Les outils de santé connectée doivent répondre aux principes fondamentaux de la pratique médicale, à savoir la qualité, l'efficacité, la sécurité, la protection des données personnelles, le respect de l'autonomie des personnes et du libre choix...

Aucune règle précise ne permet aujourd'hui d'évaluer les applications de santé mobile dès lors qu'elles n'ont pas le statut de dispositif médical. Or l'évaluation de ces nouveaux outils est une priorité.

Saisie par le ministère de la Santé, la HAS a entamé une réflexion sur l'évaluation des outils de santé mobile (*e-health*). Elle publiera ainsi, courant 2016, un référentiel de bonnes pratiques avec un double objectif, d'une part, de guider les développeurs et les utilisateurs (professionnels de santé et usagers) sur les critères de qualité, de sécurité et de bonnes pratiques à prendre en compte, d'autre part, d'éclairer les évaluateurs (sociétés savantes, associations de consommateurs et organismes privés) sur les méthodologies d'évaluation pertinentes.

## Télémédecine

La télémédecine est une forme de pratique médicale à distance fondée sur l'utilisation des technologies de l'information et de la communication. Elle fait l'objet, depuis 2011, d'une stratégie nationale de déploiement.

La télémédecine permet d'établir un diagnostic, d'assurer un suivi, de requérir un avis spécialisé ou d'effectuer une surveillance. Pour les patients, elle améliore l'accessibilité à l'offre de soins et la qualité de vie en permettant une prise en charge et un suivi sur leur lieu de vie.

Les attentes autour de la télémédecine sont très importantes et son développement confronte les pouvoirs publics, les patients et les professionnels à de nouvelles problématiques, en particulier

celles de la sécurité de ces nouveaux modes de prise en charge et de l'évaluation médico-économique des projets.

Dans ce contexte, la HAS est chargée d'évaluer les expérimentations de télémédecine prévues à l'article 36 de la loi de financement de la sécurité sociale pour 2014 en vue de leur généralisation. Ces expérimentations, portant sur le déploiement de la télémédecine dans des régions pilotes, concernent la réalisation d'actes de télémédecine pour des patients pris en charge en médecine de ville, d'une part, et en établissements sociaux et médico-sociaux, d'autre part.

► Pour en savoir plus, consulter [le rapport sur l'efficience de la télémédecine](#).

## Territoire de soins numériques

Favoriser l'émergence de « territoires d'excellence » pilotes en matière d'usage du numérique, au service de l'amélioration et de la modernisation du système de soins, tel est l'objectif du programme « Territoire de soins numériques » (TSN).

Le TSN vise à expérimenter les services et technologies les plus innovants pour garantir, sur un territoire, une coordination optimale de tous les acteurs de santé, centrée sur la prise en charge du patient.

Ce projet s'inscrit dans l'ambition du gouvernement de développer une filière industrielle d'avenir.

La HAS contribue à la mise en œuvre de TSN auprès de l'Agence nationale d'appui à la performance (Anap) qui assure l'appui aux ARS concernées.

Deux enjeux majeurs ont été identifiés dans ce cadre : mobiliser les différents acteurs pour faire évoluer les pratiques et les modalités de travail de manière à disposer au quotidien d'un ensemble coordonné de prestations sanitaires, médico-sociales et sociales en réponse aux demandes de prévention et de soins, et utiliser de façon appropriée les web services pour faciliter ces changements et s'inscrire dans de nouvelles pratiques pérennes.

## DataSets de bonnes pratiques

L'enjeu des DataSets est de structurer et standardiser un minimum de données dans les logiciels métiers pour pouvoir les (ré)utiliser lors des soins et ainsi soutenir la pratique des professionnels. Ces données permettent notamment de suivre l'évolution au long cours d'un malade chronique, d'accéder aux éléments de bonne pratique en cours de consultation (mémos, voire alertes) et de produire des

indicateurs de qualité des pratiques cliniques.

Trois DataSets ont été élaborés à titre de pilote. Ils concernent la bronchopneumopathie chronique obstructive (BPCO), le diabète et les infections respiratoires hautes.

► Pour en savoir plus, consulter [la page sur les DataSets de bonnes pratiques](#).

# Certification, indicateurs et information médicale

<b>■ Certification des établissements de santé</b>	<b>25</b>
- Bilan de la V2010	25
- Analyse des 100 premiers comptes qualité	26
- Dispositif de formation des experts-visiteurs en V2014 : accompagner le passage d'une logique analytique à une logique systémique	26
- Processus décisionnel V2014 : une évaluation constante	27
- SARA : le système d'information dédié à la certification évolue	27
<b>■ Indicateurs de qualité et de sécurité</b>	<b>28</b>
- Évolution de l'indicateur e-Satis : vers un questionnaire en ligne pour mesurer la satisfaction des patients hospitalisés	28
- Qualité des soins, les indicateurs : des repères chiffrés pour progresser	28
- Scope santé : de nouveaux indicateurs disponibles	29
- Alertes et gestion des risques en établissement de santé via les indicateurs de résultats	29
- IFAQ : incitation financière à la qualité	29
<b>■ Moyens d'information médicale</b>	<b>30</b>
- Certification des logiciels métiers et agrément des bases de données sur les médicaments	30
- Certification de la visite médicale	30

Dans le cadre de ses missions d'évaluation et d'amélioration de la qualité des soins et de la sécurité des patients, la HAS certifie les établissements de santé. Par ailleurs, la HAS développe, avec les professionnels, des indicateurs de qualité et de sécurité des soins notamment utilisés par les établissements de santé comme outils d'amélioration de la qualité.

Enfin, la HAS contribue à l'amélioration de la qualité de l'information délivrée aux professionnels de santé au travers de différentes certifications d'outils et dispositifs.

## Certification des établissements de santé



Procédure externe d'évaluation des établissements de santé publics et privés, la certification est effectuée par des professionnels mandatés par la HAS. Cette procédure, indépendante de l'établissement et de ses organismes de tutelle, porte sur le niveau de prestations et de soins délivrés aux patients et sur la dynamique d'amélioration de la qualité et de la sécurité des soins mise en œuvre par les établissements.

En 2015, la HAS a dressé un bilan de la procédure V2010. Une analyse des 100 premiers comptes qualité, nouvel outil de la V2014, a également été menée. Sur la base des premiers retours d'expérience, la HAS a, par ailleurs, conduit de nouvelles actions de formation des experts-visiteurs dans le cadre de la V2014 et a fait évoluer le système d'information dédié à la certification (SARA).

### Bilan de la V2010

Près de 2 700 établissements de santé (ES) ont été engagés dans la procédure de certification V2010. Au lancement de la V2014, un premier bilan des résultats de la certification V2010 a été effectué par la HAS. Il concerne les 2 562 ES qui, au 1<sup>er</sup> mai 2015, ont fait l'objet d'une décision du Collège de la HAS après leur visite initiale. L'objectif : permettre à chaque ES de se positionner par rapport à l'ensemble ou par rapport à d'autres établissements similaires ou proches et tirer les leçons du retour d'expérience en proposant des perspectives pour la V2014.

### Certification V2010 en 2015

10  
visites initiales

212  
rapports de suivi

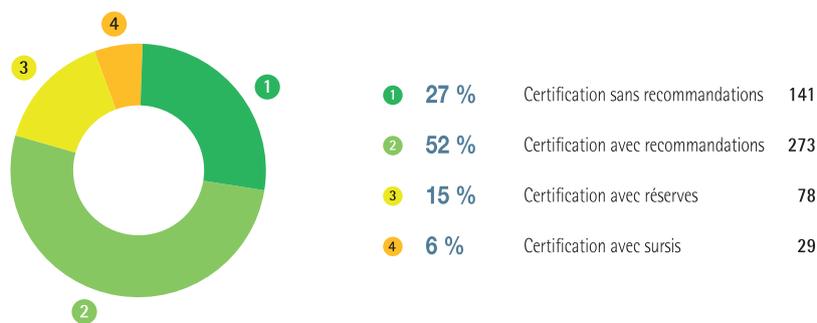
60  
visites de suivi

13  
visites ciblées

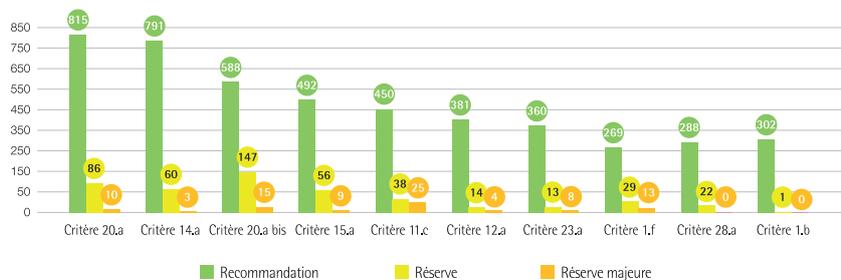
521  
décisions de certification

2 596  
établissements visités depuis 2010

#### RÉPARTITION DES NIVEAUX DE CERTIFICATION V2010 (DÉCISIONS DE CERTIFICATION 2015)



#### 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 20.a bis : prise en charge médicamenteuse du patient ; Critère 15.a : identification du patient à toutes les étapes de sa prise en charge ; Critère 11.c : information du patient en cas de dommage lié aux soins ; 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 28.a : mise en œuvre des démarches d'évaluation des pratiques professionnelles (EPP) ; Critère 1.b : engagement dans le développement durable

Ce premier bilan a ainsi ouvert des pistes de réflexion sectorielles, régionales ou par thématique.

Si en V2010 près de 6 % des ES restent certifiés avec réserve(s) à l'issue de la mesure de suivi, il convient de noter qu'en V2014, le processus décisionnel prévoit le sursis à la décision de certification dès lors que les éléments constitutifs d'une réserve sont réunis. Un bilan complet et définitif des résultats V2010 sera établi lorsque la totalité des mesures de suivi

V2010 aura été réalisée. Celui-ci devrait être publié sur le site de la HAS fin 2016.

► Pour en savoir plus, consulter [le site Internet de la HAS](#).

### Analyse des 100 premiers comptes qualité

Pour répondre aux objectifs de la certification V2014, la HAS a développé un nouvel outil : le compte qualité. Outil de suivi longitudinal de la démarche

qualité et gestion des risques des établissements de santé (ES), il a une double ambition : proposer une méthode d'identification des risques et de priorisation des actions d'amélioration et aider les ES à mieux piloter leur dynamique interne et à rendre lisibles et mobilisateurs les axes prioritaires fixés dans leur démarche d'amélioration de la qualité et de la gestion des risques.

Une analyse des 100 premiers comptes qualité a été réalisée par la HAS. Bien qu'elle ait montré que l'analyse des thématiques fondée sur l'identification et l'évaluation des risques convient aux ES et leur permet de construire un plan d'action cohérent, elle a fait apparaître quelques points qui doivent être renforcés afin de permettre au compte qualité de devenir un outil opérationnel favorisant l'action au sein des ES.

Ces enseignements seront pris en compte et permettront ainsi aux ES de disposer d'un compte qualité qui répondra aux questions suivantes : « Pourquoi les actions identifiées sont-elles prioritaires pour l'établissement ? », « Comment l'établissement s'engage à améliorer la qualité et la sécurité des soins ? ».

► Pour en savoir plus, consulter [la rubrique certification V2014](#).

### Dispositif de formation des experts-visiteurs en V2014 : accompagner le passage d'une logique analytique à une logique systémique

La mise en œuvre au 1<sup>er</sup> janvier 2015 des visites V2014 constituait un challenge particulier en termes de formation des experts-visiteurs.

Alors que les précédentes évolutions consistaient principalement à rehausser le niveau d'exigence sur certains critères porteurs d'enjeux, la V2014 porte un véritable changement de méthode que les experts-visiteurs doivent s'approprier. Leur ancrage dans la vie hospitalière contribue fortement à la qualité du système français de certification. Pour préserver cette spécificité, la HAS accompagne le maintien en compétences des experts-visiteurs afin d'obtenir des rapports de certification pertinents, homogènes et conformes aux attentes de l'institution.

Un effort de formation inédit a été produit 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 ont porté sur les

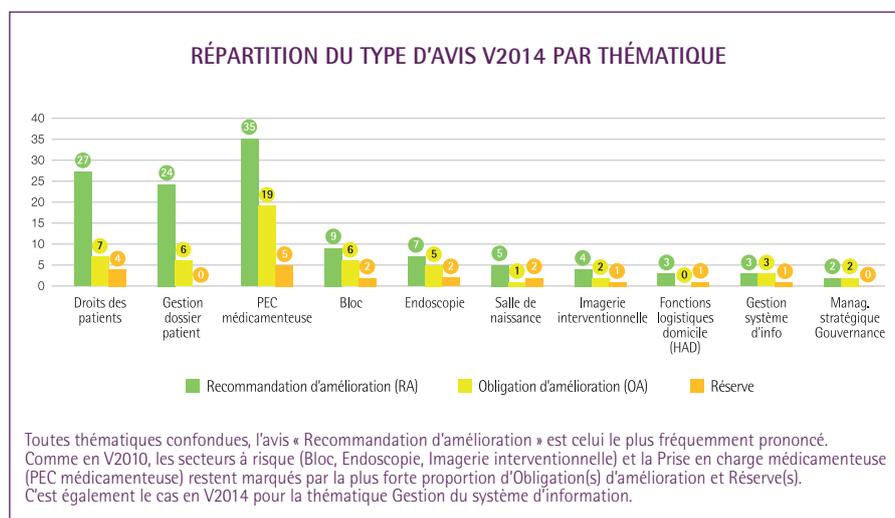
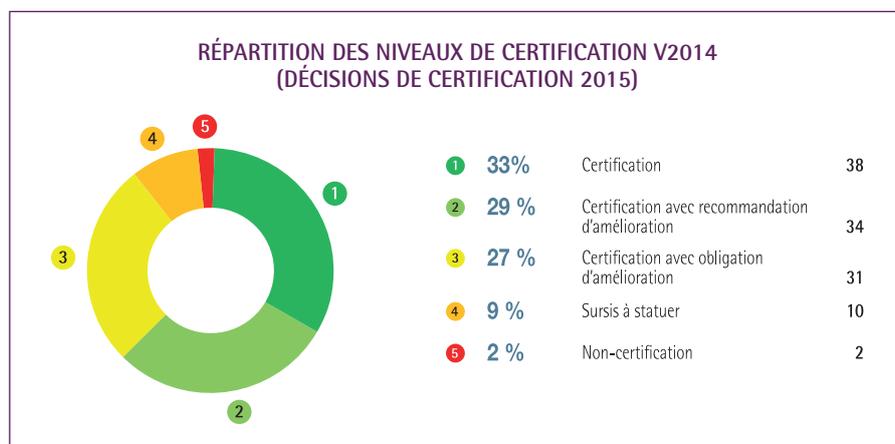
## Certification V2014 en 2015

**115**  
décisions de certification

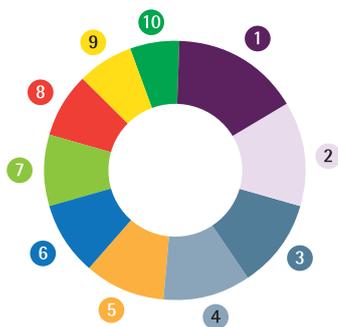
**588**  
établissements visités

**650**  
comptes qualité reçus et analysés

**1 680**  
établissements en cours de procédure



## PALMARÈS DES 10 THÉMATIQUES LES PLUS IMPACTÉES PAR LES DÉCISIONS



1 16 %	Gestion système d'info	6 9 %	Endoscopie
2 13 %	PEC médicamenteuse	7 9 %	Salle de naissance
3 11 %	Fonctions logistiques domicile (HAD)	8 8 %	Droits des patients
4 11 %	Manag. stratégique Gouvernance	9 7 %	Imagerie interventionnelle
5 10 %	Bloc	10 6 %	Gestion dossier patient

Le nombre d'avis par thématique doit être pondéré par le nombre de fois où cette thématique a été investiguée. Ainsi, les 5 thématiques du tronc commun ont été investiguées dans les 115 établissements de santé (ES) alors que la « Gestion du système d'information », par exemple, ne l'a été que dans 11 ES. Ainsi pondérés, les résultats conduisent au palmarès présenté dans ce graphique. Les thématiques « Gestion du système d'information », « Prise en charge médicamenteuse » et « Gestion des fonctions logistiques au domicile » arrivent en tête, devant les secteurs à risque.

modalités de formation avec le déploiement d'une plateforme de formation à distance et l'évolution de la pédagogie des programmes de formation présentielle permettant des mises en situation concrètes et le renforcement des interactions entre pairs.

► Pour en savoir plus, consulter la [rubrique certification V2014](#).

### Processus décisionnel V2014 : une évaluation constante

Après 1 an de déploiement et près de 600 visites V2014 réalisées, la commission de revue des dossiers a proposé au Collège de la HAS 115 décisions V2014 (depuis le 30 juin 2015).

Afin de préserver l'homogénéité, la reproductibilité et l'équité de traitement des établissements de santé (ES), il est essentiel d'assurer une évaluation immédiate et constante du fonctionnement et de la pertinence du processus décisionnel.

La HAS a ainsi réactivé un comité de retour d'expérience (CREX), dont le rôle vise à garantir la qualité et la pertinence de la procédure de certification (construction et mise en place d'une doctrine), contribuer aux travaux (suivi du processus décisionnel, situation à risque, études thématiques...), assurer l'articulation avec les travaux de la HAS et enfin,

présenter ses travaux à la commission de certification des ES dans le but de la sensibiliser voire de lui proposer des arbitrages.

Le projet capitalisation a également vu le jour pour apporter à chaque ES les moyens de comprendre la décision dont il fait l'objet et d'en exploiter au mieux les résultats. La HAS souhaite ainsi que l'ES dispose également de repères pour se situer et améliorer sa démarche qualité et gestion des risques. Il se traduira, en 2016, par la publication d'un bilan des 220 premières décisions V2014.

► Pour en savoir plus, consulter la [rubrique certification V2014](#).

### SARA : le système d'information dédié à la certification évolue

Application spécialement configurée pour les établissements de santé (ES), SARA est un espace d'échanges pour les ES, les experts-visiteurs et la HAS. Elle permet de regrouper l'ensemble des rapports de certification depuis la procédure V1 dans une base de données et de produire des rapports et des comptes qualité pour la V2014.

### La prise en charge médicamenteuse

*La prise en charge médicamenteuse est une problématique ancienne dans les établissements de santé, sujet constant de décisions de certification, du fait de l'accroissement des exigences en la matière mais également de la persistance de dysfonctionnements en termes d'organisation ou de pratiques.*

*Les insuffisances constatées sont liées pour partie aux retards de déploiement de l'informatisation mais aussi très souvent au non-respect des règles établies.*

*Certains écarts ont été considérés en V2010 comme suffisamment graves pour justifier, à eux seuls, une décision quelle que soit la cotation. Ces manquements et/ou dysfonctionnements continuent, en V2014, d'être des sujets de vigilance de la HAS qui souhaite pouvoir faire levier et en exiger désormais la résolution rapide, effective et pérenne.*

→ Pour en savoir plus, consulter la page « [Retour d'expérience du déploiement de la certification V2010](#) » et le « [Recueil des éléments d'investigations obligatoires \(EIO\) et situations à risque V2014](#) »

Ce site a su évoluer avec chaque procédure de certification. Il propose aujourd'hui de nouvelles fonctionnalités et un nouveau dispositif d'assistance aux utilisateurs a été développé.

Afin d'optimiser l'utilisation de cette base de connaissances de la certification fournie par SARA, la HAS continue à mener une réflexion sur les perspectives d'exploitation : pilotage des activités liées à la certification, amélioration des productions par l'analyse des contenus des rapports et des comptes qualité...

► Pour en savoir plus, consulter [la page dédiée à SARA](#).

## Indicateurs de qualité et de sécurité



Les indicateurs de qualité et de sécurité des soins développés par la HAS permettent de mesurer la qualité de la prise en charge des patients dans les établissements de santé. Ces indicateurs sont développés avec les professionnels et utilisés par les établissements de santé comme outils d'amélioration de la qualité. La HAS est engagée avec le ministère de

la Santé, depuis 2008, dans le pilotage national et la mise en œuvre du recueil de ces indicateurs. L'année 2015 a été marquée par le transfert à la HAS de l'indicateur e-Satis (satisfaction des patients hospitalisés en MCO), l'expérimentation d'un indicateur portant sur la qualité du document de sortie, le développement d'indicateurs de résultats comme outil d'alerte et par le développement d'indicateurs de processus et de résultats en chirurgie ambulatoire. Enfin, une année de transition a été mise en place en vue du transfert effectif des indicateurs du tableau de bord des infections nosocomiales (TdBIN) par la HAS, en janvier 2016.

### Évolution de l'indicateur e-Satis : vers un questionnaire en ligne pour mesurer la satisfaction des patients hospitalisés

Au 1<sup>er</sup> janvier 2015, la HAS s'est vu confier l'indicateur I-Satis, dispositif de mesure de la satisfaction. Le premier indicateur issu de ce dispositif concerne les patients hospitalisés en court séjour de médecine, chirurgie ou obstétrique (MCO) plus de 48h (désormais nommé e-Satis +48h MCO).

Cette mesure est réalisée de façon continue auprès de tous les patients concernés grâce à un questionnaire en ligne (expérimenté et méthodologiquement validé) envoyé par courriel, à partir d'une plateforme web de l'Agence technique de l'information sur l'hospitalisation (Atih), 2 semaines après leur sortie. Une phase pilote a débuté en juin 2015 avec 12 établissements de santé volontaires. L'objectif : vérifier tous les points de scénario de généralisation afin d'en évaluer la faisabilité. Les premiers retours concrets des établissements pilotes ont permis

d'adapter les outils d'accompagnement mis à disposition des professionnels et des patients. Parmi les retours d'expérience recueillis, la HAS a pu constater que la nouvelle formule de recueil de cet indicateur simplifie grandement l'organisation de l'enquête, notamment en termes de temps dévolu. Depuis septembre 2015, le dispositif national est opérationnel et la campagne de généralisation d'e-Satis +48h MCO a été lancée.

► Pour en savoir plus, consulter [la page dédiée à l'indicateur e-Satis + 48h MCO](#).

### Une mobilisation exemplaire des établissements

*84 % des 1 497 sites géographiques concernés ont participé au recueil 2015. 60 % d'entre eux recueillent les mails des patients et 24 % déclarent un développement du champ mail dans leur système d'information.*

*Sur les 238 000 patients ayant donné une adresse mail au 31 décembre 2015, 35 500 ont répondu au questionnaire en ligne (soit un taux de réponse de 15 %).*

### Qualité des soins, les indicateurs : des repères chiffrés pour progresser

Les indicateurs pour l'amélioration de la qualité et la sécurité des soins (Ipaqss), déployés depuis 2006, sont devenus de véritables outils de pilotage dans les établissements de santé.

#### Indicateurs recueillis en 2015 sur des données de 2014

##### Recueil obligatoire

- Prise en charge hospitalière de l'infarctus du myocarde (IDM) - 10 indicateurs recueillis dont 2 diffusés publiquement sur Scope santé - 366 établissements de santé (ES) (99,2 %\*) ont participé au recueil - 20 378 dossiers analysés.
- Prise en charge initiale de l'accident vasculaire cérébral (AVC) - 10 indicateurs recueillis dont 6 nouveaux en 2015 non diffusés publiquement et 3 diffusés publiquement sur Scope santé - 544 ES (99 %\*) ont participé au recueil - 26 887 dossiers analysés.
- Prévention et prise en charge initiale des hémorragies du *post-partum* immédiat (PP-HPPI) - 3 indicateurs diffusés publiquement sur Scope santé - 518 maternités (100 %\*) ont participé au recueil - 30 961 dossiers d'accouchement et 16 726 dossiers d'HPPI analysés.
- Prise en charge des patients hémodialysés chroniques (DIA) - 16 indicateurs recueillis - 7 diffusés publiquement sur Scope santé, dont 6 sous forme agrégée - 305 ES (99 %\*) ont participé au recueil - 14 951 dossiers analysés.

##### Recueil optionnel (à la discrétion des établissements de santé)

- Prise en charge préopératoire pour une chirurgie de l'obésité chez l'adulte (OBE) : 7 indicateurs recueillis en MCO - 172 ES (34 % des ES éligibles) ont participé au recueil - 8 521 dossiers analysés.

Ces indicateurs ne sont pas diffusés publiquement en raison de leur caractère optionnel.

\*% calculé pour les ES pratiquant cette activité et donc pour lesquels le recueil est obligatoire.

Ils affichent des résultats en progression d'un recueil à l'autre. La progression des moyennes nationales cache cependant des disparités importantes, en témoigne l'existence de variabilité entre les établissements de santé et le nombre d'établissements en dessous de l'objectif de performance attendu.

Plusieurs évolutions sont en cours dont un indicateur expérimenté en 2015 sur la qualité du document de sortie. Recueilli pour la première fois en 2016, il remplacera, à l'horizon 2018, l'indicateur relatif au délai d'envoi du courrier de fin d'hospitalisation afin de renforcer l'exigence de continuité à la sortie d'une hospitalisation en lien avec la loi de modernisation du système de santé de 2016.

► Pour en savoir plus, consulter [la page sur les indicateurs de qualité et de sécurité](#).

### Scope santé : de nouveaux indicateurs disponibles

Scope santé, site d'information publique sur la qualité et la sécurité des soins en établissement de santé, permet de comparer et de choisir un établissement sur des critères de qualité des soins issus de sources officielles.

En novembre 2015, Scope santé a actualisé les données sur la qualité et la sécurité des soins en publiant les derniers résultats des indicateurs transversaux et de spécialité issus de la campagne 2015. Ces indicateurs portent sur les infections nosocomiales, l'infarctus du myocarde et l'accident vasculaire cérébral.

Un nouvel indicateur a été publié concernant l'hémorragie du *post-partum*. La prise en charge des patients hémodialysés chroniques a également été intégrée.

-----  
**+ de 4 000**

sites hospitaliers publics et privés

**241**

données sur la qualité publiées

**70**

spécialités médicales disponibles

**400 000**

visites en 2015  
-----



**MAI 2016**

**UNE VERSION SIMPLIFIÉE  
ET UNE INFORMATION PLUS  
ACCESSIBLE**

*Deux ans après son lancement, le site Scope santé évolue !*

*En 2015, la HAS a engagé un travail d'amélioration de lisibilité et d'accessibilité sur le site Scope santé.*

*En mai 2016, la nouvelle version de Scope santé est mise en ligne avec une ergonomie simplifiée, une comparaison renforcée et l'intégration des résultats de certification V2014.*

Une première étape dans la diffusion d'une mesure de la satisfaction des patients a été réalisée avec la publication de l'engagement des établissements dans la démarche e-Satis.

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

### Alertes et gestion des risques en établissement de santé via les indicateurs de résultats

En 2015, la HAS a assuré le pilotage opérationnel du développement et du déploiement national d'indicateurs de résultats, élaborés à partir du programme de médicalisation des systèmes d'information (PMSI). Ces indicateurs ont pour but de mesurer le niveau de service rendu au patient.

La HAS a développé un indicateur de sécurité (PSI : *patient safety indicators*) mesurant le taux de thromboses veineuses profondes (TVP) et d'embolies pulmonaires (EP) codées dans la population de patients avec pose de prothèse de hanche (PTH) ou de genou (PTG). Celui-ci constitue un levier pour contribuer à l'amélioration de la pertinence de l'utilisation de l'écho-Doppler, à l'amélioration de la qualité du codage dans le PMSI et à l'implémentation des recommandations de thromboprophylaxie.

Pour faciliter l'appropriation de ce nouvel outil d'alerte et de gestion des risques et éviter les conséquences indésirables rapportées dans les pays anglo-saxons, la HAS a mis en place une démarche fondée sur quatre leviers complémentaires : en sus de l'approche collaborative, une validation de l'indicateur pour le pilotage interne de la qualité, des consignes de codage dédiées et la diffusion d'un rappel des points clés des pratiques professionnelles recommandées. En cas d'alerte, un retour au dossier du patient s'impose pour l'établissement de santé concerné afin de vérifier la qualité du codage.

Si l'alerte est confirmée, une démarche de gestion des risques est mise en place au sein de l'établissement de santé. Cette démarche, qui relève du processus « alerte, analyse, plan d'action et suivi », est à valoriser par l'établissement de santé dans son compte qualité.

La première restitution de cet indicateur aux établissements de santé est envisagée courant 2016.

Une mesure de la valeur prédictive positive (VPP) de l'indicateur par retour aux dossiers dans des établissements de santé volontaires sera réalisée à distance afin de confirmer sa validité, et selon la valeur de la VPP, envisager d'autres utilisations.

► Pour en savoir plus, consulter [la page sur le développement et la mesure des PSI en France](#).

### IFAQ : incitation financière à la qualité

L'article 51 de la loi de financement de la sécurité sociale en 2015 a créé, pour les établissements de santé exerçant les activités de médecine, chirurgie et obstétrique, une dotation complémentaire pour rémunérer l'amélioration de la qualité et de la sécurité des soins. Après une première phase d'expérimentation IFAQ 1 ayant retenu 222 établissements, l'année 2015 a vu le dispositif monter en charge à l'occasion de la seconde phase d'expérimentation IFAQ 2 au cours de laquelle 490 établissements de santé ont été retenus pour participer. L'enveloppe dédiée à la rémunération des établissements classés en rang utile est passée de 14 millions à 30 millions d'euros.

Pour les 438 établissements remplissant les conditions d'éligibilité (notamment une certification sans réserve en V2010 comme en V2014), un score global a été calculé. Celui-ci était fondé sur les indicateurs de qualité et de sécurité des soins obligatoires, les décisions de

certification et les indicateurs d'Hôpital numérique. Les établissements ont été répartis en deux groupes en fonction de l'applicabilité ou non des indicateurs de spécialité. Les meilleurs de chacun des deux groupes ont été rémunérés en décembre 2015 soit 176 établissements (contre 93 l'année précédente).

En 2016, l'incitation financière à l'amélioration de la qualité sera généralisée et, sous réserve d'y être éligibles, tous les établissements de santé MCO pourront y concourir.

► Pour en savoir plus, consulter [la page sur l'incitation financière à l'amélioration de la qualité \(IFAQ\)](#).

## — Moyens d'information médicale



Dans le domaine de l'information médicale, la HAS contribue à améliorer la qualité de l'information délivrée aux professionnels de santé à travers des missions de certification.

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

### Certification des logiciels métiers et agrément des bases de données sur les médicaments

La certification des logiciels de soins a pour objectifs de réduire le risque d'iatrogénie médicamenteuse, d'améliorer l'efficacité de la prescription et de diminuer le coût des traitements à qualité égale de prise en charge.

Elle facilite également le travail des utilisateurs et favorise la conformité réglementaire de la prescription (notamment la prescription en dénomination commune internationale) et de la dispensation.

En application de l'article L. 161-38 du Code de la sécurité sociale, la HAS doit établir la procédure et le référentiel de certification pour les LAP de médecine ambulatoire, les LAP hospitaliers et les LAD d'officine. Après élaboration du schéma par la HAS, les certificats sont délivrés par un organisme accrédité par le Comité français d'accréditation (Cofrac). Depuis le 1<sup>er</sup> janvier 2015, ces certifications sont obligatoires.

Au 31 décembre 2015, 59 LAP de médecine ambulatoire et 54 LAP hospitaliers sont certifiés. En décembre 2015, la HAS a publié le schéma pour la certification des LAD d'officine. Les premières certifications de LAD d'officine devraient être délivrées d'ici juin 2016.

Par ailleurs, la loi de modernisation du système de santé a étendu le dispositif de certification des LAD des pharmacies à usage intérieur d'ici le 1<sup>er</sup> janvier 2018.

Pour compléter ces schémas de certification, la HAS a élaboré l'agrément des bases de données sur les médicaments (BdM).

Ces bases sont des outils informatiques répertoriant les informations sur les médicaments nécessaires à l'exercice des professionnels de santé. Les éditeurs de LAP et de LAD qui désirent postuler à une certification doivent recourir à une BdM agréée par la HAS. Au 31 décembre 2015, 5 BdM sont agréées.

► Pour en savoir plus, consulter [la page sur la certification des logiciels des professionnels de santé](#).

### Certification de la visite médicale

La HAS a engagé les travaux de mise à jour de la procédure de certification, conséquence de la signature d'une nouvelle charte le 15 octobre 2014 par le CEPS et le LEEM.

On parlera dorénavant de certification de « l'activité d'information par démarchage ou prospection visant à la promotion des médicaments » ou « certification de l'information promotionnelle ».

Conformément à la note de cadrage validée par le Collège de la HAS en décembre 2014, l'élaboration de la nouvelle procédure de certification a été réalisée en trois phases : partage d'expérience dans des groupes de travail avec des professionnels de santé et des industriels du médicament (différents métiers représentés), écriture d'un projet de référentiel de certification par la HAS, consultation des parties prenantes et des organisations publiques concernées.

---

# 39

LAP en médecine ambulatoire certifiés en 2015 (sur 56 logiciels certifiés au total)

# 39

LAP hospitaliers certifiés en 2015 (sur 54 logiciels certifiés au total)

# 1

référentiel de certification par essai de type des LAD en officine

# 2

bases de données sur les médicaments agréées en 2015 (5 bases agréées au total)

---

Les deux premières phases ont été réalisées en 2015, la troisième début 2016.

Quatre-vingt-quinze professionnels ont participé aux groupes de travail qui abordaient différents sujets (situations de promotion, articulation entre la promotion et d'autres activités, engagement de l'entreprise, formation, recours à la prestation...).

Parallèlement, la HAS a publié des dispositions transitoires décrivant les conditions pour passer du référentiel établi en 2009 à celui à adopter en 2016. La HAS a également effectué, en collaboration avec le Comité français d'accréditation (Cofrac), le travail de mise à jour des exigences d'accréditation des organismes certificateurs, nécessité par le nouveau référentiel. Pendant ces travaux, la HAS continue d'assurer la maintenance de la certification. Le nombre d'entreprises certifiées est stable : 134 entreprises exploitantes et 51 entreprises prestataires.

► Pour en savoir plus, consulter [la page sur la certification de l'information promotionnelle](#).



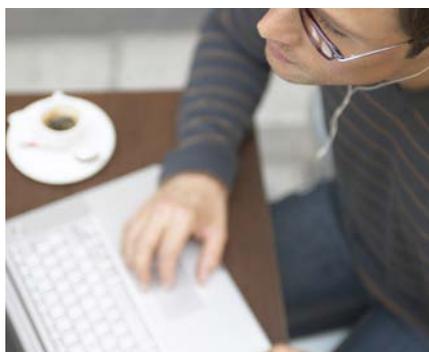
# Outils pour la qualité et la sécurité des soins

<b>■ Démarches qualité et pertinence des soins</b>	<b>33</b>
- DPC : l'enseignement en ligne est en marche !	33
- De nouveaux travaux pour favoriser le développement de la chirurgie ambulatoire	33
- Programme psychiatrie et santé mentale : une approche pragmatique et soucieuse d'éthique	33
- Pertinence de la chirurgie de la lombalgie chronique	34
- Cataracte : pertinence de la chirurgie	34
<b>■ Parcours de soins</b>	<b>34</b>
- Dossier de liaison d'urgence	34
- Check-list « sortie d'hospitalisation supérieure à 24 h »	34
- Organiser le retour au domicile après une hospitalisation	35
- Personnes âgées en institution : réduire les hospitalisations non programmées	35
- Améliorer la prise en charge des personnes âgées polypathologiques	36
- Personnes âgées en risque de perte d'autonomie : bilan du plan personnalisé de santé	36
- Parcours de soins des personnes âgées : bilan	36
- Démarche centrée sur le patient : information, conseil, éducation thérapeutique, suivi	36
- Des productions pour la structuration des soins primaires	36
- Coopération entre professionnels de santé – article 51	36
<b>■ Sécurité du patient</b>	<b>37</b>
- La HAS centre sa stratégie sur l'équipe et les patients, acteurs clés de la diminution des risques associés aux soins	37
- Sécuriser la prise en charge médicamenteuse en établissement de santé	38

La HAS élabore des outils, guides et méthodes afin d'améliorer la prise en charge des patients et la sécurité des soins. Ces publications s'adressent aux professionnels de santé pour les guider et les soutenir dans leur projet d'amélioration.

D'autres sont à destination des patients et de leurs proches dans le but de les informer et les éclairer.

## — Démarches qualité et pertinence des soins



Pour contribuer à la régulation du système de santé par la qualité et l'efficacité, la HAS produit des outils dont l'objectif est d'encourager les démarches qualité et la pertinence des soins.

En 2015, la HAS a notamment publié un guide pour promouvoir les bonnes pratiques d'*e-learning*, de nouveaux outils pour le développement de la chirurgie ambulatoire, ou encore des recommandations sur la pertinence de la chirurgie de la lombalgie chronique. La HAS a également entamé un travail sur la pertinence de la chirurgie de la cataracte.

### DPC : l'enseignement en ligne est en marche

Les outils numériques permettent aujourd'hui de développer des formations à distance et de favoriser les interactions entre participants et formateurs. Soucieuse de développer des approches pédagogiques nouvelles et de qualité, la HAS a publié un guide pour promouvoir les bonnes pratiques d'*e-learning* dans le cadre du développement professionnel continu (DPC).

Destiné aux professionnels de la formation en santé, ce guide apporte des éléments concrets pour construire des programmes *e-learning* de qualité et per-

tinents pour les professionnels de santé. Il fait le point sur l'existant, les processus d'élaboration des formations, l'évaluation de ces programmes ainsi que sur les aspects économiques et juridiques.

Par ailleurs, il met en exergue le fait qu'une formation en ligne n'est pas la transposition d'un cours présentiel et que l'élaboration d'une telle formation doit s'appuyer sur des éléments techniques

précis afin de créer un contenu qualitatif et adapté.

► Pour en savoir plus, consulter [le guide de conception de formation ouverte et à distance](#).

### De nouveaux travaux pour favoriser le développement de la chirurgie ambulatoire

Depuis 2012, la HAS est engagée avec l'Agence nationale d'appui à la performance (Anap) dans un programme visant à favoriser le développement de la chirurgie ambulatoire en France. La HAS a mis à disposition des établissements de santé, en 2015, de nouveaux outils. Il s'agit des outils d'évaluation de cette activité (grille patient traceur) et d'un logiciel de *microcosting* leur permettant d'analyser les coûts de production des gestes pratiqués en chirurgie ambulatoire.

L'objectif est à la fois économique et organisationnel. Ce logiciel permet non seulement à un établissement utilisateur de calculer le coût complet instantané du geste considéré mais également de simuler la variation du coût unitaire du geste étudié, en fonction du volume de patients traités ou de nouvelles modalités d'organisation. La HAS a également développé des indicateurs de processus et de résultats afin d'évaluer et améliorer la qualité et la sécurité des soins.

► Pour en savoir plus, consulter [la page sur le développement de la chirurgie ambulatoire](#).

### Programme psychiatrie et santé mentale : une approche pragmatique et soucieuse d'éthique

L'Organisation mondiale de la santé estime que 25 % de la population mondiale est concernée à un moment ou un autre de sa vie par un trouble mental. Il s'agit de la première cause d'invalidité professionnelle et l'impact sur la vie des personnes et de leur entourage et les coûts de la maladie mentale sont très importants.

#### Pertinence

1

fiche pertinence « Place de la chirurgie de la lombalgie chronique de l'adulte »

1

note de problématique « Intervention sur le cristallin avec ou sans vitrectomie »

1

avis sur un projet de mémo : « Quand réaliser une amygdaléctomie chez l'enfant ou l'adolescent (moins de 18 ans) ? »

#### DPC

1

fiche méthode : « Certification des coordinations hospitalières de prélèvement d'organes et/ou de tissus »

1

guide *e-learning*

Dès 2013, la HAS a mis en place un pilotage spécifique associant les différents acteurs du domaine dont l'objectif est d'organiser la coordination des productions dans le champ de la psychiatrie et de la santé mentale et de renforcer la concertation avec les acteurs en créant un comité de suivi. Ce comité, présidé par le Dr Yvan Halimi, s'attache ainsi à prendre en compte les particularités de la psychiatrie, à renforcer le dialogue avec les différents acteurs et à ancrer les productions dans la réalité du terrain. Il est porteur de ces objectifs et de l'ambition d'obtenir des améliorations concrètes pour les patients et leurs proches.

Il est notamment attendu sur des thèmes majeurs comme la prise en charge des troubles mentaux fréquents en premier recours, le parcours des personnes en situation de handicap physique, les droits et la sécurité en psychiatrie. Dans ce contexte, la HAS a publié en 2015 une fiche mémo sur le trouble bipolaire et de nombreux travaux en cours devraient être publiés en 2016.

► Pour en savoir plus, consulter [le programme « psychiatrie et santé mentale »](#).

## Pertinence de la chirurgie de la lombalgie chronique

La lombalgie chronique est un vrai problème de santé publique, tant du point de vue de son poids économique que de ses conséquences psychosociales. Face à une hétérogénéité des pratiques concernant le taux de recours à l'hospitalisation pour une intervention majeure sur le rachis, la HAS a publié des recommandations. Elles concernent la pertinence de la chirurgie de la lombalgie dégénérative d'origine discogénique, facettaire ou mixte.

Idéalement, le traitement de la lombalgie chronique comporte une éducation du patient, une rééducation active, une prise en charge cognitive axée sur les croyances et les peurs liées à la douleur et le recours aux antalgiques. Ainsi, avant d'envisager un geste chirurgical, la HAS recommande notamment d'effectuer une évaluation multidimensionnelle du patient (prenant en compte le parcours du patient). Il est également important d'informer le patient sur les options thérapeutiques disponibles dans le cadre d'une décision médicale partagée.

► Pour en savoir plus, consulter [la fiche pertinence « Place de la chirurgie de la lombalgie chronique de l'adulte »](#) et [la recommandation de bonne pratique](#).

## Cataracte : pertinence de la chirurgie

La cataracte est une opacification du cristallin qui entraîne une dégradation progressive de la vision. La chirurgie peut être proposée au patient lorsque l'altération de la fonction visuelle ne lui permet plus de pratiquer ses activités habituelles.

En 20 ans, la chirurgie de la cataracte s'est considérablement améliorée, les complications peropératoires et postopératoires sont beaucoup plus rares et leur gestion meilleure. Par ailleurs, les patients travaillent plus vieux et leurs contraintes visuelles augmentent. Cependant, il a été constaté une grande disparité du taux de recours à la chirurgie de la cataracte en France, notamment selon les régions.

Face à ces constats, la HAS a été saisie afin de redéfinir les indications de la chirurgie de la cataracte en s'appuyant sur les recommandations internationales existantes. De nouvelles recommandations sur la pertinence de l'indication de la chirurgie de la cataracte sont en cours d'élaboration et devraient être publiées par la HAS courant 2016.

## — Parcours de soins



Les parcours de santé cherchent, par la coordination des acteurs sanitaires, sociaux et médico-sociaux, et en lien avec les usagers, à garantir la continuité, l'accessibilité, la qualité, la sécurité et l'efficacité de la prise en charge de la population.

Le développement de ces parcours, au cœur de la stratégie nationale de santé et de la loi de modernisation du système de santé, vise à répondre au défi posé par les évolutions progressives du système de santé.

La HAS a ainsi fait des parcours de soins une priorité et mène des actions multiples en lien avec les différents acteurs de son environnement.

## Dossier de liaison d'urgence

Chaque résident en établissement d'hébergement pour personnes âgées dépendantes (Ehpad) doit disposer d'un dossier de liaison d'urgence (DLU) mis à jour et accessible 24 h/24. Il permet notamment de diminuer les hospitalisations non programmées inappropriées ou potentiellement évitables, qui peuvent désorienter ou fragiliser les personnes âgées. Ce dossier, qui contient des informations administratives, médicales et de soins, est essentiel pour que les soignants puissent prendre en charge, en urgence, un patient âgé résidant en Ehpad. C'est également un support de communication entre le soignant non médecin prenant en charge une urgence dans l'Ehpad et le médecin régulateur du Samu-Centre 15.

En 2015, la HAS a publié une nouvelle version du DLU en collaboration avec l'Agence nationale de l'évaluation et de la qualité des établissements et services sociaux et médico-sociaux (Anesm). Objectifs : faciliter le transfert des informations strictement nécessaires et utiles et structurer le DLU pour faciliter sa mise à jour régulière.

► Pour en savoir plus, consulter [le « dossier de liaison d'urgence »](#).

## Check-list « sortie d'hospitalisation supérieure à 24 h »

Organiser la sortie d'hospitalisation afin d'éviter les ruptures de parcours et les réadmissions non programmées est une exigence de service rendu aux patients et un indice essentiel de performance du dispositif de soins. Cela nécessite une évolution de la culture des soignants, le développement de nouvelles coopérations à l'intérieur et à l'extérieur des établissements et des ajustements de l'organisation des services de soins.

Pour aider les équipes soignantes à atteindre ces objectifs, la HAS a publié la *check-list* « sortie d'hospitalisation supérieure à 24 h ». Véritable outil d'apprentissage et de formation, cette *check-list* est structurée autour de trois grands axes : le repérage dès l'entrée des facteurs de risque de réhospitalisation, l'attention portée à l'information du patient et à la continuité avec les équipes de soins primaires et la logistique de sortie qui doit être appropriée.

Des outils complémentaires sont également proposés pour identifier les facteurs de risque de réhospitalisation et établir de façon simplifiée un « bilan social » des patients.

## Parcours de soins

# 22

actualisations de listes d'actes et de prestations

# 1

guide méthodologique

# 4

fiches points clés et solutions

# 1

mise au point sur l'implication des patients dans leur parcours de soins

# 9

outils d'accompagnement des parcours de soins

# 1

avis sur référentiel de la Cnamts (Prado, plaies chroniques)

# 1

bilan à 6 mois sur la mise en œuvre du plan personnalisé de santé (PPS) Paerpa

## Article 70

# 1

rapport d'évaluation des expérimentations menées dans le cadre de l'article 70 concernant les nouveaux modes d'organisation des soins destinés à optimiser les parcours de soins des personnes âgées en risque de perte d'autonomie

## Protocoles de coopération

# 14

protocoles reçus

# 8

avis favorables rendus

# 1

avis défavorable

# 1

rapport établissant le bilan du dispositif et réalisant l'évaluation des protocoles pour l'année 2014

► Pour en savoir plus, consulter [la check-list « sortie d'hospitalisation supérieure à 24 h »](#).

### Organiser le retour au domicile après une hospitalisation

La période qui suit une hospitalisation pour insuffisance cardiaque aiguë est associée à un risque d'hospitalisations itératives précoces et un sur-risque de décès à court et à moyen terme. Ces risques sont plus fréquents chez les patients présentant un syndrome gériatrique (chute, dénutrition, troubles cognitifs ou thymiques), des problèmes de médicaments, un accès limité aux soins et à l'expertise. Une coopération pluriprofessionnelle basée sur une clarification de la stratégie médicale, et assurant un renforcement de la surveillance clinique et une éducation thérapeutique précoce et adaptée, améliore la prise en charge au domicile et le pronostic de ces malades. La fiche points clés met l'accent sur les

objectifs prioritaires à prendre en compte lors du retour au domicile et souligne notamment l'importance de l'activité physique et de la réadaptation à l'effort.

Cette fiche fait suite aux fiches publiées en 2014 « Comment prévenir les réhospitalisations d'un patient diabétique avec plaie du pied ? », « Comment prévenir les réhospitalisations après une exacerbation d'une bronchopneumopathie chronique obstructive ? ».

► Pour en savoir plus, consulter [la fiche « Organiser la sortie après une hospitalisation pour insuffisance cardiaque aiguë »](#).

### Personnes âgées en institution : réduire les hospitalisations non programmées

Les hospitalisations non programmées des résidents des établissements d'hébergement pour personnes âgées dépendantes (Ehpad) sont fréquentes et

parfois inappropriées ou évitables. Elles peuvent avoir un impact négatif chez ces patients souvent fragiles et favorisent leur déclin fonctionnel ou cognitif.

Afin d'aider les Ehpad à réduire les transferts des résidents vers les services d'urgence, la HAS, en collaboration avec l'Anesm, a réalisé une fiche points clés « Comment réduire les hospitalisations non programmées des résidents des Ehpad ». Celle-ci se propose de décrire les interventions efficaces en termes d'organisation et de moyens. Ces interventions utilisent quatre leviers : améliorer la qualité des soins en Ehpad, agir sur les causes les plus fréquentes d'hospitalisations non programmées, optimiser les ressources internes et renforcer les ressources externes. Par ailleurs, il est également essentiel de déployer une démarche d'amélioration continue de la qualité autour des urgences.

► Pour en savoir plus, consulter [la fiche points clés](#).

## Améliorer la prise en charge des personnes âgées polypathologiques

La prévalence des maladies chroniques augmente régulièrement, notamment en raison de l'allongement de l'espérance de vie. À partir de 75 ans, la présence simultanée d'au moins deux maladies chroniques est très fréquente. Elle se traduit par un nombre croissant de personnes âgées nécessitant des soins pour plusieurs pathologies chroniques.

Aux difficultés diagnostiques en rapport avec la polypathologie s'ajoutent les risques liés à la polymédication et à la multiplicité des prescripteurs.

Face à cette complexité, le médecin traitant assure la prise en charge de ces patients et coordonne leur parcours en concertation avec les différents acteurs. C'est dans ce contexte que la HAS a publié une fiche points clés sur la prise en charge des personnes âgées polypathologiques en soins primaires. Objectif : proposer une prise en charge à travers une approche globale adaptée aux spécificités des personnes âgées afin de personnaliser leur parcours et d'accompagner l'organisation des professionnels dans les territoires. Cette fiche, qui s'adresse tant aux professionnels de santé qu'aux agences régionales de santé (ARS), propose d'améliorer la coordination des parcours autour de trois phases clés : l'identification des patients polypathologiques, l'évaluation des problèmes médicaux et de la situation de la personne, et le suivi et les réévaluations des diagnostics et des traitements avec le patient et son entourage.

► Pour en savoir plus, consulter [la fiche points clés « Prendre en charge une personne âgée polypathologique en soins primaires »](#).

## Personnes âgées en risque de perte d'autonomie : bilan du plan personnalisé de santé

Dans le cadre de la mise en œuvre des expérimentations « personnes âgées en risque de perte d'autonomie » (Paerpa), qui visent à réduire les ruptures dans le parcours de santé des personnes âgées et faciliter l'aide des aidants naturels, la HAS a élaboré un modèle de plan personnalisé de santé (PPS) en 2013. Elle s'est alors engagée à suivre le devenir de cet outil dans Paerpa. Ce suivi a permis en 2014 de proposer une nouvelle version du PPS ainsi qu'un questionnaire d'aide à la décision d'initier un PPS chez des patients de plus de 75 ans.

Fin 2015, la HAS a réalisé un bilan à 6 mois. Près de 1 400 PPS ont été créés, ce qui montre un vrai déploiement de cet outil. Ce premier point d'étape a ainsi confirmé l'intérêt et la cohérence de la démarche ainsi que son appropriation par les personnes concernées et les professionnels. Le PPS répond donc à l'objectif d'aider les professionnels de ville à mettre en œuvre un raisonnement et une pratique adaptés à la prise en charge gériatrique.

La mise en œuvre du PPS reste néanmoins hétérogène, dépendant étroitement des modes d'exercice. Cette démarche appelle un accompagnement des équipes. Ainsi, afin de participer à l'efficacité et à l'efficience du PPS, la HAS s'est engagée à accompagner les dynamiques de changement des pratiques professionnelles induites par cet outil et à faire connaître les expériences réussies de travail en équipe.

► Pour en savoir plus, consulter [le plan personnalisé de santé \(PPS\) Paerpa](#).

## Parcours de soins des personnes âgées : bilan

L'article 70 de la loi de financement de la sécurité sociale (LFSS) 2012 a pour objectif de développer de nouveaux modes d'organisation des soins visant à prévenir l'hospitalisation en améliorant la gestion de sortie d'hospitalisation des personnes âgées. Il est constitué de deux modules indépendants :

- un module pour la prévention de l'hospitalisation ;
- un module pour la coordination en sortie d'hospitalisation.

Il y a une pluralité d'acteurs avec la présence d'établissements hospitaliers et l'implication des acteurs sanitaires, sociaux et médico-sociaux.

La HAS est chargée de l'évaluation des expérimentations article 70. Trois rapports ont été réalisés, mettant en avant les actions menées sur les territoires par les professionnels selon une grille standardisée. La HAS a indiqué dans son rapport publié en 2015 les difficultés auxquelles elle a été confrontée pour recueillir des données quantitatives.

La question de la pertinence de la poursuite de son évaluation nationale a été posée et la HAS a proposé une articulation en termes d'évaluation entre les expérimentations article 70 et les dispositifs Paerpa (art. 48 de la LFSS 2013).

Dans une logique de reconduction des conventions actuelles jusqu'à fin 2017 pour les équipes article 70, il a été

convenu par la Direction de la sécurité sociale que la plateforme de l'Agence nationale d'appui à la performance (Anap) de recueil des indicateurs d'évaluation arrêtés dans les dispositifs pilotes servant pour Paerpa serait proposée comme outil de recueil unique pour les expérimentations article 70.

► Pour en savoir plus, consulter [la page « Expérimentation article 70 »](#).

## Démarche centrée sur le patient : information, conseil, éducation thérapeutique, suivi

Afin de promouvoir une démarche centrée sur le patient, la HAS a publié en mai 2015 un document qui décrit comment aboutir à la construction d'une option de soins, au suivi de sa mise en œuvre et à son ajustement dans le temps en s'appuyant sur une relation de partenariat entre le patient, ses proches et le professionnel de santé ou une équipe pluriprofessionnelle. Cette démarche permet le développement et le renforcement de la capacité de décision et d'action du patient tout au long de son parcours (écoute, information, conseil, décision partagée) ; l'acquisition de compétences d'autosoins, d'adaptation et de gestion de la ou des maladies (éducation thérapeutique) ; l'encouragement des comportements bénéfiques à la santé, le soutien de la motivation du patient à se soigner (continuité des soins, suivi, réajustement).

► Pour en savoir plus, consulter [le site Internet de la HAS](#).

## Des productions pour la structuration des soins primaires

La « matrice de maturité » (*maturity matrix* des Anglo-Saxons) précise utilement les quatre axes principaux selon lesquels une équipe de soins primaires s'organise et développe son action : la notion d'un territoire d'exercice, les modalités variables d'un travail en équipe, les potentialités d'un système d'information et les modalités d'implication des patients.

Cette matrice a été complétée par une fiche points clés pour l'élaboration des protocoles pluriprofessionnels qui constituent un élément essentiel du travail en équipe, afin d'aider les professionnels en exercice.

## Coopération entre professionnels de santé – article 51

Face aux nombreux défis comme l'augmentation du nombre des mala-

dies chroniques, le vieillissement de la population, la prise en charge des polyopathologies, les évolutions des techniques et technologies, des leviers d'actions sont disponibles. Il s'agit notamment des coopérations entre professionnels de santé. Suite aux expérimentations initiées par le Pr Berland, qui ont montré des résultats bénéfiques pour le patient, la loi HPST du 21 juillet 2009 a intégré l'article 51 visant à étendre le principe de coopération en le sortant du cadre expérimental. Il permet aux professionnels de santé, selon la loi, « d'opérer entre eux des transferts d'activités, ou d'actes de soins, ou de réorganiser leurs modes d'intervention

auprès du patient ». Le dispositif a intégré, par le décret n° 2014-919 du 18 août 2014, l'installation d'un collège de financeurs qui se prononce sur le modèle économique des protocoles.

La HAS, quant à elle, porte son attention sur les éléments de qualité et de sécurité des prises en charge déléguées.

En novembre 2015, la HAS a publié un bilan de ce dispositif sur la base de l'évaluation 2014 des protocoles mis en œuvre. Il est ressorti qu'en mettant en évidence certaines thématiques, déployées sur un territoire, et en permettant de structurer la coordination interprofessionnelle, par un cadre garant de la qualité

et de la sécurité des prises en charge, le dispositif article 51 représente une des bases vers une mutation des pratiques professionnelles. Sous l'impulsion des différents acteurs (DGOS, collège des financeurs, ARS, HAS et professionnels), les protocoles de coopération pourraient évoluer vers de nouvelles formes d'organisation professionnelle.

► Pour en savoir plus, consulter [la page « Coopération entre professionnels de santé : élaboration d'un protocole de coopération – Article 51 de la loi HPST »](#).

## — Sécurité du patient



La sécurité du patient a pour objectif de limiter la survenue des événements indésirables ou d'en limiter les conséquences quand ils surviennent.

La HAS s'est fortement investie dans ce domaine en développant des outils et méthodes. L'enjeu aujourd'hui est d'intégrer ces productions dans une stratégie de développement d'une culture sécurité, de confiance des professionnels et de retour d'expérience.

En 2015, la HAS s'est notamment mobilisée pour réduire les risques associés aux soins et sécuriser la prise en charge médicalement en établissement de santé.

### La HAS centre sa stratégie sur l'équipe et les patients, acteurs clés de la diminution des risques associés aux soins

Un patient hospitalisé sur dix subirait un événement indésirable lors de ses soins (EIAS). Contrairement aux idées reçues, l'erreur individuelle du professionnel n'est pas la cause principale de tels événements. En effet, les données recueillies à ce jour mettent en cause d'autres dysfonctionnements.

Dans un cas sur trois, c'est le travail en équipe, dont la communication entre professionnels et vers le patient, qui en est la cause.

### Sécurité du patient

18

organismes agréés pour l'accréditation des médecins

920

certificats d'accréditation en 2015 sur un total de 14 438 certificats délivrés depuis le début de la démarche

9 524

médecins actifs dans la démarche d'accréditation dont 1 933 engagés (non encore accrédités) et 7 591 accrédités au 31 décembre 2015

10 507

EIAS (événements indésirables associés aux soins) analysés et acceptés en 2015 sur un total de 85 433 EIAS enregistrés et acceptés dans la base REX

23

équipes engagées dans le dispositif d'accréditation en 2015

7

équipes accréditées en 2015

2

solutions pour la sécurité du patient réalisées (coopération anesthésistes-réanimateurs et chirurgiens ; nouvelle version de la *check-list* au bloc opératoire)

## Deux leviers de la HAS sur le fonctionnement des équipes : Pacte et l'accréditation des médecins

L'équipe ayant été identifiée comme la première cause profonde d'un événement porteur de risque, la HAS a lancé une expérimentation novatrice dite « Pacte » (programme d'amélioration continue du travail en équipe) pour aider les équipes pluriprofessionnelles à travailler sur les facteurs organisationnels et humains (l'écoute, l'entraide, la prise en compte du stress, la communication...). Depuis avril 2014, 18 équipes ont déjà expérimenté la démarche. Après un an et demi d'expérimentation, les équipes ont engagé des actions sur la gestion des risques, la communication et la synergie d'équipe. Ce programme entame une phase pilote plus large avec une soixantaine d'équipes toutes volontaires. Il est envisagé à terme de valoriser ces équipes au niveau de la certification des établissements de santé.

Par ailleurs, pour sortir des logiques individuelles, la HAS encourage la démarche en équipe dans le dispositif d'accréditation. Mise en place pour les médecins exerçant une spécialité ou une activité « à risque » en établissement de santé, l'accréditation est une démarche principalement individuelle de gestion des risques. Désormais, ce sont plus de 20 équipes qui se sont engagées dans le dispositif, trois équipes en gastro-entérologie, trois en anesthésie-réanimation et une en neurochirurgie ont été accréditées par la HAS en 2015.

Enfin, en lien avec le dispositif d'accréditation des médecins et des équipes médicales, deux solutions pour la sécurité du patient ont vu le jour, se faisant écho de la nécessité de soutenir la coopération entre professionnels et le travail en équipe.

► Pour en savoir plus, consulter la rubrique « [Accréditation et certification](#) ».

### Les revues de morbi-mortalité (RMM)

Les RMM constituent un moyen et un espace privilégié pour analyser collectivement un EIAS. Il s'agit de s'engager dans une démarche d'amélioration de la qualité en décrivant les faits et en analysant des situations qui se sont produites. Il s'agit de comprendre ce qu'il s'est passé afin d'apprendre et d'agir ensemble pour renforcer la qualité des soins et la sécurité des patients.

La mise en place d'une RMM apporte ainsi la preuve de la réactivité des professionnels de santé face à une situation de risque qui pourrait se renouveler.

## Pacte (programme d'amélioration continue du travail en équipe)

- 18 équipes ont réalisé un 1<sup>er</sup> bilan de l'expérimentation Pacte.
- La phase pilote du projet a été lancée avec une soixantaine d'équipes et l'ouverture d'une plateforme informatique spécifique, plus de 100 personnes ont été initiées au CRM (Crew Resource Management) santé (méthode d'animation pour faire du diagnostic du fonctionnement en équipe).

Depuis 2010, les RMM sont obligatoires dans certains secteurs d'activité en établissement de santé, néanmoins ces démarches doivent faire partie intégrante de l'activité habituelle de tous les autres secteurs. Elles ont pour objectifs à la fois d'améliorer les pratiques suite aux actions mises en œuvre et de faire évoluer la culture de sécurité des professionnels en les familiarisant avec l'analyse approfondie des EIAS. Afin de promouvoir le déploiement de cette activité auprès des professionnels de santé, la HAS a réalisé des vidéos mettant en évidence les étapes clés du succès en RMM.

► Pour en savoir plus, consulter la rubrique « [Sécurité du patient](#) ».

## Sécuriser la prise en charge médicamenteuse en établissement de santé

L'erreur médicamenteuse est l'omission ou la réalisation non intentionnelle d'un acte relatif à un médicament, qui peut être à l'origine d'un risque ou d'un événement indésirable pour le patient.

Or 40 % des événements indésirables graves (EIG) survenant dans les établissements de santé sont liés au médicament

dont 52 % sont évitables. Sécuriser le circuit du médicament en établissement de santé fait partie des priorités de la HAS. L'une des réponses pour réduire le risque d'erreurs médicamenteuses lié à la prescription consiste à réaliser la conciliation des traitements médicamenteux aux points de transition du parcours de soins.

Pour la première fois en France, et suite à l'expérimentation Med'Rec menée par la HAS, la conciliation des traitements est définie comme un processus formalisé qui prend en compte, lors d'une nouvelle prescription, tous les médicaments pris et à prendre par le patient. Elle associe le patient, repose sur le partage d'informations et sur une coordination pluriprofessionnelle. Elle prévient ou corrige les erreurs médicamenteuses en favorisant la transmission d'informations complètes et exactes sur les médicaments du patient, entre professionnels de santé, aux points de transition que sont l'admission, la sortie et les transferts.

► Pour en savoir plus, consulter les questions-réponses « [Sécuriser la prise en charge médicamenteuse en établissement de santé](#) » et le rapport d'expérimentation Med'Rec.

## Le Collège de la HAS a validé en 2015 :

- en lien avec la sécurisation de la prise en charge médicamenteuse :
  - les résultats de la consultation publique sur l'auto-administration des médicaments en établissement de santé,
  - le guide Med'Rec sur la conciliation des traitements médicamenteux ;
- un outil de communication soignant soigné appelé « Faire dire » ;
- le rapport d'expérimentation de la gestion des risques en équipe ;
- le guide pour l'évaluation des structures de simulation en santé ;
- deux solutions pour la sécurité du patient ;
- et pour les soins de ville, un outil pour analyser un EIAS dans le cadre d'un exercice hors établissement de santé et la classification des EIAS rencontrés hors établissement de santé.



# La HAS

■ Organisation	41
■ Missions	46
■ Relations internationales	47
■ Associations de patients et d'usagers	50
■ Communication et information des publics	52
■ Textes législatifs et réglementaires parus en 2015/2016	58
■ Fonctionnement	60
■ Compte financier 2015	64



# Organisation

## Statut

La HAS est une autorité publique indépendante à caractère scientifique dont le but est de contribuer à la régulation du système de santé par la qualité et l'efficacité.

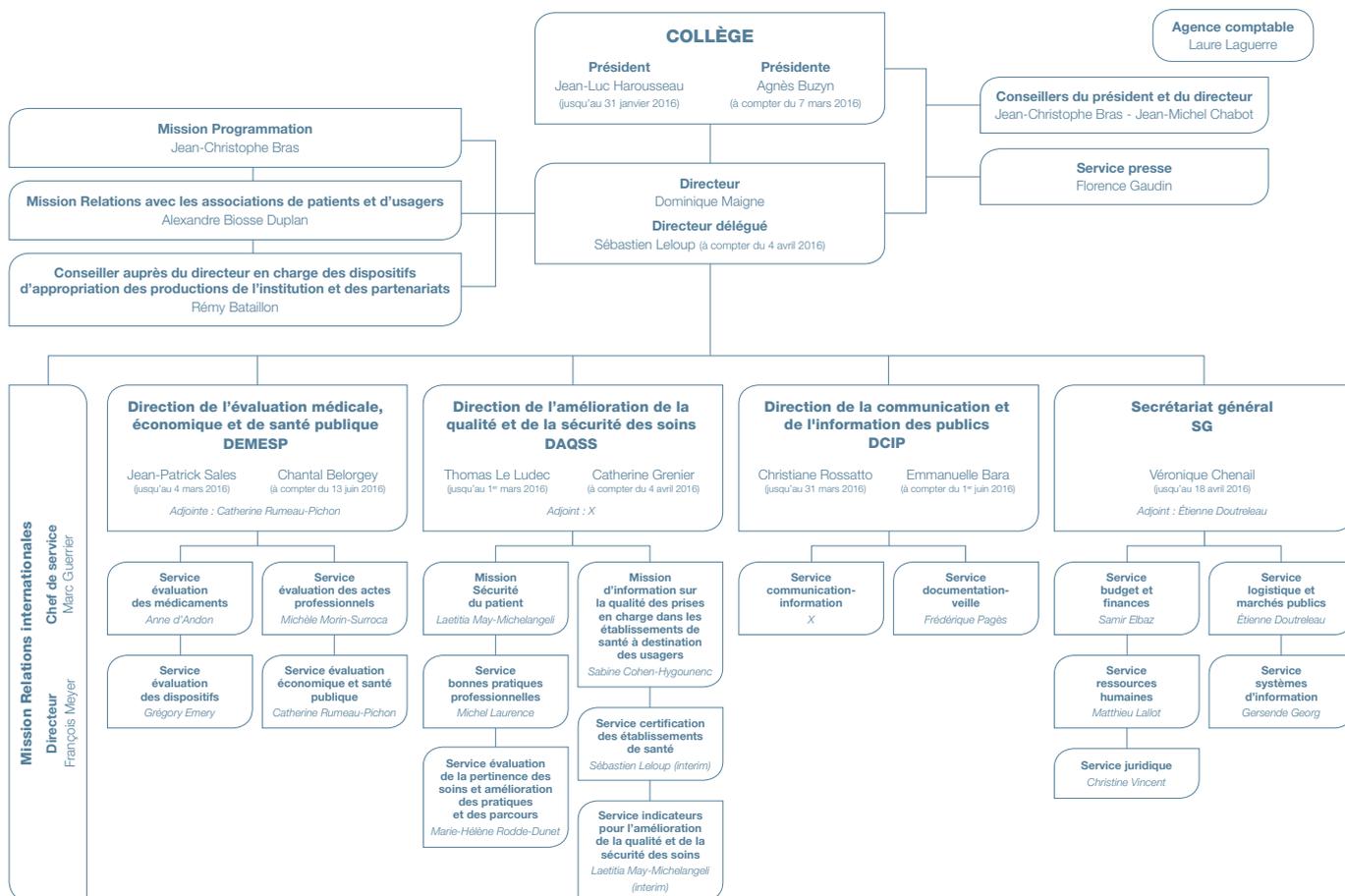
Pour l'année 2015, son budget exécuté en dépense s'est élevé à 55,6 M€ contre 50,6 M€ pour l'année 2014.

La HAS est organisée autour de :

- un Collège de 8 membres, présidé par le Pr Agnès Buzyn, qui a succédé au Pr Jean-Luc Harousseau en mars 2016 ;
- 7 commissions spécialisées ;

- 3 directions opérationnelles, un secrétariat général et des services, dirigés par M. Dominique Maigne ;
- 400 collaborateurs ;
- une file active de 3 000 experts et professionnels de santé externes, dont près de 600 experts-visiteurs.

## Organigramme (au 1<sup>er</sup> mai 2016)



Retrouvez tous les organigrammes de la HAS par direction, sur [www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr)

## — Gouvernance

### Le Collège de la HAS

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.

Le Collège de la HAS est composé de huit membres, nommés par décret du président de la République, deux sur pro-

113  
avis du Collège

288  
décisions du Collège  
(non comptabilisées les  
décisions de la certification)

position 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.

### Commission de la transparence (CT)

La CT, présidée par le Pr Loïc Guillevin, a pour missions de :

- donner un avis aux ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale sur la prise en charge des médicaments, notamment au vu de leur service médical rendu (SMR) qui prend en compte la gravité de la pathologie, l'efficacité et les effets indésirables du médicament, et sa place dans la stratégie thérapeutique, ainsi que de l'amélioration du service médical rendu (ASMR) qu'ils sont susceptibles d'apporter par rapport aux traitements déjà disponibles ;
- contribuer au bon usage du médicament en publiant une information scientifique pertinente et indépendante sur les médicaments.

► Retrouvez [la composition de la CT sur le site web de la HAS](#).



“ 2015 a vu s'installer un nouveau Forfait innovation rapide et plus simple. Les dispositifs innovants n'ayant pas encore établi leur bénéfice pourront bénéficier d'un remboursement temporaire associé au financement de l'étude pour recueillir les données manquantes. ”

**Pr Jacques Belghiti, président de la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé**

“ Recommander des éléments de stratégie thérapeutique c'est mettre au service des personnes malades toute l'expertise médicale et médico-économique apportée par la HAS. C'est la mission des cliniciens et des représentants de patients au sein de la commission des stratégies de prises en charge. ”

**Alain Cordier, président de la commission des stratégies de prise en charge**



“ L'année 2015 a été marquée par l'évaluation des compétences, individuelle et en équipe, s'inspirant des expériences internationales, notamment celle de la Hollande où nous nous sommes rendus avec Yvonnick Morice. ”

**Pr Jean-Michel Dubernard, chargé de la mission sur les comparaisons internationales en matière d'accréditation**

“ Quand médecins et patients décident ensemble, c'est plus de qualité, de sécurité et d'éthique. C'est pourquoi la commission information des patients porte l'ambition de coproduire avec eux les outils d'un vrai dialogue. ”

**Dr Cédric Grouchka, président de la commission information des patients**



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

Présidée par le Pr Jacques Belghiti, la CNEDiMITS a pour missions de :

- éclairer les pouvoirs publics sur les décisions de remboursement et contribuer à améliorer la qualité des pratiques professionnelles et des soins aux patients. La CNEDiMITS formule des recommandations sur des bases scientifiques et rend des avis en vue du remboursement par l'Assurance maladie des dispositifs médicaux à usage individuel ou d'autres produits à visée diagnostique, thérapeutique ou de compensation du handicap (à l'exclusion des médicaments) et des prestations associées, soit à la demande des fabricants, soit en réponse à des saisines ;
- évaluer certaines catégories de dispositifs médicaux financées dans les

prestations d'hospitalisation (intra-GHS) ;

- examiner toute autre question relative à l'évaluation et au bon usage des dispositifs médicaux et des technologies de santé, y compris ceux qui sont financés dans le cadre des prestations d'hospitalisation ;
- donner un avis sur les conditions d'inscription des actes et leur inscription à la classification commune des actes médicaux (CCAM) ainsi que sur leur radiation de cette liste ;
- élaborer des documents d'information destinés aux professionnels de santé.

► [Retrouvez la composition de la CNEDiMITS sur le site web de la HAS.](#)

## Commission évaluation économique et santé publique (CEESP)

La CEESP est désormais présidée par le Dr Jean-François Thébaut. Il a succédé

au président Jean-Luc Harousseau qui en a assuré la présidence jusqu'à son départ en janvier 2016.

Elle a pour missions de :

- 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 efficacité ;
- valider les études médico-économiques mettant en balance les effets bénéfiques des technologies de santé avec les ressources mobilisées ;
- rendre un avis médico-économique sur les actes, produits ou prestations de santé.

► [Retrouvez la composition de la CEESP sur le site web de la HAS.](#)



“ 2015 a été marquée par l'évaluation de nombreux produits innovants. Des avis intégrant les jugements portés par la CT ont été émis par le Collège, intégrant de nouveaux médicaments et stratégies thérapeutiques. De même, les évaluations de classes médicamenteuses, ainsi qu'une articulation avec la commission des stratégies de prise en charge ont été mises en place, permettant de renforcer les missions d'évaluation des médicaments. ”  
Pr Loïc Guillemin, président de la commission de la transparence

“ En 2015, une nouvelle version de la certification est progressivement déployée dans les établissements de santé. Le référentiel n'est pas modifié, mais les méthodes et outils évoluent, impliquant davantage les gouvernances, associant plus étroitement les usagers et mobilisant plus fortement les équipes soignantes. La HAS engage ainsi une étape déterminante dans l'amélioration de la qualité et de la sécurité des soins. ”

M. Yvonnick Morice, président de la commission certification des établissements de santé



“ 2015 a été une année placée sous le signe des nouvelles technologies de l'information et de la communication (NTIC) avec la publication du référentiel LAD, l'élaboration de la V2 du référentiel LAP, la migration vers le nouveau système de gestion SIAM 2 de l'accréditation des spécialités à risque ainsi que mise en chantier du guide de bon usage des applications santé et des objets connectés. ”

Dr Jean-François Thébaut, président des commissions évaluation économique et santé publique, et des parcours et des pratiques



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

## Commission certification des établissements de santé (CCES)

La CCES, présidée par M. Yvonnick Morice, 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 et 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 web de la HAS.](#)

## Commission des pratiques et des parcours (CPP)

La CPP, présidée par le Dr Jean-François Thébaut, 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 web de la HAS.](#)

## Commission des stratégies de prise en charge (CSPC)

La CSPC est présidée par M. Alain Cordier. En coordination avec les trois commissions réglementaires qui interviennent dans l'évaluation des produits de santé, elle 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 efficacité ;
- 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 web de la HAS.](#)

## Commission information des patients (CIP)

Créée en octobre 2015, la commission information des patients est une commission spécialisée, présidée par le Dr Cédric Grouchka.

Elle a pour missions de :

- proposer au Collège des documents et outils destinés à l'information du grand public, notamment pour favoriser la décision médicale partagée ;
- définir des modalités de diffusion et de communication de ces documents et outils.

Elle coordonne les travaux et son programme de travail avec ceux des autres commissions.

► [Retrouvez la composition de la CIP sur le site web de la HAS.](#)

## Arrivée des usagers à la CT et à la CNEDiMTS

Fin 2015, le Collège de la HAS a renouvelé les membres de deux commissions spécialisées : la commission de la transparence (CT) et la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS). L'entrée des usagers du système de santé dans ces deux instances est désormais prévue par le décret n° 2015-848 du 9 juillet 2015. Membres titulaires ou suppléants, ces usagers ont une voix délibérative et prennent donc part au vote. Cette évolution renforce ainsi le dynamisme de la démocratie sanitaire au sein de la HAS et conforte la place des usagers.

S'agissant de la CT, le Pr Loïc Guillevin conserve son poste de président. Cette commission compte 35 membres dont 10 nouveaux par rapport à son ancienne composition. Le Dr Jean-Pierre Thierry y a fait son entrée en tant que titulaire et membre du Lien (association de lutte contre les infections nosocomiales) et du Collectif interassociatif sur la santé (Ciss). Par ailleurs, le Pr Gérard Viens, membre du bureau national de l'Alliance maladies rares et du conseil d'administration de l'Association française du syndrome d'Angelman, est nommé suppléant.

S'agissant de la CNEDiMTS, le Pr Jacques Belghiti conserve son poste de président. Son renouvellement a concerné la majorité de ses membres. Un accent particulier a été mis sur l'expertise académique des nouveaux membres. Par ailleurs, la CNEDiMTS a intégré, en tant que titulaire, Pascal Sellier, membre de l'Union nationale des associations de familles de traumatisés crâniens et cérébro-lésés (UNAFTC). René Mazars, membre de l'Association française des polyarthritiques et des rhumatismes inflammatoires chroniques (AFPric), a été nommé suppléant.



# Missions

Dotée d'une mission générale de contribution à la régulation du système de santé par l'amélioration de la qualité en santé et l'efficacité, la HAS a vu le champ de ses missions s'élargir depuis 2005 par de nombreuses modifications législatives. Ces missions sont définies aux articles 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 définit des recommandations de bonne pratique clinique, des recommandations en 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, elle accrédite les praticiens de certaines disciplines médicales sur la base du volontariat. Elle certifie également 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 (Atih), 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](http://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 patients, programmes personnalisés de soins, information sur le dépôt d'un dossier d'évaluation d'un produit de santé, questions de l'ECN...

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

### La HAS accréditée par l'Isqua

*Pour la deuxième fois, la HAS a été accréditée par l'International society for quality in healthcare (Isqua), dans le cadre de son programme International accreditation program (IAP), pour l'organisation de son processus de certification (première accréditation en 2010).*

*Cinq recommandations ont été retenues par l'Isqua et devront faire l'objet de deux rapports de suivi avant la prochaine accréditation en 2018. Par rapport à la première accréditation, en 2010, le nombre de recommandations a fortement diminué (5 au lieu de 19) et 7 standards sur 10 ont obtenu la cotation maximale (contre 5 sur 8 en 2010).*



# 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 2015, la HAS s'est investie dans sept projets internationaux dont quatre dans le domaine de l'évaluation des technologies de santé ou *Health Technology Assessment* (HTA) et trois 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 projets européens dans le domaine de l'HTA

### *EUnetHTA JA2 (European network for HTA Joint Action 2)*

Cette action conjointe débutée 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.



## Forum HAS « HTA sans frontières »

Depuis sa création en 2005, la HAS s'est significativement impliquée dans le domaine de l'évaluation des technologies de santé (Health Technology Assessment, HTA).

C'est dans cette dynamique, qu'à l'occasion de ses 10 ans, la HAS a tenu à organiser le Forum HAS « HTA sans frontières » en association avec la Commission européenne.

Ce colloque international a réuni au ministère plus de 300 participants sur le thème de la coopération européenne en matière d'HTA, en présence de la ministre des Affaires sociales et de la Santé. Sous l'angle de la coopération européenne, le Forum HAS « HTA sans frontières » a proposé un partage d'expériences et une réflexion sur les avancées et les perspectives de l'HTA en Europe.

Le Forum s'est articulé en trois sessions animées par des opérateurs européens de l'HTA, institutionnels et parties prenantes (associations de patients, professionnels de santé, industriels, payeurs).

La première session était dédiée aux **dialogues précoces européens** (*early dialogues*) établis entre les institutions d'HTA et les entités développant des produits de santé. La discussion sur leur valeur ajoutée et l'intérêt de les conduire en parallèle avec les agences réglementaires d'enregistrement s'est fondée sur la présentation de deux projets européens : EUnetHTA JA2 dont la HAS est leader de la thématique « *early dialogue* » et Shaping European Early Dialogues for health technologies (SEED), reposant sur un consortium de 14 agences européennes d'HTA et coordonné par la HAS. Dans le cadre de ces deux projets, la HAS a coordonné et participé à l'ensemble des 22 *early dialogues* réalisés.

La deuxième session était consacrée aux défis méthodologiques (évaluation de la valeur, effets du traitement dans les conditions de vie réelle) auxquels est confrontée l'HTA pour les médicaments et les dispositifs médicaux. La présentation des deux projets européens – Advance HTA, portant sur l'utilisation de l'approche multicritères en complément de l'approche coût-efficacité et l'évaluation des médicaments orphelins (London School of Economics), et MedTech HTA, relatif aux méthodes d'évaluation des dispositifs médicaux (université Bocconi, Italie) – a permis d'étayer le débat.

La troisième session a permis d'explorer les nouvelles approches pour que l'HTA soit effectivement lisible et utile à tous les niveaux, de la prise de décision (politique, gestion des systèmes de santé, pratique des soins) jusqu'à l'utilisateur. Deux projets européens ont illustré cette problématique : AdHopHTA (Adopting Hospital-based HTA in EU), porté par la direction de recherche et d'innovation de l'hôpital de Barcelone en Espagne, et Integrate HTA, portant sur l'évaluation des technologies de santé complexes et piloté par l'institut de santé publique de l'université de Brême en Allemagne.

→ Pour en savoir plus, consulter [la page événement Forum HAS « HTA sans frontières »](#).

## Les dialogues précoces européens, initiative HAS dans le domaine de l'HTA : vers la mise en place d'un réseau de collaboration européenne pérenne autofinancé

La HAS a pris l'initiative d'organiser les premiers « dialogues précoces » ou « early dialogues » entre les entreprises développant des produits de santé et des agences européennes d'HTA. Ces rencontres visent à améliorer la qualité des données produites au cours du développement des technologies de santé (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 européens (early dialogues) permettent aux industriels de santé de présenter le plan de développement de leur produit aux agences d'HTA et de leur poser des questions précises relatives à ce plan. Le but est de réduire le risque d'inadaptation des données produites 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 early dialogues européens pilotés par la HAS repose sur les échanges entre les agences d'HTA participantes, permettant de confronter les points de vue et de les faire évoluer lorsque le consensus est possible.

Depuis 2013, la HAS a été particulièrement active dans le domaine des early dialogues, renforçant cette activité dans le cadre de la deuxième action conjointe EUnetHTA et remportant l'appel d'offres de la Commission européenne pour la conduite de 10 early dialogues (projet SEED, Shaping European Early Dialogues for health technologies). La HAS a ainsi coordonné et participé à un total de 24 early dialogues dont 9 ont été réalisés courant 2015.

L'activité early dialogue va se prolonger au sein de la prochaine et dernière action conjointe, EUnetHTA 3, pour une durée de 4 ans (2016-2019). EUnetHTA 3 permettra d'assurer la transition vers un réseau de collaboration européenne pérenne opérationnel et autofinancé à l'horizon 2020. La HAS s'est portée candidate pour être leader de la thématique early dialogue et études post-inscription d'EUnetHTA 3.

Enfin, la HAS a 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 dans ce cas 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.

Au final, 11 *early dialogues* et 5 *guidelines* méthodologiques ont été réalisés dans le cadre d'EUnetHTA 2.

Dans le domaine des études complémentaires ou études post-inscription, en 2015, la HAS a coordonné la production de deux guides méthodologiques et d'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. 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 thé-

matiques d'EUnetHTA JA2, notamment l'activité *early dialogue*, ont vocation à se poursuivre en 2016 dans le cadre de la troisième action conjointe EUnetHTA JA3.

► Pour en savoir plus, consulter le site [www.eunetha.eu](http://www.eunetha.eu).

### SEED (Shaping European Early Dialogues for health technologies)

Le projet SEED présenté par la HAS au nom d'un consortium de 14 agences d'HTA avait été sélectionné, en 2013, dans le cadre d'un appel d'offres de la Commission européenne pour la réalisation, en 2 ans, de 10 *early dialogues*. La HAS a assuré la coordination du consortium SEED et 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 11 *early dialogues* au lieu des 10

initialement prévus (dont 8 médicaments et 3 dispositifs médicaux). Ces 11 *early dialogues* ont suivi soit une procédure « multi-HTA » (avec les 14 agences d'HTA du consortium SEED), soit une procédure parallèle « EMA-multi HTA » (avec les 14 agences d'HTA du consortium SEED et l'Agence européenne du médicament). L'activité *early dialogue* va se poursuivre dès 2016, 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. 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, consulter le site [www.earlydialogues.eu/has](http://www.earlydialogues.eu/has).

### GetReal

Ce projet, d'une durée de 3 ans (2013-2016), 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, consulter le site [www.imi-getreal.eu](http://www.imi-getreal.eu).

### ADAPT-SMART (Accelerated Development of Appropriate Patient Therapies: a Sustainable Multi-stakeholder Approach from Research to Treatment-outcomes)

Ce nouveau projet (2015-2017), d'une durée de 30 mois, est un partenariat européen public-privé financé pour moitié par la Commission européenne.

L'innovation dans l'approche thérapeutique (médecine personnalisée, thérapies et produits innovants) rend nécessaire la définition de nouvelles approches pour l'évaluation mais aussi la recherche de nouvelles voies d'accès au marché ou *Medicines Adaptive Pathways to patients* (MAPPs) telles que *Adaptive Licensing Pilot* développé par l'EMA et *the New drug Development Paradigms* (NEW-DIGS), projet du MIT (États-Unis). L'objectif du projet ADAPT-SMART est

d'établir une plateforme de coordination et de soutien pour étudier les conditions de mise en application de ces nouvelles approches et leur adaptation aux systèmes de santé.

Les agences d'HTA sont impliquées dans cette approche *adaptive pathways* pour la conduite d'*early dialogues* et la définition des besoins d'*« additional evidence generation »*.

► Pour en savoir plus, consulter le site [www.adaptsmart.eu/work-packages](http://www.adaptsmart.eu/work-packages).

## 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 4 ans (2012-2016) 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. Plus 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 et 5 bonnes pratiques sélectionnées par les partenaires du projet sont mises en œuvre dans 220 hôpitaux dans 20 pays volontaires. Trente-huit réunions d'échange ont été organisées en Europe. Elles ont permis aux pays intéressés par certaines bonnes pratiques accessibles dans la base de données PaSQ d'inviter les experts des 20 États membres les ayant mises en œuvre pour leur faire part de leur expérience de terrain. Les 61 partenaires 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, consulter le site [www.pasq.eu](http://www.pasq.eu).

### MUSE (Machine Understanding for interactive Story telling)

MUSE, projet d'une durée de 3 ans, subventionné par le programme cadre

européen de recherche FP7, catégorie technologies de l'information (ICT), s'est terminé en novembre 2015. MUSE réunissait 5 partenaires (Belgique, Slovaquie, Royaume-Uni, Pays-Bas et France) et visait à développer de nouvelles technologies de diffusion de l'information en santé, notamment auprès du patient, sous forme ludique et interactive. La HAS était leader de la thématique « *Guidelines* pour l'information des patients ». Deux prototypes ont été réalisés, un permettant la visualisation de la prise en charge de la chirurgie de l'obésité élaboré à partir du document patient de la HAS, l'autre permettant de visualiser les actions générées lorsque les patients ne suivaient pas les recommandations mentionnées dans le document.

Ce second prototype a permis de mettre en avant une approche novatrice pour expliquer le non-respect des recommandations (« opérateurs de planification antonymiques »). L'évaluation des prototypes par un panel de professionnels de santé et de patients a permis de montrer le réalisme et la pertinence des animations 3 D générées.

Dans le cadre du projet MUSE, la HAS a publié 8 articles dans des revues internationales.

► Pour en savoir plus, consulter le site [www.muse-project.eu](http://www.muse-project.eu).

### 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 1 000 à 2 000 personnes interrogées par pays), de personnes de plus de 55 ans ou de médecins généralistes (de 500 à 1 000 médecins généralistes interrogés).

En France, le comité de pilotage est constitué de représentants de la HAS, de la Cnamts et plus récemment de l'Institut de recherche et documentation en économie de la santé (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.

En 2015, l'étude a porté sur la perception du système de santé français par les médecins généralistes.

► Pour en savoir plus, consulter le site [www.commonwealthfund.org](http://www.commonwealthfund.org).



# Associations de patients et d'usagers

## Participation des associations de patients et d'usagers aux travaux

La politique générale de la HAS conduit à la participation des associations à l'élaboration des travaux, en tant qu'expert ou partie prenante, à leur relecture et ponctuellement à leur restitution au cours de conférences de presse dédiées. Interface avec les associations impliquées, la mission Relations avec les associations de patients et d'usagers (Mrapu) organise leur 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 2015, les représentants des associations de patients ont contribué à 60 travaux de la HAS : 43 à la DAQSS (recommandations, indicateurs, parcours de soins et Scope santé), 14 à la DEMESP (évaluation médico-économique, actes et dispositifs médicaux) et 3 au service presse.

La HAS reçoit régulièrement le Collectif interassociatif sur la santé au rythme de 3 ou 4 réunions annuelles afin d'assurer un partage des initiatives respectives et de suivre les dossiers communs.

## Fin de la mission des liens économiques entre industries de santé et associations de patients

De 2009 à 2015, la HAS a eu la mission de publier les montants des aides versées aux associations de patients<sup>1</sup> par les industries de santé. Elle a pris fin avec le vote de la loi de modernisation du système de santé<sup>2</sup>.

Depuis le premier semestre 2012, elle faisait en effet doublon avec les données de financement des associations publiées sur le site ministériel [transparence.sante.gouv.fr](http://transparence.sante.gouv.fr). Les données des années 2009 à 2013 demeurent accessibles sur le site de la HAS.

## Une légère baisse des demandes individuelles des usagers

Stables en répartition sur les 3 dernières années, les usagers représentent 78 % des demandeurs, les professionnels 10 %, les autres demandes relevant d'autres

Année	Nbre total de demandes	Évolution
2015	536	- 16 %
2014	642	+ 20 %
2013	540	+ 44 %
2012	375	- 7 %
2011	403	+ 10 %
2010	368	+ 20 %
2009	309	

## Création de la commission information des patients

Dans le cadre de sa mission d'information du public, la HAS a en 2015 créé une nouvelle commission information des patients (CIP), présidée par le Dr Cédric Grouchka, membre du Collège. La CIP est une commission spécialisée qui a pour mission de :

- proposer au Collège des documents et outils destinés à l'information du grand public, notamment pour favoriser la décision médicale partagée ;
- définir des modalités de diffusion et de communication de ces documents et outils.

Elle coordonne les travaux et son programme de travail avec ceux des autres commissions.

La CIP se donne pour objectif, dans un contexte économique contraint, d'élaborer des supports d'information à destination des patients et usagers du système de santé. Elle s'est réunie pour la première fois le 8 décembre 2015.

Sa composition fait appel à 22 personnes recrutées par appel à candidature publié sur le site de la HAS, au titre de leurs compétences dans trois domaines : la communication, les soins et les sciences humaines. La commission comprend également des membres salariés de la HAS impliqués dans les travaux avec les patients. Ils ne disposent pas de droit de vote.

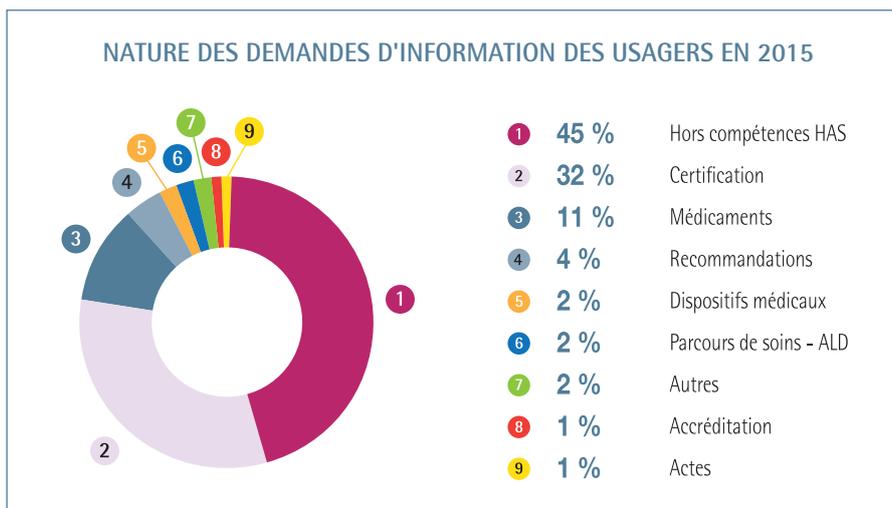
1. Mission issue de l'article 84 de la loi HPST, article L. 1114-1 du CSP, dernier alinéa.

2. Article 178 de la loi n° 2016-41.

acteurs dont certains ne sont pas identifiables.

Avec 174 demandes, la certification représente toujours le premier poste. Chaque fois que nécessaire, les réponses orientent désormais vers la médiation interne aux établissements de santé. Le partenariat avec le Défenseur des droits facilite la gestion des situations les plus complexes.

Les demandes hors périmètre HAS mettent en évidence la perception parfois erronée des attributions de l'institution. Un circuit de réorientation vers les instances compétentes est en place : ministère, autres agences dont principalement l'ANSM et l'Anesm, ou les ARS.





# Communication et information des publics

En 2015, la HAS a poursuivi ses efforts de visibilité et de proximité avec le renforcement de sa politique événementielle au niveau national et international.

La politique de communication et d'information s'est également concentrée sur le développement du numérique, amorcé en 2011, avec la mise en ligne d'une version mobile de son site Internet, pour une meilleure accessibilité, et la rénovation de son webzine, afin de rendre encore plus lisibles ses productions.

Les activités presse ont, elles aussi, accompagné la valorisation des productions de la HAS et ont confirmé l'intérêt croissant des médias et de leur lectorat.

## Évaluation et coopération européenne



Depuis plus de 10 ans, la HAS participe activement à une réflexion au niveau européen sur le défi de l'évaluation de nouvelles thérapies médicamenteuses et d'innovations technologiques (HTA – *Health Technology Assessment*). Cette coopération entre agences d'évaluation européennes a mené à la création du réseau EUnetHTA (*European network for Health Technology Assessment*).

C'est dans ce contexte que la HAS a réuni différents acteurs majeurs de l'HTA à l'occasion d'un symposium organisé en partenariat avec la Commission européenne. Des débats et réflexions se sont tenus entre professionnels de santé, industriels et institutionnels européens. Cette journée a aussi été marquée par l'intervention de la ministre des Affaires sociales, de la Santé et des Droits des femmes, Marisol Touraine, qui a notamment rappelé l'importance de donner un nouvel élan à cette collaboration européenne.

► Pour en savoir plus, consulter [la page événement Forum HAS « HTA sans frontières »](#).

## Efficienc e & qualité, 10 ans d'actions



La HAS est aujourd'hui installée dans le système de santé français. Elle est un acteur incontournable de la régulation et de l'organisation des soins par la promotion de la qualité et la recherche de l'efficacité. À l'occasion de ses 10 ans, elle a consacré son colloque annuel à la qualité et l'efficacité du système de santé d'aujourd'hui et de demain.

Soucieuse de s'ouvrir toujours plus vers les autres acteurs du paysage sanitaire, la HAS a animé la matinée en partenariat avec la Direction générale de l'offre de soins (DGOS) autour du programme d'incitation financière à la qualité (Ifaq).

Le programme de l'après-midi a été articulé autour de trois débats sur la sécurité des soins, l'évaluation médico-économique et une réflexion plus large et prospective sur le rôle actuel et futur de la HAS à travers des témoignages de personnalités externes.

► Pour en savoir plus, consulter [la page événement Colloque HAS « Contribuer à la régulation par la qualité et l'efficacité »](#).

## “ Des événements internationaux, nationaux et régionaux pour renforcer la visibilité et la proximité ”

### Rencontres régionales : la fin d'un cycle



La HAS a clôturé en janvier 2015, à Paris, le cycle de Rencontres régionales engagé depuis 2012. Se rapprocher de ses publics et contribuer aux débats nationaux, tels en étaient les objectifs.

Les échanges et l'écoute ont ainsi caractérisé cette rencontre de Paris, organisée en étroite collaboration avec l'agence régionale de santé (ARS) d'Ile-de-France. Elle a permis de favoriser la proximité avec les professionnels de santé et les institutionnels, tout en clarifiant le rôle, les missions et la place de la HAS dans le paysage sanitaire actuel.

► Pour en savoir plus, consulter [les pages événements des Rencontres régionales](#).

**4 participations** à des congrès nationaux tels que le congrès de médecine générale, les Salons santé et autonomie, les Journées françaises de radiologie et le congrès de la Société française de chirurgie orthopédique et traumatologique. Moments privilégiés d'échanges avec les professionnels de santé, les congrès sont également l'occasion de promouvoir la diversité des outils numériques de la HAS.

## “ Une information plus accessible et plus lisible grâce au développement du numérique ”

La communication digitale de la HAS, à travers le site Internet notamment, revêt un caractère stratégique important. Il s'agit aujourd'hui du principal vecteur d'information permettant à la HAS de rendre publics ses avis, décisions et recommandations.

Au-delà de cette obligation d'information, les outils numériques (site Internet, site mobile, webzine, réseaux sociaux) fournissent aux professionnels de santé, patients, étudiants, industriels, des publi-

cations, outils, guides et méthodes pour les accompagner dans leur pratique, leur prise en charge ou leurs projets.

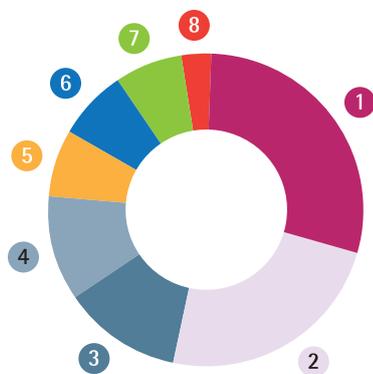
La HAS a défini et mis en œuvre depuis quelques années une politique numérique visant à rendre ces publications le plus accessibles et le plus lisibles possible afin de toucher le plus grand nombre.

En 2015, la HAS a poursuivi cette stratégie. L'offre et la lisibilité de ses publications sur smartphone se sont enri-

chies avec des formats web longs plus fréquents qui participent également à une meilleure indexation des publications par les moteurs de recherche.

La lisibilité des données chiffrées est également une préoccupation. Des cartes interactives de visualisation des données recueillies pour les indicateurs de qualité ont été développées et permettent à l'internaute d'interagir avec les données affichées.

SITE HAS – RÉPARTITION DES PAGES VUES PAR ESPACE



1	29 %	Page d'accueil	5	7 %	La HAS
2	24 %	Évaluation et Recommandation	6	7 %	Site mobile
3	12 %	Accréditation et Certification	7	7 %	Webzine
4	11 %	Outils, Guides et Méthodes	8	3 %	Non classés

**5 256 559**

visites soit **14 401** visites par jour en moyenne

**14 281 342**

pages vues soit une moyenne de **39 127** pages vues par jour

**12 429 066**

fichiers téléchargés soit **34 052** téléchargements par jour en moyenne

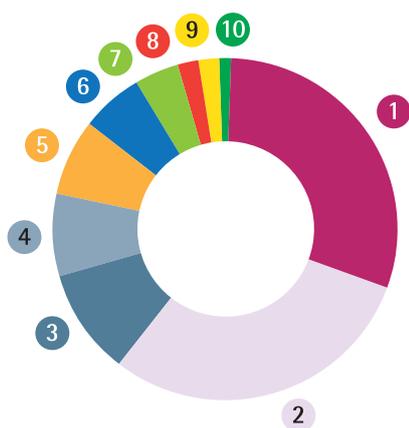


## 570 895 visites en 2015...

Le succès de la version mobile du site Internet de la HAS a confirmé l'intérêt de son développement ! Avec un usage différent et complémentaire par rapport au site de la HAS, la mise en ligne du site mobile a généré du trafic supplémentaire (+ 6,7 % en 2015).

Il propose un accès par thématique facilitant la navigation et permettant de consulter les publications scientifiques de la HAS.

### SITE MOBILE – RÉPARTITION DES PAGES VUES PAR RUBRIQUE



- 1 30 % Médicaments et dispositifs
- 2 30 % Publications
- 3 10 % Page d'accueil
- 4 8 % Moteur de recherche
- 5 7 % Actualités
- 6 6 % Certification et sécurité du patient
- 7 4 % Examen classant national
- 8 2 % Documents patients
- 9 2 % DPC parcours
- 10 1 % Candidatures

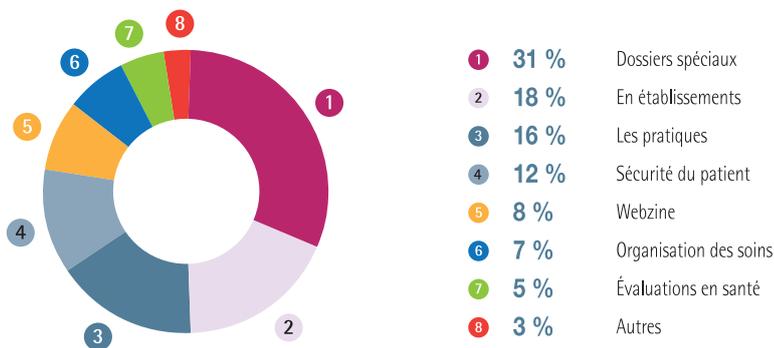
### Le magazine en ligne a fait peau neuve !

Pour s'adapter aux usages des internautes, et suite aux enseignements d'une enquête de lectorat, le **Webzine de la HAS** s'est doté d'un *responsive web design* permettant un accès sur tous les supports (PC, tablettes, smartphone). L'intitulé des rubriques a également évolué pour s'adapter aux centres d'intérêt des internautes (« Les pratiques », « Évaluations en santé », « En établissements », « Sécurité du patient » et « Organisation des soins »). Ainsi, sont publiés régulièrement des articles de fonds qui décryptent l'information et l'actualité de la HAS dans un style journalistique. Sont publiés également des « dossiers spéciaux », réalisés en partenariat avec les organismes professionnels et consacrés chacun à une spécialité médicale.

Enfin, le magazine en ligne propose aujourd'hui une unique lettre mensuelle à l'ensemble de ses abonnés.



### WEBZINE – RÉPARTITION DES PAGES VUES PAR RUBRIQUE (nouvelles rubriques/décembre 2015)



# 511 860

visites soit **1 402** visites en moyenne par jour

# 953 800

pages vues soit une moyenne de **2 613** pages vues par jour

### Newsletters

# 58 253

abonnés

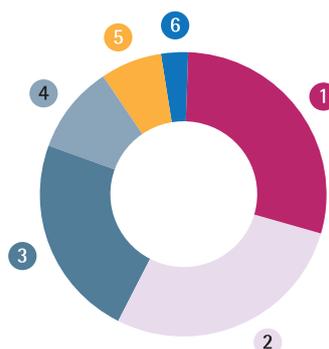
# 36 548

abonnés à HAS Dernières publications (+ 8,3 %)

# 55 539

abonnés à Le Webzine de la HAS - L'Actu

### RÉPARTITION DES ABONNÉS PAR SECTEUR D'ACTIVITÉ



### Des liens plus forts avec les organismes professionnels...

À travers la réalisation des « dossiers spéciaux », la HAS a souhaité se rapprocher des conseils nationaux professionnels (CNPS) et mettre en place des partenariats.

Ces dossiers, conçus avec les représentants des organismes de la spécialité traitée, informent sur les productions de la HAS au travers de points de vue d'experts, favorisant ainsi leur appropriation.

Rendre plus lisibles les productions de la HAS et valoriser les travaux des CNPS, tels sont les objectifs de ces partenariats.

Consultables sur le Webzine de la HAS, 8 dossiers spéciaux ont été réalisés depuis 2009 : anesthésie-réanimation, cardiologie, chirurgie thoracique et cardio-vasculaire, gynécologie-obstétrique, imagerie médicale, orthopédie et traumatologie, pneumologie et rhumatologie. En 2015, 4 d'entre eux ont été réactualisés.

## La HAS sur les réseaux sociaux en 2015



11 218 abonnés (fans)



347 vidéos sur la chaîne HAS  
95 964 vidéos vues



28 788 abonnés (followers)  
375 tweets publiés



10 932 abonnés



60 présentations et infographies ont généré  
278 600 vues

## Activités presse



d'un outil à destination des professionnels de santé pour les aider à connaître les seuils au-dessus desquels déclencher une intervention médicale. Quelques mois plus tard, ces seuils seront repris par l'association Vins & Société dans une campagne publicitaire pour le vin incitant la HAS à s'exprimer de nouveau dans la presse pour mettre en garde contre un détournement de ses messages.

L'année 2015 a été marquée par la publication de 3 travaux très attendus, que

différentes actions presse sont venues accompagner : la recommandation sur le repérage et la prise en charge du trouble déficit de l'attention avec ou sans hyperactivité (TDAH), l'utilisation des autotests VIH arrivant en vente libre en pharmacie et l'évaluation du test sanguin prénatal de la trisomie 21. Ces 3 sujets de société ont constitué des temps forts de l'année médiatique de la HAS.

Le service presse a également organisé différentes rencontres directes avec les journalistes sur des thématiques hospitalières avec le lancement de la certification V2014 des établissements de santé, le travail en équipe (Pacte) et la sécurisation du circuit du médicament à l'hôpital (expérimentation Med'Rec).

Tout au long de l'année, le service presse a également accompagné le positionnement de l'institution dans ses prises de parole avec les médias et *via* ses communiqués de presse, notamment sur les sujets de la coopération européenne dans l'évaluation du médicament, l'arrivée des usagers dans les commissions réglementaires, les 10 ans de l'institution ou les enjeux de l'innovation et des coûts des traitements.

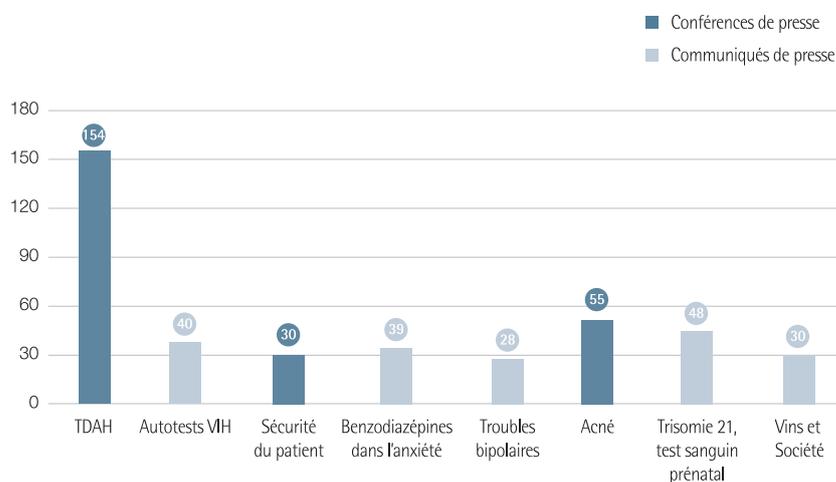
Dans le cadre de ses réflexions continues pour le développement d'outils à destination des journalistes, le service presse s'est engagé en 2015 dans la réalisation d'infographies à visée pédagogique utilisées notamment sur les réseaux sociaux, et a initié un travail sur des formats plus courts de communication (brèves presse).

En 2015, le service presse a participé à la valorisation des productions de la HAS et a poursuivi sa contribution au positionnement de l'institution grâce à 35 communiqués de presse, 8 conférences de presse et la gestion quotidienne des demandes de journalistes (environ 400 demandes – hors sollicitations dans le cadre des conférences de presse).

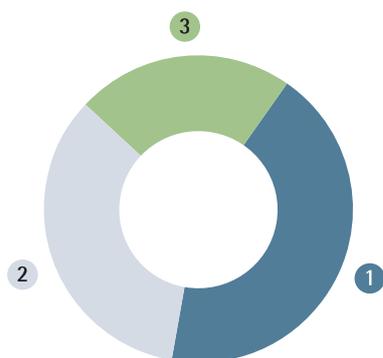
La plupart des communiqués de presse concernaient des thématiques institutionnelles (12), des recommandations de bonne pratique (5), la certification des établissements de santé et les indicateurs IQSS (5), des évaluations économiques et de santé publique (4), la sécurité du patient (3) et des évaluations de médicaments et dispositifs médicaux (3).

En termes de relations presse, l'année a débuté et s'est achevée sur une même thématique : le repérage et la prévention des consommations addictives. En janvier de l'année 2015, un communiqué de presse accompagnait la publication

### ACTIONS PRESSE AYANT GÉNÉRÉ LE PLUS DE RETOMBÉES (TOTAL : 424)

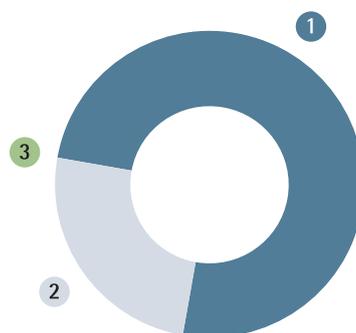


## RÉPARTITION DES 35 COMMUNIQUÉS DE PRESSE



- 1 15 Qualité et sécurité des soins
- 2 12 Institutionnel
- 3 8 Évaluation médicale, économique et santé publique

## RÉPARTITION DES 8 CONFÉRENCES DE PRESSE



- 1 6 Qualité et sécurité des soins
- 2 2 Institutionnel
- 3 0 Évaluation médicale, économique et santé publique

## Ressources documentaires

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

Le service documentation-veille réalise également une veille sur l'environnement de la HAS et son image et diffuse cette veille *via* plusieurs canaux. Cette veille donne lieu à une revue de presse quotidienne qui présente une sélection d'articles sur l'actualité du monde de la santé (politique et scientifique). Cette revue de presse permet également de diffuser en interne les retombées médiatiques des actions du service presse.

En 2015, 7 852 articles ont été mis en revue de presse dont 3 942 citaient la HAS.

En juin 2015, le service documentation-veille a ouvert un compte Twitter dénommé HAS-veille et réalise également *via* ce compte une veille de l'actualité en santé. En 2015, le compte HAS-veille a émis 910 tweets dont 630 retweets.

Enfin, le service documentation-veille surveille quotidiennement la e-réputation de la HAS sur les médias sociaux et plus particulièrement sur Twitter. En 2015, on a dénombré 15 970 mentions de la HAS sur Twitter (contre 13 950 en 2014).

---

# 285

études ayant nécessité des recherches bibliographiques

# 9 784

articles fournis

---



# Textes législatifs et réglementaires parus en 2015/2016

## Lois, décrets et arrêtés

- Loi n° 2015-1702 du 21 décembre 2015 de financement de la sécurité sociale pour 2016.
- Loi n° 2015-1776 du 28 décembre 2015 relative à l'adaptation de la société au vieillissement.
- Loi n° 2015-1785 du 29 décembre 2015 de finances pour 2016.
- Loi n° 2016-41 du 26 janvier 2016 de modernisation de notre système de santé.
- Loi n° 2016-87 du 2 février 2016 créant de nouveaux droits en faveur des malades et des personnes en fin de vie.
- Ordonnance n° 2015-948 du 31 juillet 2015 relative à l'égal accès des femmes et des hommes au sein des autorités administratives indépendantes et des autorités publiques indépendantes.
- Décret n° 2015-179 du 16 février 2015 fixant les procédures applicables au titre de la prise en charge prévue à l'article L. 165-1-1 du code de la sécurité sociale.
- Décret n° 2015-848 du 9 juillet 2015 relatif à la composition de la commission de la transparence et de la Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé.
- Décret n° 2015-937 du 30 juillet 2015 relatif aux conditions de l'expérimentation des maisons de naissance.
- Décret n° 2015-1152 du 16 septembre 2015 relatif aux conditions et modalités d'exercice des biologistes médicaux et portant création de la Commission nationale de biologie médicale.
- Décret n° 2015-1454 du 10 novembre 2015 relatif aux exceptions à l'application du principe « silence vaut acceptation » sur le fondement du II de l'article 21 de la loi n° 2000-321 du 12 avril 2000 relative aux droits des citoyens dans leurs relations avec les administrations (autorités publiques indépendantes).
- Décret n° 2015-1510 du 19 novembre 2015 relatif à la promotion de la pertinence des actes, des prestations et des prescriptions en santé.
- Décret n° 2015-1511 du 19 novembre 2015 relatif au contrat d'amélioration des pratiques en établissements de santé.
- Décret n° 2015-1649 du 11 décembre 2015 relatif aux modalités et aux conditions d'inscription de certains produits et prestations sur la liste prévue à l'article L. 165-1 du code de la sécurité sociale.
- Arrêté du 14 janvier 2015 relatif au cahier des charges des programmes d'éducation thérapeutique du patient et à la composition du dossier de demande de leur autorisation et de leur renouvellement et modifiant l'arrêté du 2 août 2010 modifié relatif aux compétences requises pour dispenser ou coordonner l'éducation thérapeutique du patient.
- Arrêté du 20 février 2015 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 23 février 2015 portant approbation du règlement arbitral applicable aux structures de santé pluri-professionnelles de proximité.
- Arrêté du 17 avril 2015 portant cahier des charges des expérimentations relatives à la prise en charge par télé-médecine des plaies chroniques et/ou complexes mises en œuvre sur le fondement de l'article 36 de la loi n° 2013-1203 de financement de la sécurité sociale pour 2014.
- Arrêté du 12 juin 2015 relatif au référentiel précisant les éléments justificatifs requis pour l'évaluation d'un produit de santé ou d'un acte faisant l'objet d'une demande de prise en charge au titre de l'article L. 165-1-1 du code de la sécurité sociale.
- Arrêté du 12 juin 2015 relatif aux modèles de documents à fournir lors du dépôt d'une demande de prise en charge au titre de l'article L. 165-1-1 du code de la sécurité sociale.
- Arrêté du 1<sup>er</sup> juillet 2015 relatif aux centres gratuits d'information, de dépistage et de diagnostic (CeGIDD) des infections par les virus de l'immunodéficience humaine et des hépatites virales et des infections sexuellement transmissibles.
- Arrêté du 30 juillet 2015 fixant la composition du dossier et les modalités de candidature pour intégrer l'expérimentation des maisons de naissance.
- Arrêté du 28 décembre 2015 fixant pour l'année 2015 le montant de la dotation des régimes obligatoires d'assurance maladie versée à la Haute Autorité de santé.

## Principales décisions relatives à l'organisation de la HAS

### Décisions publiées au Journal officiel de la République française

- 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.
- 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° 2015.0018/DC/SJ du 28 janvier 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant modification du règlement intérieur du collège.
- Décision n° 2015.0134/DC/SJ du 27 mai 2015 portant modification du règlement intérieur du collège.
- Décision n° 2015.0151/DC/SCES du 10 juin 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant modification de la procédure de certification des établissements de santé et des structures visées aux articles L. 6133-7, L. 6321-1, L. 6147-7 et L. 6322-1 du code de la santé publique.

- Décision n° 2015-0169/DC/SCES du 1<sup>er</sup> juillet 2015 du collège de la Haute Autorité de santé modifiant la procédure de certification des établissements de santé et des structures visées aux articles L. 6133-7, L. 6321-1, L. 6147-7 et L. 6322-1 du code de la santé publique.
- Décision n° 2015.0277/DC/SEVAM du 9 décembre 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant adoption du référentiel de certification par essai de type des logiciels d'aide à la dispensation en officine.

#### **Décisions publiées au Bulletin Santé - Protection sociale - Solidarité**

- Décision n° 2015-0005 DC du 21 janvier 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination des membres de la commission des pratiques et des parcours.
- 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 de santé publique.
- Décision n° 2015-0057DC/SJ du 4 mars 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant adoption du règlement intérieur de la commission des stratégies de prise en charge.
- Décision n° 2015-0006 DP/SG du 1<sup>er</sup> avril 2015 du président de la Haute Autorité de santé portant modification de l'organisation générale des services de la Haute Autorité de santé.
- Décision n° 2015-0076 DC/SCES du 1<sup>er</sup> avril 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination de membres de la commission de certification des établissements de santé.
- Décision DP/SG n° 2015-0010 du 27 mai 2015 du président de la Haute Autorité de santé portant modification de l'organisation générale des services de la Haute Autorité de santé.
- Décision DC n° 2015-0130 du 27 mai 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination d'un membre de la commission des pratiques et des parcours.
- Décision DC/SJ n° 2015-0133 du 27 mai 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant adoption du règlement intérieur de la commission information des patients.
- Décision n° 2015-216 DC/MRAPU du 7 octobre 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination du président et des membres de la commission information des patients.
- Décision n° 2015-0215 DC/MRAPU du 7 octobre 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant modification du règlement intérieur de la commission information des patients.
- Décision n° 2015-0230/DC/SJ du 14 octobre 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination de la présidente du comité déontologie et indépendance de l'expertise.
- Décision n° 2015-0231/DC du 14 octobre 2015 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° 2015-0233DC du 4 novembre 2015 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° 2015-0234DC du 4 novembre 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination du président et des membres de la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé.
- Décision n° 2015-0038 DP/SG du 25 novembre 2015 du président de la Haute Autorité de santé portant modification de l'organisation générale des services de la Haute Autorité de santé.
- Décision n° 2015-0039 DP/SG du 2 décembre 2015 du président de la Haute Autorité de santé portant désignation d'un ordonnateur secondaire.
- Décision n° 2015.0263/DC/SEESP du 2 décembre 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination du président de la commission évaluation économique et santé publique.
- Décision n° 2015-0272 DC/SED du 9 décembre 2015 du collège de la Haute Autorité de santé portant nomination des membres 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 (CNEDiMTS).



# Fonctionnement

## — Ressources humaines

L'année 2015 a vu une nouvelle montée en charge de la GPEEC (gestion prévisionnelle des emplois, des effectifs et des compétences) et la poursuite de l'intégration de cette démarche dans les processus RH. La GPEEC s'inscrit désormais comme le fil conducteur des politiques de ressources humaines de l'institution.

Ainsi, l'évolution initiée en 2014, consistant à prendre appui sur les fiches emplois issues de la GPEEC, pour conduire l'entretien annuel d'évaluation, s'est poursuivie pour concerner cette année la totalité des agents. Les managers ont quant à eux été évalués sur la base d'un nouveau référentiel.

En 2015, une réflexion a été conduite sur la dématérialisation du support d'évaluation, laquelle devrait être mise en œuvre à partir de l'année 2016.

En matière de formation des personnels, l'institution a poursuivi une politique dynamique de développement des compétences : 823 actions de formation ont ainsi été conduites.

Au plan du dialogue social, l'année a été marquée par les élections professionnelles concernant les délégués du personnel et le comité d'entreprise. Quarante-quatre réunions ont eu lieu avec les IRP (instances représentatives du personnel) et 16 réunions avec les organisations syndicales pour travailler sur 10 thématiques relatives à la gestion ou aux politiques en matière de ressources humaines.

Le service des ressources humaines a participé à la réflexion sur l'introduction de la GBCP (gestion budgétaire et comptable publique) et intégré l'équipe en charge de la gestion des frais de déplacements dans le cadre d'une nouvelle organisation optimisée dans la perspective de la mise en œuvre de la GBCP à partir du 1<sup>er</sup> janvier 2016.

Enfin, le service des ressources humaines a repris la gestion de la paie et des frais de déplacement de l'Anesm (Agence nationale de l'évaluation et de la qualité des établissements et services sociaux et médico-sociaux), dans le cadre de la convention de services conclue entre les deux institutions relative à l'adossé des fonctions supports de l'Anesm à la HAS, à compter du 1<sup>er</sup> janvier 2015.

## — Systèmes d'information

En 2015, le déménagement dans de nouveaux locaux a fortement impacté l'infrastructure technique et les applications, notamment :

- la mise en œuvre de toute l'infrastructure technique informatique, la mise en place des nouveaux matériels de réseaux, le changement d'adressage IP et le changement du fournisseur d'accès Internet ;
- la mise en place du « WIFI interne » et du « WIFI public » ;
- la finalisation de la mise en place de la mobilité et le renforcement de la sécurité de l'infrastructure ;
- la mise en place du téléphone VoIP (voix sous IP) ;
- le suivi de la mise en place des nouveaux usages des salles de réunions ;
- la migration de la messagerie Lotus vers Exchange (Outlook) ;
- la gestion de 41 bases de données (25 bases MySQL et 16 bases Oracles Production/Qualification) ;
- le traitement de 3 729 fiches par le HelpDesk (nombre d'interventions stable) ; réception et émission de 3 444 519 e-mails ; arrêt de 1 358 000 spams et blocage de 44 224 virus ;
- la sauvegarde de 5,2 To de fichiers.

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

- le déploiement des dernières fonctionnalités SARA V2014 (rapport pour observations, rapport de certification), développement des fonctionnalités liées au recours gracieux, lancement du dialogue compétitif pour le renouvellement de la TMA (tierce maintenance applicative) ;
- l'élaboration des spécifications et recettes de l'application SIAM 2 (système d'information de l'accréditation des médecins), mise en production prévisionnelle au deuxième trimestre 2016 et élaboration de la partie « exploration des données » de la base REX ;
- la mise en production de l'application Pacte (programme d'amélioration continue du travail en équipe) ;
- l'intégration dans EVAMED des services SEVAM et SIPAQSS, du dossier guichet INNOV et la modification du fonctionnement de l'instance Collège ;
- la refonte du webzine et l'amélioration de SIDOC (page d'accueil, revue de presse, revue presse mobile) ;
- l'amélioration de fonctionnalités existantes de l'application GRaAL (gestion rationalisée des avis de lecture) ;
- le démarrage des projets « Archivage électronique », « Talent » (dématérialisation des entretiens d'évaluation) et initialisation de l'étude d'opportunité pour une solution de gestion électronique des documents ;
- le changement de titulaire des prestations d'hébergement et d'exploitation des applications (SARA, SIAM, GraAL et le site institutionnel).

## — Logistique et marché publics

L'année 2015 a essentiellement été consacrée au suivi de l'opération immobilière, à l'organisation et la planification du déménagement de la HAS. La constitution d'un comité *ad hoc* a été un élément important de la réussite de ce projet avec

notamment un respect de l'ensemble des échéances et une absence de difficultés majeures.

La préparation proprement dite du transfert a commencé dès février 2015 par l'établissement d'un planning de 17 thèmes décomposés en 154 tâches et une identification des référents. Il a servi de support opérationnel jusqu'à la fin de l'année.

Au cours de cette période, le service a été particulièrement mobilisé pour assurer l'ensemble des consultations en matière de marchés publics (équipements et installations informatiques, téléphonie, mobilier, prestations logistiques et techniques...) nécessaires à la préparation de ce transfert dans de bonnes conditions.

La formalisation des expressions de besoins, la gestion administrative et technique des procédures et l'analyse des offres ont été réalisées dans un cadre de travail collectif particulièrement renforcé. Le suivi de travaux a fait l'objet d'ajustements permanents jusqu'à la réception du nouveau bâtiment le jeudi 1<sup>er</sup> octobre 2015.

L'opération de déménagement s'est déroulée avec, dans un premier temps, en octobre, l'arrivée de meubles neufs et, dans un second temps, en novembre, le transfert sur 4 jours d'une partie du mobilier existant. Les archives ont fait l'objet d'un traitement spécifique, car cette phase s'est avérée très complexe.

L'ensemble des collaborateurs a pris possession des bureaux le lundi 23 novembre 2015. La remise en état des anciens locaux et l'évacuation du mobilier non récupéré ont été réalisées avant la fin de l'année. Il convient de souligner que l'ensemble de ces actions a été effectué par les équipes internes en sus des missions régulières du service.

Dans le cadre de la convention de services conclue avec l'Anesm, le pôle achats marchés a repris les opérations de réalisation des achats de l'Anesm à compter du 1<sup>er</sup> janvier 2015.

## — Appui juridique

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

Il a notamment élaboré les actes nécessaires à la création de nouvelles commissions spécialisées de la HAS : la commission des pratiques et des parcours, la commission des stratégies de

prise en charge et la commission information des patients.

Il a également contribué au projet de rédaction des dispositions de la loi de modernisation de notre système de santé concernant 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.

## — Budget et finances

Pour ce nouveau service, l'année 2015 a été marquée d'une part par la préparation de la réforme relative à la gestion budgétaire et comptable publique (GBCP) et d'autre part par la reprise des opérations de comptabilité de l'ordonnateur de l'Anesm à compter du 1<sup>er</sup> janvier conformément à la convention de services conclue entre les deux établissements.

## — Ressources et pilotage de la performance de la HAS

Le budget primitif de la HAS pour 2015 a été voté à hauteur de 57,307 M€ auxquels s'ajoute une enveloppe exceptionnelle de 4 M€ destinée à couvrir les dépenses engendrées par l'installation de la HAS dans ses nouveaux locaux à partir de la fin de l'année 2015.

Hors mesures exceptionnelles, le budget pour 2015 affiche une baisse de 3,8 % par rapport à l'exercice précédent (59,549 M€), la HAS poursuivant ainsi ses efforts de maîtrise des dépenses initiés en 2010.

Le taux d'exécution global s'établit à 96 % avec un niveau de dépenses à 58,964 M€, contre 53,421 M€ en 2014. Cette hausse de 10 % des dépenses s'explique en grande partie par les mesures nouvelles citées ci-dessus, mais également par la montée en charge des visites de certification en année pleine de la V2014.

Les dépenses d'investissement s'élèvent à 3,361 M€. Elles sont principalement liées à la poursuite des évolutions de l'application dédiée à la certification

des établissements de santé avec le déploiement de la version V2014, ainsi qu'à l'achat de mobilier et l'installation des infrastructures informatiques dans le cadre du déménagement. Le budget d'investissement est donc exécuté respectivement à hauteur de 81 % et 95 % par rapport au budget initial et au budget rectificatif, niveaux nettement supérieurs à ceux de 2014 (respectivement 72 % et 80 %).

Concernant les recettes, le modèle de financement de la HAS a de nouveau évolué pour l'établissement du budget primitif 2015. Pour rappel, la HAS ne bénéficie plus depuis le 1<sup>er</sup> janvier 2014 de ressources fiscales affectées, ce qui avait entraîné une majoration de la subvention de l'État et de la dotation de l'Assurance maladie, respectivement augmentées de 10 M€ et 20 M€ en 2014.

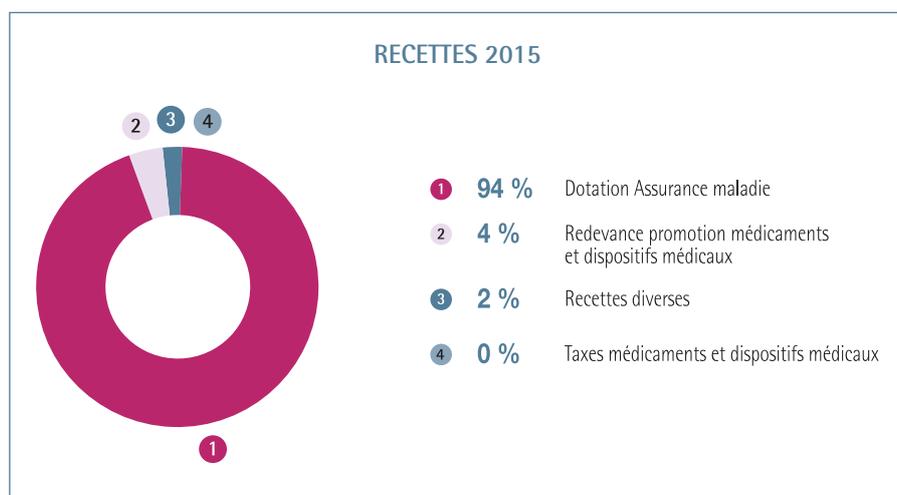
Depuis le 1<sup>er</sup> janvier 2015, la HAS est financée par une dotation unique de l'Assurance maladie dans le cadre du 7<sup>e</sup> sous-objectif de l'Ondam. Cette dotation a été fixée pour 2015 à 48,604 M€ dont 9,940 M€ au titre de la procédure prévue par les articles L. 6113-3, L. 6113-4 et L. 6322-1 du Code de la santé publique (contribution financière au titre de la procédure de certification des établissements de santé), et 38,664 M€ au titre de la contribution de l'Assurance maladie au fonctionnement de la Haute Autorité de santé.

À cela s'ajoute un montant estimé à 1,379 M€ en 2015, constitué de produits financiers, du remboursement des salaires et charges des personnels mis à disposition auprès d'autres structures administratives, de régularisations sur exercices antérieurs, des indemnités journalières versées par la Sécurité sociale à la suite des arrêts maladie ou congés maternité ou encore du remboursement de prêts accordés à des personnels de la HAS.

Le budget 2015 a donc été voté avec des recettes estimées à 49,983 M€. Cette année encore, la HAS a perçu 2,037 M€ de redevance sur les dépenses de promotion des médicaments et des dispositifs médicaux au titre de l'exercice 2013. De plus un dégel de 300 K€ a porté la dotation Assurance maladie pour 2015 à 48,904 M€. En conséquence, les recettes en 2015 s'établissent à 52,028 M€ dont le détail est présenté dans le tableau ci-après.

Recettes	Exécution 2014 (€)	Budget prévisionnel 2015 (€)	Exécution 2015 (€)
Subvention État	11 011 200		
Dotation Assurance maladie	34 468 000	48 604 080	48 904 080
Redevance promotion médicaments et dispositifs médicaux*	3 952 357		2 037 324
Taxes médicaments et dispositifs médicaux*	48 540		86 655
Recettes diverses	1 534 243	1 379 199	999 890
<b>TOTAUX</b>	<b>51 014 339</b>	<b>49 983 279</b>	<b>52 027 949</b>

\* Ces taxes ne sont plus reversées à la HAS depuis 2014. Toutefois la HAS a perçu en 2015 un reliquat au titre de l'exercice 2013.



## Tableau de bord de gestion

La dépense nette globale (après retraitement en comptabilité de gestion) est passée de 51,601 M€ en 2014 à 56,773 M€ en 2015, soit une hausse de 10 %. Cette dernière s'explique en grande partie par les dépenses générées par l'installation de la HAS dans ses nouveaux locaux.

De plus, la montée en charge des visites de certification en année pleine de la V2014 a occasionné une hausse des dépenses liées aux visites de certification : augmentation des dépenses de rémunération des experts-visiteurs (+ 0,602 M€), de déplacements et d'hébergement (+ 0,309 M€) et de dédommagements des établissements de santé (+ 0,291 M€). Le nombre de visites initiales (598) a en effet été multiplié par près de 2 par rapport à 2014, et le coût moyen unitaire s'établit à 21 k€. Ces deux indicateurs retrouvent ainsi leur niveau standard depuis 2009

(pour rappel, l'année 2014 constituait une année de transition entre la V2010 et la V2014, avec une baisse significative du nombre de visites). Concernant les autres indicateurs de performance, l'année 2015 a été marquée comme suit :

- le nombre d'avis rendus dans le cadre de l'activité d'évaluation des médicaments selon la procédure d'instruction complète est en baisse (190 contre 220

en 2014, son niveau record) et a pour conséquence une hausse du coût unitaire qui passe de 15 k€ à 18 k€. Au total 805 avis ont été rendus par la commission de la transparence en 2015 contre 630 en 2014. Le tableau ci-dessous présente la répartition par type de demande et type de procédure ;

- le nombre d'avis sur les dispositifs médicaux augmente (210 contre 195 en 2014), 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 en légère baisse et un coût unitaire de production en hausse ;

- le nombre de recommandations en santé publique est stable par rapport à 2014. Ce type de réalisation au caractère cyclique enregistre un délai moyen de production stable, autour de 21 mois ;

- le nombre de recommandations de bonne pratique publiées passe de 7 en 2014 à 3 en 2015, celui des labels passe de 0 à 3 et celui des fiches mémo de 5 à 7 ;
- concernant les ALD, le nombre d'actualisations des actes et prestations est en hausse (22 contre 18 en 2014), avec un délai de production stable et un coût de production en hausse ;

- le nombre de fiches points clés et solutions est en légère baisse, avec un délai de production en baisse d'un peu plus de 4 mois (280 jours contre 416 jours en 2014) et un coût de production en diminution de près de 20 % ;

- le nombre de comptes qualité reçus et analysés en 2015 est de 650 avec un coût unitaire à 2 k€.

	Première inscription	Extension d'inscription	Renouvellement d'inscription	Autres demandes	TOTAL
Procédure d'instruction complète	75	31	32	52	190
Procédure d'instruction simplifiée	33	9	298	5	345
Questions diverses	124	0	0	146	270
<b>TOTAL</b>	<b>232</b>	<b>40</b>	<b>330</b>	<b>203</b>	<b>805</b>

**TABLEAU DE BORD DE GESTION – RÉSULTATS 2015**

<b>Global HAS</b>	<b>Dépense nette HAS</b>	<b>56 773 k€</b>	<b>100 %</b>	<b>ÉVALUATION DES ACTES, DES PRODUITS ET RECOMMANDATIONS</b>	<b>PARCOURS ET PRATIQUES</b>	<b>ÉVALUATION HOSPITALIÈRE ET RISQUES</b>
	<i>dont</i>					
	Personnel permanent	30 685 k€	54 %			
	<i>dont Métier</i>	19 676 k€				
	Expert	4 553 k€	8 %			
	<i>dont Métier</i>	4 494 k€				
Fonctionnement	18 174 k€	32 %	Évaluation des médicaments Évaluation des dispositifs Évaluation des actes et technologies Recommandations en santé publique Recommandations professionnelles Outils de bonnes pratiques	Listes d'actes et prestations Guides et documents d'accompagnement des parcours	Certification des établissements de santé Accréditation des médecins Amélioration de la qualité en santé publique	
Investissement	3 361 k€	6 %				

<b>DÉPENSE GLOBALE (en K€)</b>		<b>56 773</b>	<b>100 %</b>	<b>22 834</b>	<b>40 %</b>	<b>5 870</b>	<b>10 %</b>	<b>28 069</b>	<b>49 %</b>
<i>dont</i>									
<b>Métiers</b>	Personnel permanent	19 676	34,7 %	9 665	49,1 %	2 785	14,2 %	7 226	36,7 %
	Personnel expert	4 494	7,9 %	605	13,5 %	170	3,8 %	3 719	82,8 %
	Exploitation courante	9 489	16,7 %	3 422	36,1 %	749	7,9 %	5 318	56 %
<b>Supports</b>	Personnel permanent	5 911	10,4 %	2 934	49,6 %	629	10,6 %	2 348	39,7 %
	Exploitation courante	10 870	19,1 %	3 661	33,7 %	884	8,1 %	6 326	58,2 %
<b>Administration et pilotage*</b>	Personnel + exploitation	6 331	11,2 %	2 546	40,2%	655	10,3 %	3 130	49,4 %

<b>PRODUCTIONS 2015</b>	<i>Nbre</i>	<i>Délai (j)</i>	<i>Coût (k€)</i>	<i>Nbre</i>	<i>Délai (j)</i>	<i>Coût (k€)</i>	<i>Nbre</i>	<i>Délai (j)</i>	<i>Coût (k€)</i>
Avis sur les médicaments (procédure d'instruction complète)	190	110	18						
Avis sur les dispositifs	210	87	17						
Rapports d'évaluation des dispositifs médicaux (hors phase contradictoire et saisine)	3	343	173						
Rapports d'évaluation des actes et technologies	20	338	352						
Avis courts**	31	66	1						
Rapports d'évaluation médico-éco/ Recommandations en santé publique	8	623	506						
Référentiels concernant la durée d'arrêt de travail	5	109	53						
Recommandations de bonne pratique (méthode RPC)	3	374	452						
Labels	3	689	144						
Fiches mémo	7	252	89						
Listes d'actes et prestations actualisées				22	142	20			
Documents d'accompagnement des parcours				9	196	110			
Fiches points clés et solutions				4	280	111			
Avis HAS sur référentiels Cnamts				1	157	119			
Médecins accrédités***							920		
Thèmes concernés par le recueil d'indicateurs****							5		
Indicateurs recueillis****							46		
Visites de certification des établissements de santé*****							598		21
Comptes qualité							650		2

\* Administration et pilotage = présidence + Collège + direction HAS + agence comptable ; \*\* 31 avis courts dont 26 suite à saisine de l'Uncam et 5 en autosaisine ; \*\*\* il s'agit des certificats d'accréditation délivrés en 2015 sur un total de 14 438 délivrés depuis le début de la démarche. Au 31 décembre 2015, 9 524 médecins sont actifs dans la démarche d'accréditation, dont 7 591 accrédités et 1 933 engagés ; \*\*\*\* 46 indicateurs recueillis dont 39 obligatoires (4 thèmes concernés) et 7 optionnels (1 thème concerné) ; \*\*\*\*\* il s'agit des visites initiales, auxquelles s'ajoutent 73 visites de suivi, soit un total de 671 visites.

NB : le nombre de rapports/recommandations désigne les études publiées courant 2015, et ne tient pas compte des études en cours de production.



# Compte financier 2015

## 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 comptes à deux chiffres dans le tableau en annexe 1 situe les différences observées pour 2015 et le tableau en annexe 3 présente le poids relatif des dépenses en volume :

- le taux d'exécution en investissement dépassant 95 % est très satisfaisant, il dénote à la fois une excellente prévision budgétaire et une très bonne exécution. Pour rappel il était de 81 % au 31/12/2014 ;
- le même constat s'applique aux dépenses de fonctionnement avec un taux d'exécution de 96,24 %. En volume les dépenses de 55,6 millions d'euros, supérieures de 5 millions d'euros à celles de 2014, intègrent le coût du déménagement des locaux intervenu en novembre 2015.

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 à un taux particulièrement élevé, à presque 98 %, confirmant une prévision budgétaire très fine.

L'augmentation de ces postes de dépenses entre 2014 et 2015 provient de l'installation de la HAS dans ses nouveaux locaux en novembre 2015 générant une remise en état des locaux occupés sur les deux sites précédents, l'acquisition d'équipements et la prise en charge d'un double loyer sur le dernier trimestre.

Pour les services dits extérieurs agréant frais de mission, déplacements,

représentation et charges courantes, le taux d'exécution est également très satisfaisant à presque 95 %.

Les postes liés à la mise en place de la V2014 pour la certification ont naturellement progressé en 2015, année désormais de plein exercice, aussi bien pour les dédommagements des établissements (compte 62142) de 63,5 % que pour les frais de mission des agents (compte 62561) d'un peu plus de 8 %.

Les rémunérations des personnels, les personnels mis à disposition et les charges salariales représentent 64 % des charges de fonctionnement.

En volume, elles sont quasi stables entre 2015 avec 35 427 K€ contre 34 741 K€ pour 2014. Elles avaient baissé de 4 % entre 2014 et 2013 et de 2 % entre 2013 et 2012.

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

##### Dotations CPAM

L'arrêté du 28 décembre 2015 fixe la dotation des régimes obligatoires de l'Assurance maladie versée à la HAS à la somme de 48 904 080 €. 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 38 964 080 €.

##### Contribution Acoff

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.

Pour l'exercice 2015, les encaissements perçus au titre de la contribution de 2013 se sont élevés à 2 037 323,70 €.

#### Les flux de trésorerie de la HAS (annexe 2)

La trésorerie a généré en 2015 des revenus de placement de 720,24 € versés par l'Acoff 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 2015

<b>Les résultats de l'activité 2015 (annexe 5)</b>	
Le compte d'exploitation 2015 restitue tous les flux financiers générés par les missions de la HAS :	
• Les créances constatées par un « titre » forment un produit global de :	+ 52 027 949,13 €
• Les charges assumées représentent au total une dépense de :	- 55 602 630,57 €
Par différence le résultat d'exploitation ressort à :	- 3 574 681,44 €
Pour déterminer la capacité d'autofinancement (CAF) il convient de partir du résultat d'exploitation	- 3 574 681,44 €
D'intégrer les dotations qui ne génèrent pas de sorties de fonds et restent à disposition, à savoir :	+ 1 727 265,18 €
• les amortissements pour :	
De déduire :	- 7 457,67 €
• la quote-part rattachée à des financements externes d'actifs	
La capacité d'autofinancement s'établit donc à :	- 1 854 873,93 €

<b>De la capacité d'autofinancement à l'augmentation du fonds de roulement</b>	
- 1 854 873,93 €	
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	- 3 353 091,50 €
En revanche, il convient d'ajouter :	
• l'excédent des échéances d'emprunt remboursées par rapport aux prêts consentis pour :	+ 10 855,92 €
• le financement externe d'actif :	+ 10 185,00 €
En définitive le montant de l'insuffisance des recettes de l'année ampute le fonds de roulement qui diminue de :	- 5 186 924,51 €

## La structure financière à la clôture de l'exercice 2015 (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...).

### A/ Ressources et emplois à caractère stable : évolution 2013/2015

Les capitaux permanents dont la HAS pouvait disposer à fin 2013 atteignaient	61 327 325,76 €
Le résultat d'exploitation de l'exercice 2014	352 933,29 €
Augmenté de la dotation aux amortissements de 2014 conservé pour renouveler et entretenir le patrimoine	+ 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 financements externes d'actifs	- 37 135,20 €
• du produit de cession d'actif	- 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 €
Le résultat d'exploitation de l'exercice 2015	- 3 574 681,44 €
Augmenté de la dotation aux amortissements de 2015	1 727 265,18 €
Accru du financement rattaché à des financements externes d'actifs	10 185,00 €
Diminué de la quote-part rattachée à des financements externes d'actifs	- 7 457,67 €
Diminue la masse des « capitaux permanents » dont la HAS peut disposer en propre pour la porter fin 2015 à :	60 867 065,46 €
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 :	- 20 468 983,14 €
Cette consommation des capitaux permanents laisse un <b>fonds de roulement net global (FRNG) disponible de :</b>	40 398 082,32 €

## 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	+ 33 347 422,57 €
Sur les dettes à court terme	- 3 045 142,70 €
Soit : BFR positif de :	+ 30 302 279,87 €

Ainsi au 31/12/2015

Le fonds de roulement net global (FRNG)	+ 40 398 082,32 €
Le besoin en fonds de roulement (BFR)	- 30 302 279,87 €
Assure une trésorerie nette de :	+ 10 095 802,45 €

Trésorerie nette :

À la clôture de l'exercice 2015 :

Les placements	0 €
Les avoirs déposés au Trésor public	10 095 026,55 €
La caisse	223,90 €
Les chèques à l'encaissement	552,00 €
Moins les chèques émis	0 €
<b>Constituent une trésorerie active de :</b>	<b>10 095 802,45 €</b>

## Votes proposés au Collège

Au terme de ce rapport de présentation du compte financier 2015, il appartient au Collège de délibérer sur :

### Le total général des opérations de l'exercice 2015 (sections de fonctionnement et d'investissement) qui est arrêté :

En dépenses de fonctionnement à :	55 602 630,57 €
En recettes de fonctionnement à :	52 027 949,13 €
En dépenses d'investissement à :	3 353 091,50 €

### Le montant et l'affectation des résultats de l'exercice 2015 (1<sup>re</sup> section)

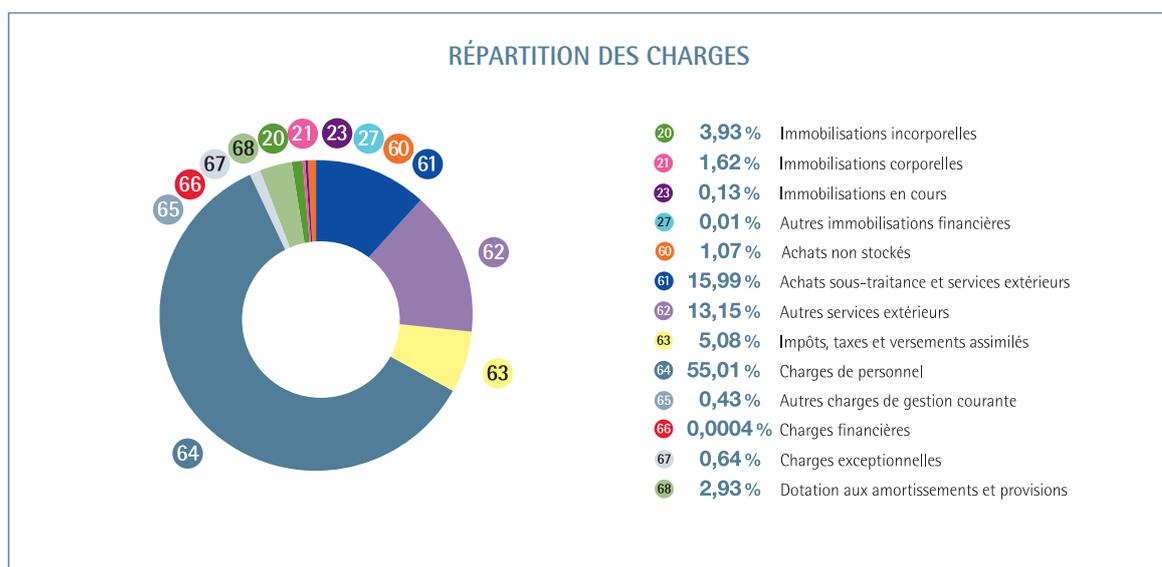
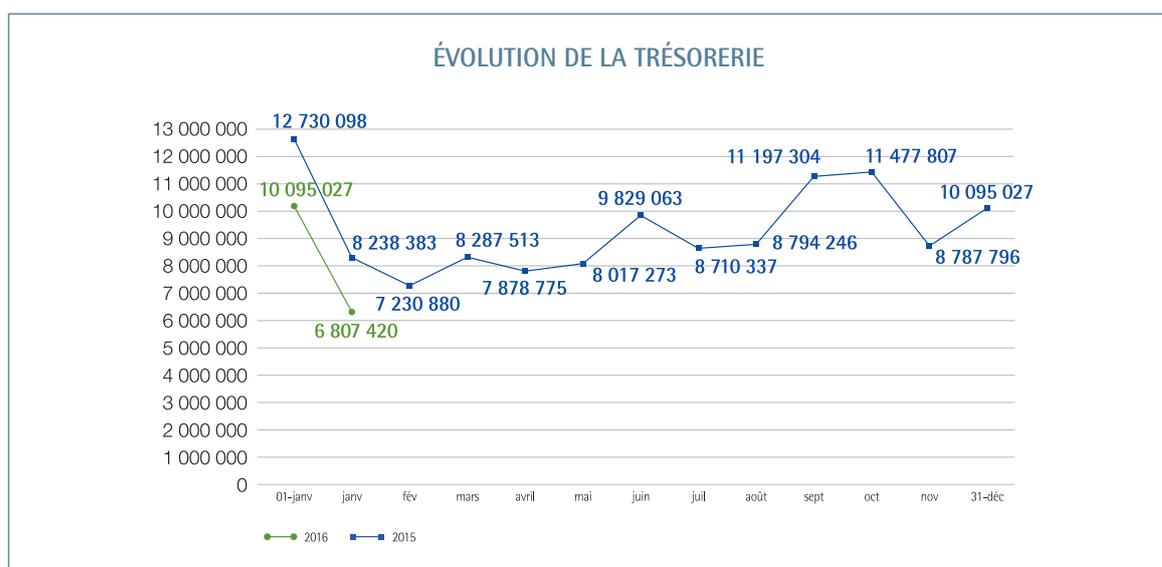
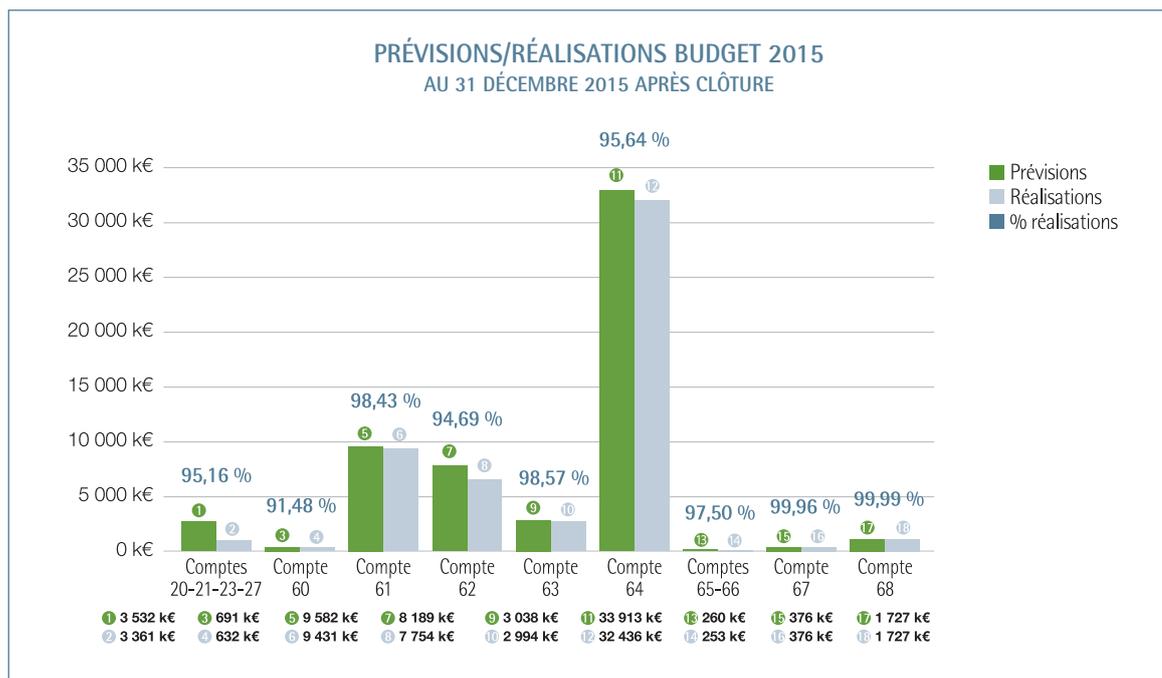
Le résultat d'exploitation est arrêté à :	- 3 574 681,44 €
Ce montant diminue les réserves au 31/12/2014	+ 49 718 431,32 €
<b>Pour atteindre au 31/12/2015 :</b>	<b>46 143 749,88 €</b>

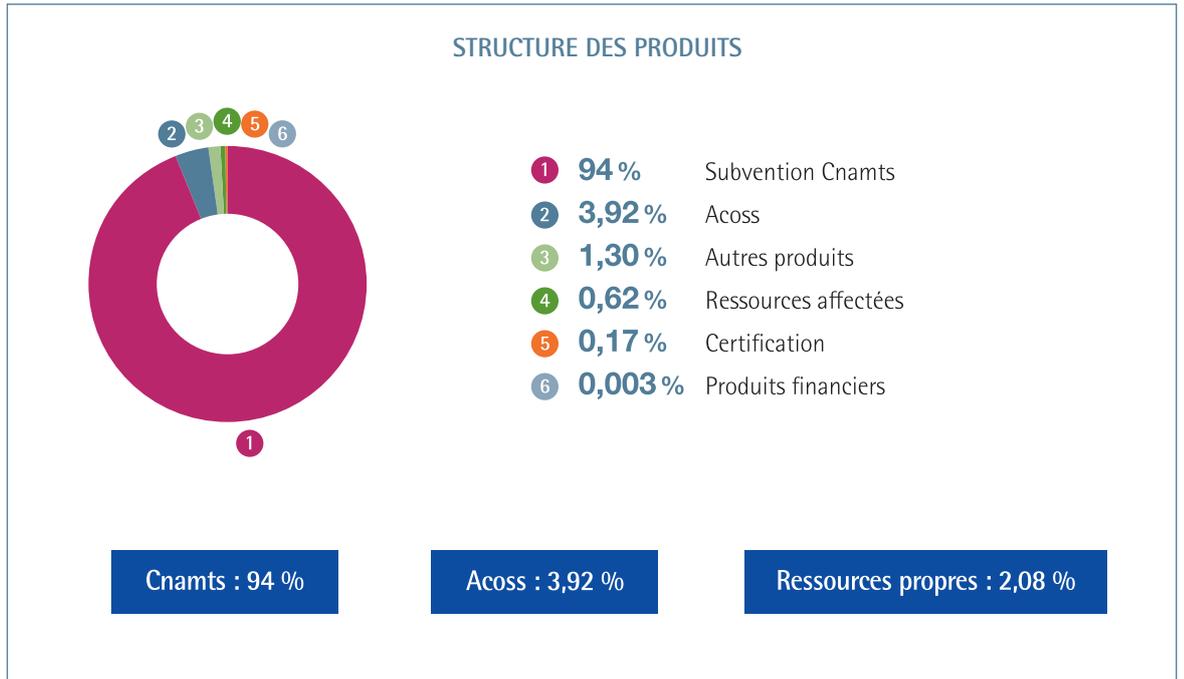
À ces réserves s'ajoutent :

La recette de financement externe rattachée à des actifs	+ 85 303,53 €
Les amortissements cumulés de :	+ 14 712 813,39 €
Diminués de la quote-part rattachée à des financements externes d'actifs	- 74 801,34 €
Constituant les ressources stables à hauteur de :	<b>60 867 065,46 €</b>
Les amortissements finançant l'actif immobilisé d'un montant cumulé de :	- 20 468 983,14 €
<b>Et sont disponibles pour</b>	<b>40 398 082,32 €</b>

### Les durées d'amortissement

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





<i>Charges</i>	<i>Exercice 2015</i>	<i>Exercice 2014</i>
<b>Charges d'exploitation</b>	<b>17 816 512,35</b>	<b>13 745 413,59</b>
Achats non stockés de matières et fournitures	631 690,82	389 413,09
Personnel extérieur de l'établissement		
- personnel intérimaire		
- autres	1 618 010,36	1 059 862,36
Autres services extérieurs	15 566 811,17	12 296 138,14
<b>Impôts, taxes et versements assimilés</b>	<b>2 994 068,72</b>	<b>3 523 665,94</b>
Sur rémunérations	2 990 950,72	2 939 079,81
Autres	3 118,00	584 586,13
<b>Charges de personnel</b>	<b>32 435 905,65</b>	<b>31 802 185,76</b>
Salaires et traitements	24 185 583,47	23 730 544,81
Charges sociales	8 250 322,18	8 071 640,95
<b>Dotations aux amortissements et provisions</b>	<b>1 727 265,18</b>	<b>1 155 425,74</b>
Sur immobilisations : dotations aux amortissements	1 727 265,18	1 155 425,74
<b>Autres charges</b>	<b>252 806,95</b>	<b>56 854,04</b>
<b>TOTAL I</b>	<b>55 226 558,85</b>	<b>50 283 545,07</b>
<b>Charges spécifiques</b>		
<b>Charges financières</b>	<b>211,99</b>	<b>2 302,59</b>
Charges assimilées		
Différences négatives de change	122,69	2 194,84
Autres charges financières	89,30	107,75
<b>Charges exceptionnelles</b>	<b>375 859,73</b>	<b>375 558,52</b>
Sur opérations de gestion	375 859,73	373 853,64
Sur opérations exercice antérieur		
Sur opérations en capital		
- valeurs comptables des éléments immobilisés		
- dotations aux amortissements et provisions		1 704,88
<b>TOTAL II</b>	<b>376 071,72</b>	<b>377 861,11</b>
<b>TOTAL DES CHARGES</b>	<b>55 602 630,57</b>	<b>50 661 406,18</b>
Solde créditeur = bénéfice		352 933,29
<b>TOTAL GÉNÉRAL</b>	<b>55 602 630,57</b>	<b>51 014 339,47</b>

## Résultat de l'activité 2015

<i>Produits</i>	<i>Exercice 2015</i>	<i>Exercice 2014</i>
<b>Produits d'exploitation</b>	<b>49 822 989,70</b>	<b>46 792 133,74</b>
Production vendue		
- prestations de services et études, activités annexes	590 328,11	888 057,48
Subvention d'exploitation		
- subvention d'exploitation	48 904 080,00	45 479 200,00
- produits ressources affectées	320 123,92	357 349,06
- autres subventions	<b>1 000,00</b>	<b>30 392,00</b>
Reprise sur amortissements et provisions	7 457,67	37 135,20
Autres produits		
<b>TOTAL I</b>	<b>49 822 989,70</b>	<b>46 792 133,74</b>
<b>Produits spécifiques</b>	<b>2 123 978,70</b>	<b>4 000 896,55</b>
- Certification	86 655,00	28 415,00
- Transparence		16 905,00
- CNEDIMTS		3 220,00
- Acoss	2 037 323,70	3 952 356,55
<b>Produits financiers</b>	<b>1 310,90</b>	<b>42 146,60</b>
Autres intérêts et produits assimilés	720,24	42 091,15
Différences positives de change	590,66	55,45
<b>Produits exceptionnels</b>	<b>79 669,83</b>	<b>179 162,58</b>
Sur opérations de gestion	79 669,83	179 066,92
Sur opérations en capital		95,66
<b>TOTAL II</b>	<b>2 204 959,43</b>	<b>4 222 205,73</b>
<b>TOTAL DES PRODUITS</b>	<b>52 027 949,13</b>	<b>51 014 339,47</b>
Solde débiteur = perte	3 574 681,44	
<b>TOTAL GÉNÉRAL</b>	<b>55 602 630,57</b>	<b>51 014 339,47</b>

## Résultat au 31 décembre 2015 – Cadre récapitulatif

	<i>Charges</i>	<i>Produits</i>
<b>Total</b>	<b>55 602 630,57</b>	<b>52 027 949,13</b>
<b>Déficit</b>		<b>3 574 681,44</b>
	<b>55 602 630,57</b>	<b>55 602 630,57</b>

Actif	Exercice 2015			Exercice 2014
	Brut	Amortissements et provisions (à déduire)	NET	NET
<b>ACTIF IMMOBILISÉ</b>				
<b>Immobilisations incorporelles</b>	<b>13 610 949,32</b>	<b>9 534 468,72</b>	<b>4 076 480,60</b>	<b>3 192 525,83</b>
Concessions et droits similaires	13 572 344,12	9 534 468,72	4 037 875,40	2 687 403,45
Avances et acomptes	38 605,20		38 605,20	505 122,38
<b>Immobilisations corporelles</b>	<b>6 376 993,96</b>	<b>5 178 344,67</b>	<b>1 198 649,29</b>	<b>456 777,74</b>
Autres immobilisations corporelles	6 376 993,96	5 178 344,67	1 198 649,29	456 777,74
Avances et acomptes				
<b>Immobilisations financières</b>	<b>481 039,86</b>		<b>481 039,86</b>	<b>490 326,77</b>
Prêts	13 526,64		13 526,64	24 382,56
Autres	467 513,22		467 513,22	465 944,21
<b>TOTAL I</b>	<b>20 468 983,14</b>	<b>14 712 813,39</b>	<b>5 756 169,75</b>	<b>4 139 630,34</b>
<b>ACTIF CIRCULANT</b>				
<b>Stocks et en cours</b>				
<b>Acomptes et avances versés sur commande</b>				
<b>Créances d'exploitation</b>	<b>33 328 372,75</b>		<b>33 328 372,75</b>	<b>39 705 870,24</b>
Créances clients et comptes rattachés	33 328 372,75		33 328 372,75	38 829 711,09
Autres créances d'exploitation				876 159,15
<b>Créances diverses</b>	<b>10 114 852,27</b>		<b>10 114 852,27</b>	<b>12 755 159,58</b>
Valeurs mobilières de placements				
Disponibilités	10 095 802,45		10 095 802,45	13 746 963,02
Virements émis				-1 016 452,97
Charges constatées d'avance	19 049,82		19 049,82	24 649,53
<b>TOTAL II</b>	<b>43 443 225,02</b>		<b>43 443 225,02</b>	<b>52 461 029,82</b>
Charges à répartir sur plusieurs exercices				
<b>TOTAL III</b>				
Autres				
<b>TOTAL IV</b>				
Écart de conversion - actif				
<b>TOTAL V</b>				
<b>TOTAL GÉNÉRAL (I+II+III+IV+V)</b>	<b>63 912 208,16</b>	<b>14 712 813,39</b>	<b>49 199 394,77</b>	<b>56 600 660,16</b>

<i>Passif</i>	<i>Exercice 2015</i>	<i>Exercice 2014</i>
<b>CAPITAUX PROPRES</b>		
<b>Réserves</b>	<b>49 718 431,32</b>	<b>49 365 498,03</b>
- Autres	49 718 431,32	49 365 498,03
<b>Report à nouveau</b>		
<b>Résultat de l'exercice</b>	<b>- 3 574 681,44</b>	<b>352 933,29</b>
<b>Financement de l'actif</b>	<b>10 502,19</b>	<b>7 774,86</b>
<b>TOTAL I</b>	<b>46 154 252,07</b>	<b>49 726 206,18</b>
<b>PROVISIONS POUR RISQUES</b>		
<b>TOTAL II</b>		
<b>DETTES</b>		
<b>Dettes d'exploitation</b>	<b>2 839 241,37</b>	<b>1 700 326,57</b>
- Dettes fournisseurs et comptes rattachés	2 785 257,95	1 659 048,22
- Dettes fiscales et sociales	53 983,42	41 278,35
<b>Autres dettes d'exploitation</b>	<b>205 901,33</b>	<b>5 174 127,41</b>
- Personnels et comptes rattachés	61 737,61	23 813,72
- État et autres collectivités publiques	108 491,61	
- Débiteurs créditeurs divers	27 714,35	5 078 700,03
- Comptes transitoires ou d'attente	7 957,76	71 613,66
<b>TOTAL III</b>	<b>3 045 142,70</b>	<b>6 874 453,98</b>
<b>COMPTES DE RÉGULARISATION</b>		
Écart de conversion - passif		
<b>TOTAL IV</b>		
<b>TOTAL GÉNÉRAL (I+II+III+IV)</b>	<b>49 199 394,77</b>	<b>56 600 660,16</b>



# Rapports des commissions réglementaires

<b>Commission de la transparence (CT)</b>	<b>75</b>
■ Missions, composition, fonctionnement, doctrine et évolutions	75
■ Activités de la commission	84
■ Soutien à l'innovation	94
■ Le bon usage des médicaments	96
■ Conclusion et perspectives	97
■ Liste des tableaux	99
<b>Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS)</b>	<b>100</b>
■ Missions, fonctionnement et doctrine	101
■ Données d'activité	108
■ Perspectives	121
■ Annexe	124
<b>Commission évaluation économique et santé publique (CEESP)</b>	<b>125</b>
■ Missions, composition et fonctionnement	125
■ Activité non programmée : les avis d'efficience	127
■ Autres activités	139
■ Perspectives	143
■ Liste des tableaux	144



# 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 de ce 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 2015 et concerne :

- 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'offre de soins ou Comité économique des produits de santé et 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**.

Cette année 2015 aura aussi été marquée par la contribution de la commission à l'élaboration du rapport présidé par Dominique Polton sur la réforme des modalités d'évaluation des médicaments.

## Missions, composition, fonctionnement, doctrine et évolutions

### 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<sup>er</sup> 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 (SMR) 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](http://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

L'année 2015 a été marquée par la publication d'un décret<sup>1</sup> qui a modifié la composition de la commission en supprimant le poste à voix consultative accordé à un représentant des industries de santé et en ajoutant un poste avec voix délibérative pour un membre titulaire choisi parmi les adhérents d'une association de malades et d'usagers du système de santé et son suppléant, nommé désigné.

**La commission comprend désormais 28 membres, dont 21 titulaires et 7 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, pharmacologues.

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

La commission nouvellement nommée siège pour un mandat allant de novembre 2015 à novembre 2018. La commission est présidée par le Pr Loïc Guillevin, membre du Collège de la HAS depuis janvier 2014, et ses deux vice-présidents sont le Pr Jean Ponsonaille et le Dr 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, la gastro-entérologie, la néphrologie, la gériatrie, l'infectiologie, la pédiatrie, l'ophtalmologie, la psychiatrie, la gynécologie-obstétrique, la médecine générale, la pharmacologie clinique, la pharmacie hospitalière et officinale, les biostatistiques, la pharmacologie, l'épidémiologie...

La commission comprend également 7 membres ayant voix consultative, représentant les principales administrations de santé (ANSM, DGS, DSS, DGOS) et les caisses d'assurance maladie (Cnamts, RSI, MSA). 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 et du service évaluation des médicaments et 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 du médicament 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 aux séances 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 une cinquantaine de demandes 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 a en charge l'évaluation et l'appréciation du bien-fondé de la prise en charge des médicaments, dans le cadre strict de leur autorisation de mise sur le marché (AMM).

Les avis définitifs de la commission sont adressés, d'une part à l'entreprise ayant déposé sa demande d'inscription, de réévaluation ou de renouvellement d'inscription, et d'autre part 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](http://www.has-sante.fr)).

---

1. Décret du 9 juillet 2015 publié au Journal officiel du 11 juillet 2015.

## 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 évalués que dans l'indication de l'AMM et pris en charge que s'ils sont inscrits sur une liste positive<sup>2</sup> établie après avis d'une commission scientifique indépendante, la CT. Cet avis, lorsqu'il est favorable à l'inscription, contient les informations qui contribuent à la fixation du prix du médicament par le CEPS.

Comme dans nombre de pays d'Europe, il y a une indépendance entre l'évaluation médicale par une commission scientifique et la décision par les pouvoirs publics d'inscription sur les listes de médicaments remboursables ou pris en charge.

Cette intervention de la commission ne concerne que les médicaments ayant obtenu l'AMM pour lesquels il existe une demande d'inscription par l'entreprise exploitante. Elle est conjuguée à celle de la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDI/MTS) 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 sociale<sup>3</sup> 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)<sup>4</sup> 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 :
  - l'entreprise 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 d'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...);
- 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.

2. Il y a 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).

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

4. 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.

#### ► 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 de subir ses 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 différent, marqueur de réponse spécifique, vulnérabilité liée à l'âge, à une insuffisance rénale, à une insuffisance hépatique...);
- 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.

#### ► 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 le 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.

#### ► 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 bénéfique/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, ou ne figure dans aucune recommandation pour la pratique clinique.

\* *Un seul peut suffire 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 énième 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 où 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 et 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 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'amélioration du service médical rendu (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 HAS<sup>5</sup>, 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... 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, population dont les caractéristiques sont précisées.

## 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.

Ceci 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 pharmaco-thérapeutique 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 pharmaco-thérapeutique 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.

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

---

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

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 l'absence de confirmation de propriétés particulières cette ASMR peut être réévaluée à la baisse. Dans les deux cas, la commission doit focaliser son évaluation des médicaments dans le cadre de leur indication de l'AMM.

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 ;
- susceptible d'apporter un progrès cliniquement pertinent par rapport aux moyens disponibles ;
- 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, le nombre de patients en affection de longue durée, la littérature scientifique...) 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 les incertitudes 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 données sur l'effet du médicament en conditions réelles d'utilisation, essentielles pour réduire l'incertitude initiale et permettre une réévaluation pertinente, sur les aspects cliniques individuels et 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...

Ces demandes d'études sont mentionnées dans les avis de la CT et peuvent être reprises dans la convention signée entre le Comité économique des produits de santé (CEPS) et l'entreprise. Les conditions de réalisation de ces études sont prévues dans les accords cadres signés par le CEPS avec les Entreprises du médicament (LEEM) et un comité de suivi CEPS/HAS établit une coordination dans leur mise en œuvre et 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 2011](#) ».

## 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. Le principe appliqué est que les membres ayant des liens majeurs avec l'entreprise exploitant le médicament évalué ou avec celles 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 et du guide de déclaration d'intérêts et de gestion des conflits d'intérêts de la HAS](#).

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. Depuis le mois de novembre 2015, la transcription des débats qui ont lieu au sein de la commission est publiée sur le site Internet de la HAS, après que chaque industriel concerné a masqué les informations qui sont de l'ordre du secret industriel et commercial.

### 3. Réforme des modalités d'évaluation des médicaments

En mars 2015 et à la demande de la ministre de la Santé, un groupe de travail sur l'évaluation des médicaments a été lancé sous la présidence de Dominique Polton. La lettre de mission mentionnait les quatre objectifs suivants :

- dresser un état des lieux des difficultés actuelles rencontrées lors de l'évaluation des produits de santé ;
- proposer des options d'évolution des critères d'admission au remboursement et de négociation des prix des produits de santé, l'évaluation comparative ainsi que la médico-économie devant être au centre des réflexions ;
- détailler les conséquences attendues en termes d'organisation et de gouvernance des différents acteurs impliqués dans ces questions ;
- évaluer les différentes modalités de financement qui pourraient être mises en œuvre pour permettre une juste rémunération des industriels de santé, tout en assurant le respect des engagements pris dans le cadre de la programmation pluriannuelle des dépenses de santé.

Le groupe de travail constitué a rassemblé l'ensemble des parties prenantes avec une forte mobilisation de la commission de la transparence ainsi que du service d'évaluation des médicaments (SEM). La HAS a ainsi activement contribué à l'élaboration de l'état des lieux de l'évaluation du médicament en alimentant la mission de nombreux bilans et analyses transversales.

Ainsi, lors des premières concertations, le SEM pour le compte de la CT a souhaité réaliser un diagnostic partagé de la situation actuelle et des forces et faiblesses du système d'évaluation en vigueur, avant d'envisager de le modifier.

Dans ce cadre, il a été réalisé :

- **un historique des critères d'accès au remboursement**, initialement au travers d'un critère comparatif « ASMR à 6 niveaux », puis le questionnement sur le bien-fondé de la prise en charge et l'évolution vers le SMR en 1999 (décret n° 99-915 du 27 octobre 1999) ;
- **un bilan d'activité quantitatif des SMR rendus par la CT** sur les 5 dernières années. Deux tendances ont été identifiées : environ 80 % des SMR attribués (pour des médicaments nouveaux ou des extensions d'indication) sont importants, et 7 à 10 % des cas selon les années sont jugés insuffisants. Un nouveau médicament sur 10 revendiquant une première inscription n'est pas admis au remboursement ;
- **un bilan chiffré de l'impact des réévaluations du SMR**. Une analyse de l'ensemble des avis rendus dans le cadre de réévaluations non programmées (saisines, demandes du laboratoire) a été menée entre 2012 et 2014 ; ce qui représente 57<sup>e</sup> réévaluations. La moitié de ces réévaluations s'accompagnaient en outre d'une réévaluation de l'ASMR. Ces évaluations ont conduit dans 26 % (15/57) des cas à une dégradation du SMR et/ou de l'ASMR initiale dont 5 ont conduit à un SMR insuffisant (pour tout ou partie des indications). Si l'on s'intéresse aux 27 réévaluations du SMR seul, celui-ci a été dégradé dans 48 % (13/27) des cas. *A contrario*, dans le cadre des renouvellements d'inscription quinquennaux rendus en 2014, 90 % (84/163) ont abouti au maintien du SMR ;
- **une analyse qualitative de l'ensemble des avis rendus en procédure d'instruction complète (inscriptions, extensions d'indication, renouvellements d'inscription, réévaluations) en 2014** ; ce qui représente 307 SMR évalués. Une grille de codage reprenant les cinq dimensions réglementaires du SMR a été prédéfinie et complétée, pour les 307 SMR, par un évaluateur comme suit :
  - l'efficacité et la tolérance, classées selon la gradation : importante, modérée, mal établie/non quantifiable ou insuffisante,
  - la gravité de la maladie : modérée, grave, pronostic vital engagé,
  - la visée du médicament : curative, préventive, substitutive, symptomatique, traitement d'appoint, autre (palliatif, antalgique),
  - la place dans la stratégie thérapeutique : 1<sup>re</sup> intention, 2<sup>e</sup> intention, dernière intention, traitement de recours/supplémentaire, pas de place dans la stratégie thérapeutique,
  - l'intérêt de santé publique : important, modéré, faible, non défini/non quantifiable/absent ou négatif.

Ce bilan, dont les résultats sont repris dans le rapport final de la mission, a permis d'objectiver l'existence de facteurs de pondération implicites qui ont évolué au fil du temps. Si antérieurement le niveau de SMR était particulièrement dépendant de la gravité de la pathologie concernée, un changement s'est opéré au sein de la commission qui s'attache de plus en plus à la quantité d'effet.

La place dans la stratégie thérapeutique est discriminante de manière binaire : les médicaments qui n'ont pas de place dans la stratégie thérapeutique obtiennent un SMR insuffisant. Mais lorsqu'une place existe, sa caractérisation (traitement de 1<sup>re</sup>, 2<sup>e</sup> ou énième intention, traitement supplémentaire, traitement de recours...) n'a pas d'impact sur le niveau de SMR. Enfin, ni la visée du traitement, ni l'intérêt de santé publique n'apparaissent réellement discriminants.

---

6. Centre trente-sept médicaments réévalués dont plusieurs dans le cadre d'une réévaluation dite « de classe », regroupant des médicaments de la même classe pharmacothérapeutique (ex : réévaluations des produits de contraste iodés, des traitements hormonaux substitutifs de la ménopause, des opioïdes forts ou des solutés de remplissage). Ainsi, si l'on considère que tous les médicaments réévalués dans le cadre d'une même réévaluation comptent pour 1, la commission a effectué 57 réévaluations.

Le SEM a également alimenté les éléments de diagnostic en comparant le système d'évaluation et d'accès au remboursement français à celui des autres pays.

Cette comparaison s'est appuyée sur les résultats de l'enquête EUnetHTA de 2011, regroupant 30 pays, dont 26 européens.

Une très grande majorité des pays (80 %) gèrent leur panier de soins de ville au travers d'une liste positive. Six pays utilisent une liste négative, principalement pour les médicaments à coût très élevé et lorsqu'un doute existe sur leur efficacité en conditions réelles. S'agissant de la gestion du panier des soins à l'hôpital, 12 pays utilisent une liste positive.

Le lien fort entre existence d'une liste positive et évaluation *a priori* pour accéder au remboursement a été souligné. L'évaluation *a priori* est ciblée (nouveaux produits, médicaments en oncologie, médicaments orphelins) et réalisée dans des délais courts (180 jours réglementaire). Elle est comparative et s'appuie sur six critères principaux (poids relatif non explicité) :

- l'efficacité (83 % des pays) et l'efficacité en vie réelle (41 % des pays) ;
- le ratio bénéfice/risque (45 %) ;
- le coût/efficacité (62 %) ;
- la valeur thérapeutique ajoutée ;
- le besoin thérapeutique ;
- la transposabilité.

Il a été souligné que, contrairement aux autres pays européens, le SMR n'évalue pas deux de ces dimensions : la valeur thérapeutique ajoutée et le coût/efficacité. *A contrario*, l'item « caractère symptomatique, curatif ou préventif » du SMR n'est retrouvé pour aucun pays.

Deux grands types de « système de remboursement » existent : d'une part des systèmes à 100 % (avec plafonnement du reste à charge) et d'autre part des systèmes à taux différenciés par produit, similaires au système français, décrits en Belgique, Grèce, Portugal et Hongrie. Le système belge a néanmoins été jugé complexe dans la mesure où les taux différenciés par produit dépendent également du type de médicament et de leur prix.

Enfin, le SEM a procédé, en sus de la communication de ses délais d'instruction, à une étude complémentaire de l'étude publiée par le LEEM en mars 2015 portant sur les délais d'accès au remboursement de 220 médicaments ayant obtenu une AMM entre 01/01/2009 et le 31/12/2014, dont 107 ayant fait l'objet d'un avis de la commission de la transparence. Les objectifs étaient à la fois de valider et partager le diagnostic, l'étude du LEEM comportant certains biais, mais aussi de mieux analyser la formation de ces délais.

Pour les 107 médicaments concernés, le SEM a recalculé les délais entre les dates de dépôt effectives, les dates d'examen et les dates d'avis en intégrant les périodes de suspension, et a également colligé des informations qualitatives (demande d'audition, procédure d'instruction, recours au pré-dépôt, recours aux ATU...).

Les résultats confirment le diagnostic du LEEM avec un délai moyen entre la date de dépôt/date d'avis de 128 jours (dont 108 jours pour l'examen) et un délai médian de 122 jours (*versus* 127 jours dans l'analyse du LEEM).

Les nuances et biais suivants ont été soulignés :

- 99 % des médicaments retenus par le LEEM ont été instruits selon une procédure d'instruction complète qui implique deux réunions de la commission à 2 semaines d'intervalle pour l'examen et l'adoption de l'avis, avec 45 minutes d'examen en commission ;
- 40 % (42/107) de ces dossiers ont fait l'objet d'une audition, l'audition étant programmée en moyenne 88 jours après la date d'examen.

Cette étude a également démontré que le recours au pré-dépôt améliorerait significativement les délais moyens (- 30 jours), bien qu'il n'ait concerné que 20 médicaments sur les 107 étudiés.

De plus, et afin de disposer d'un diagnostic sur le périmètre le plus complet possible, le SEM a également analysé les délais d'instruction de tous les nouveaux médicaments inscrits au remboursement, quelle que soit la procédure d'instruction, sur la même période de temps, ce qui représente 1 350 médicaments. Les résultats montrent des délais moyens entre la date de dépôt effective et la date d'avis de 97 jours.

Pour finir, la CT a identifié puis partagé avec le groupe de travail les situations où l'évaluation lui est rendue difficile et tout particulièrement :

- celle des médicaments où la démonstration d'efficacité est limitée, dans des pathologies pour lesquelles il n'y a pas d'alternative thérapeutique. Lorsque la quantité d'effet d'un médicament est faible, mais que celui-ci apporte une couverture partielle à un besoin médical jusqu'alors non couvert, il peut obtenir un SMR faible/modéré et une ASMR IV. Il peut également s'agir de médicaments pour lesquels la quantité d'effet est mal démontrée, mais où il est impossible d'obtenir un meilleur niveau de preuve en raison de la rareté de la maladie. Dans ces situations – qui sont rares mais amenées à se multiplier du fait des AMM très précocement octroyées – l'efficacité intrinsèque faible se confond avec une efficacité relative mineure du fait de l'absence d'alternatives thérapeutiques. La distinction entre une efficacité intrinsèque « faible » et « insuffisante » porte à débat et repose sur des « seuils cliniques pertinents », évalués au cas par cas par la commission, en s'appuyant sur les rapports d'experts des centres de référence et des recommandations le cas échéant. L'analyse chiffrée réalisée par la HAS a identifié 16 médicaments concernés depuis 2012, dont 6 médicaments orphelins ;
- celle des médicaments qui arrivent avec des données partielles et très limitées dans un contexte d'incertitudes importantes sur les résultats cliniques ;
- celle des associations fixes ou de stratégies, qui conduisent à formuler un avis pour un médicament qui ne sera pris qu'en association avec d'autres, et avec des résultats éventuellement différents selon le médicament auquel il est associé.

Au regard de ces nombreux éléments de diagnostic, comportant aussi bien des bilans d'activité que des analyses techniques et comparaisons internationales, la HAS a souhaité porter un certain nombre de propositions devant le groupe de travail, et notamment :

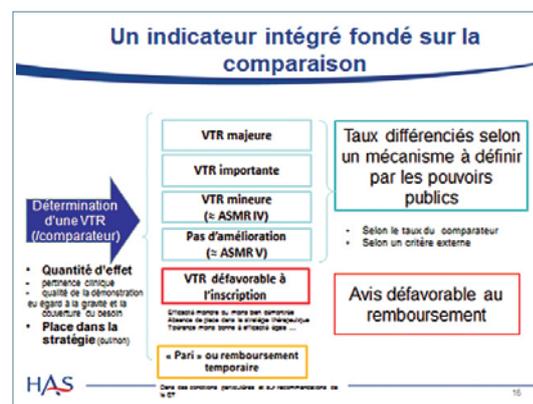
- le besoin de discernement dans le processus d'évaluation, notamment en termes de livrables ;
- la notion de « pari » comme réponse aux problèmes identifiés des SMR faibles/modérés et ASMR IV, mais plus généralement comme réponse à l'incertitude associée à certains médicaments. En pratique, la commission y a déjà recours ponctuellement

lorsqu'elle demande une réévaluation avant le renouvellement d'inscription quinquennal. Il s'agirait donc d'officialiser une pratique de l'évaluateur au travers d'un régime spécifique de prise en charge, défini *a priori*, avec un principe de sortie du remboursement. Le maintien serait conditionné à la levée des incertitudes initiales *via* des études post-AMM. La HAS a proposé une sélection de médicaments éligibles par la commission de la transparence sur la base de conditions d'entrée strictes (liste non exhaustive) :

- ▶ une maladie grave, pour un médicament ayant une population unique,
- ▶ un besoin médical non couvert (absence d'alternative),
- ▶ des données cliniques incomplètes et/ou une efficacité mal démontrée, mais l'effet observé semble susceptible de représenter un intérêt clinique,
- ▶ des données permettant de lever les incertitudes accessibles à moyen terme (< 5 ans) ;
- son souhait de voir évoluer le couple SMR/ASMR vers un indicateur unique, la VTR (valeur thérapeutique relative), dans la mesure où le raisonnement de la commission est nécessairement comparatif d'emblée, y compris pour le jugement sur le SMR, et cette approche comparative est celle de toutes les agences d'HTA européennes. La VTR présente également des évolutions par rapport à l'ASMR actuelle avec un score resserré (4 niveaux), l'introduction d'une VTR négative, et des critères mieux explicités. L'ensemble des évolutions proposées par la HAS est synthétisé dans le document ci-contre.

À l'issue des propositions retenues par Dominique Polton, des analyses de faisabilité et des simulations ont été réalisées par le SEM, notamment en ce qui concerne le scénario 3 qui propose un critère d'évaluation unique avec taux différenciés.

La HAS a proposé que le taux de remboursement d'un nouveau médicament évalué soit le même que celui de son comparateur. Plusieurs configurations « à difficultés » ont été analysées : absence de comparateur cliniquement pertinent (ex. : médicament orphelin, dernière ligne en oncologie), comparateur hors AMM (ex. : FAMPYRA dans la SEP), le groupe de comparateurs n'a pas d'autres comparateurs que les médicaments du groupe (ex. : AASAL), le comparateur est en RTU (ex. : SYLVANT), le comparateur est un DM (ex. : HYALGAN dans la gonarthrose), coexistence de plusieurs comparateurs à taux différents (ex. : diabète, kératose actinique...), le comparateur de l'étude clinique n'est pas optimal... D'après les premiers éléments d'analyse, aucune difficulté technique n'a été identifiée à condition de définir d'autres critères que la seule référence aux taux des comparateurs. La HAS a, par ailleurs, souligné que ce scénario implique, en prospectif, l'évolution vers des taux uniques par pathologie.



## Activités de la commission

En 2015, 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 notamment concerné en 2015 des vaccins, des anticancéreux, les plasmas ou les médicaments indiqués dans le traitement de la maladie d'Alzheimer...

Elle réalise également des réévaluations générées par des **autosaisines**, 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 (cf. **programme de travail** annuel de la HAS).

### ► 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 prévoit 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 **présupposé 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 médi-

cement 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

La commission effectue 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<sup>er</sup> janvier et le 31 décembre 2015. Elles peuvent ne pas avoir encore fait l'objet d'un examen par la commission au 31 décembre 2015. L'avis alors réalisé ne figurera que dans le compte rendu d'activité de 2016.*

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.

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 2015, la commission a reçu des saisines concernant :

- Nocertone – janvier 2015 ;
- les plasmas thérapeutiques – avril 2015 ;
- les vaccins Nimenrix et Menveo – juin 2015 ;
- des médicaments inscrits sur la liste en sus : Alimta, Avastin, Busilvex, Caelyx, Herceptin, Levact, Roactemra, Velcade et Vfend – juillet 2015 ;
- les traitements de la maladie d'Alzheimer – juillet 2015 ;
- Cetornan – août 2015 ;
- les solutions d'acide hyaluronique – septembre 2015.

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 842 demandes en 2015, *versus* 634 demandes en 2014, réparties comme suit :

Tableau 1. Répartition entre les différents types de demandes déposées en 2015

Demandes déposées	2015	Rappel 2014
Première inscription	247	192
Inscription dans une extension d'indication	41	34
Renouvellement d'inscription	330	212
Modification des conditions d'inscription	54	48
Radiation	67	65
Modification administrative	36	30
Nouvel examen suite au dépôt de nouvelles données	9	1
Réévaluation du SMR ou de l'ASMR/saisine	56	51
Autre demande	2	1
<b>TOTAL</b>	<b>842</b>	<b>634</b>

Le nombre total de dossiers déposés a augmenté d'un tiers en 2015 par rapport à 2014 (+ 208 demandes). Cette augmentation est principalement le fait des renouvellements d'inscription (+ 56 %) mais aussi des inscriptions (+ 29 %).

Au total, les inscriptions représentent un peu moins du tiers des demandes ; cette proportion reste relativement stable au cours des années.

## 1.2 Demandes examinées par la commission

*Cette partie reflète l'activité effective de la commission en 2015, puisqu'elle porte sur des demandes examinées par la commission au cours de l'année. Ces demandes peuvent avoir été enregistrées avant 2015 ou leur instruction peut avoir été achevée après le 31 décembre 2015.*

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 23 reprises au cours de l'année 2015, elle a examiné 808 demandes.**

Tableau 2. Répartition entre les différents types de demandes examinées en 2015

Demandes examinées	Nombre de dossiers
Première inscription	236
Inscription dans une extension d'indication	41
Renouvellement d'inscription	326
Modification des conditions d'inscription	46
Radiation	76
Modification administrative	34
Nouvel examen suite au dépôt de nouvelles données	7
Réévaluation du SMR ou de l'ASMR et saisine	42
<b>TOTAL</b>	<b>808</b>

Cette année 2015 est marquée par une augmentation du nombre de demandes d'inscription examinées (236 versus 191 en 2014) mais également par une très forte augmentation des examens dans le cadre de renouvellement d'inscription puisque ce nombre est passé de 175 en 2014 à 326 en 2015 (+ 86 %).

### ► Évolution sur 3 ans

Au 31 décembre 2015, 483 demandes étaient en cours d'instruction.

Tableau 3. Nombre de dossiers examinés par séance depuis 2013

Année	Total	Nombre/séance
2013 (22 séances)	671	31
2014 (25 séances)	624	25
2015 (23 séances)	<b>808</b>	<b>35</b>

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 au débats ni aux votes de la commission.

➔ **Au cours de l'année 2015, 103 expertises externes ont été sollicitées et 58 présentées en séance par l'expert.**

### 1.3 Avis rendus par la commission

*Cette partie présente les avis rendus par la commission en 2015. Les données présentées peuvent correspondre à des demandes déposées avant 2015 ou dont l'instruction a débuté avant le 1<sup>er</sup> janvier 2015. Les avis dont l'adoption ou la phase contradictoire était en cours au 31 décembre 2015 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 du médicament. 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 du médicament. Il est publié sur le site Internet de la HAS.

➔ **En 2015, la CT a rendu 805 avis soit une augmentation de l'activité de + 28 % par rapport à 2014.**

Tableau 4. Avis rendus en 2015 selon les différents types de demandes

Avis selon les demandes de	Nombre de dossiers	Rappel 2014
Première inscription	<b>232</b>	190
Inscription dans une extension d'indication	<b>40*</b>	45
Renouvellement d'inscription	<b>330</b>	184
Modification des conditions d'inscription	<b>45</b>	45
Modification administrative	<b>36</b>	30
Radiation	<b>77</b>	53
Nouvel examen suite au dépôt de nouvelles données	<b>5</b>	1
Réévaluation du SMR ou de l'ASMR/saisine	<b>40</b>	81
Autre demande	<b>0</b>	1
<b>TOTAL</b>	<b>805</b>	630

\* dont 4 déclarées par l'entreprise mais sans demande d'accès au remboursement.

L'augmentation de l'activité de la commission en 2015 est particulièrement marquée pour ce qui concerne le nombre d'évaluations de primo-inscription (+ 22 %) et les examens de demandes de renouvellement d'inscription (+ 80 %).

Parmi les travaux réalisés, trois sujets ont marqué l'année 2015. Il s'agit de la réévaluation de la place des benzodiazépines dans la prise en charge de l'anxiété, de la place des associations corticoïde/bêta 2-mimétique dans l'asthme et la bronchopneumopathie chronique obstructive et de l'arrivée des anti-PD1 dans le traitement du mélanome malin avancé.

Pour l'examen des demandes, la commission dispose de deux procédures d'instruction :

- **la procédure d'inscription 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 du médicament 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 ;

- **la procédure d'inscription 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 2015, 190 des 805 avis rendus ont fait l'objet d'une procédure complète (contre 219 sur 630 avis rendus en 2014 et 146 sur 620 avis rendus en 2013).

## 1.4 Inscriptions et extensions d'indication

*Cette partie porte exclusivement sur les avis définitifs, c'est-à-dire envoyés aux décideurs en 2015.*

Parmi les 805 avis rendus en 2015, 232 (29 %) ont concerné des demandes de première inscription d'un médicament. Par ailleurs, lorsque l'AMM autorise une extension d'indication pour un médicament l'entreprise du médicament qui l'exploite doit en informer la commission même si elle ne souhaite pas que celle-ci soit remboursable. En 2015, la commission a rendu 36 avis portant sur des demandes d'inscription dans une extension d'indication et 4 avis sur des extensions d'indication que l'entreprise ne souhaitait pas porter au remboursement.

### ► 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 agréés à l'usage des collectivités (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 2015, 37 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 232 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 9 médicaments. Parmi les 36 avis rendus dans le cadre de l'examen des extensions d'indication, pour 3 médicaments le SMR a été considéré comme insuffisant et un avis défavorable à l'inscription au remboursement de cette nouvelle indication a été donné par la commission.

*Tableau 5. SMR attribués en 2015 pour tout ou partie des indications en première inscription ou pour une nouvelle indication (toutes procédures)*

SMR	Nombre de SMR total (268 avis)	Nombre de SMR Inscription (232 avis)	Nombre de SMR Extension d'indication (36 avis)
Important	219	193	26
Modéré	32	26	6
Faible	15	14	1
Insuffisant	42	34	8
Commentaire/non précisé	5	4	1
<b>TOTAL</b>	<b>313</b>	<b>271</b>	<b>42</b>

*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 2015, 31 avis ont comporté 2 SMR différents, 4 avis ont comporté 3 SMR différents, et 2 avis ont comporté 4 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 spécifique, susceptible de tirer un bénéfice particulier du médicament.

Tableau 6. ASMR attribuées en 2015 aux demandes de première inscription ou d'inscription dans une nouvelle indication (toutes procédures)

	Total des avis rendus Cumul = 268	Avis rendus pour les inscriptions N = 232	Avis rendus pour les EI N = 36
I	0	0	0
II	1	0	1
III	6	6	0
IV	34	25	9
V	216	194	22
Commentaire	6	4	2
<b>TOTAL</b>	<b>263</b>	<b>229</b>	<b>34</b>

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 2015, 6 avis ont comporté des ASMR différentes, ce qui explique que le nombre d'ASMR formulées 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	2015
I	0	1	1	0
II	3	0	5	0
III	5	8	7	6
<b>TOTAL</b>	<b>8</b>	<b>9</b>	<b>13</b>	<b>6</b>

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	2015
I	0	0	1	0
II	3	2	4	1
III	5	4	4	0
<b>TOTAL</b>	<b>8</b>	<b>6</b>	<b>9</b>	<b>1</b>

En 2015, la commission a reconnu pour tout ou partie de leurs indications :

- une ASMR importante (II) :

Tableau 9. Médicament s'étant vu reconnaître une ASMR importante en 2015

Médicament	Indication/domaine thérapeutique
<b>VOTUBIA (extension d'indication)</b>	Astrocytome sous-épendymaire à cellules géantes associé à une sclérose tubéreuse de Bourneville, dans la population pédiatrique âgée de moins de 3 ans

- six ASMR modérées (III) :

Tableau 10. Médicaments s'étant vu reconnaître une ASMR modérée en 2015

Médicament	Indication/domaine thérapeutique
<b>ICLUSIG</b> (inscription)	Leucémie aiguë lymphoblastique à chromosome Philadelphie (LAL Ph+)
<b>IMBRUVICA</b> (inscription)	Leucémie lymphoïde chronique (LLC)
<b>GAZYVARO</b> (inscription)	Leucémie lymphoïde chronique (LLC)
<b>REVESTIVE</b> (inscription)	Traitement du syndrome de l'intestin court chez l'adulte
<b>SIRTURO</b> (inscription)	Tuberculose pulmonaire multirésistante (TB-MDR)
<b>ZYDELIG</b> (inscription)	Leucémie lymphoïde chronique (LLC)

### 1.5 Réévaluations : renouvellements d'inscription, saisines et autosaisines

Si la commission examine les médicaments en vue de leur accès au remboursement (§ 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 (médicaments pris en charge à l'hôpital) est valable sans limitation de durée, celle sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux (médicaments remboursés 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.

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 2015, la commission a rendu 330 avis répondant à une demande de renouvellement d'inscription. Dans la majorité des cas (315 avis – 95 %), les données analysées issues du dossier déposé par l'entreprise 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.

Dans tous les cas, les conclusions de la commission ont été une révision à la baisse de son appréciation antérieure, soit :

- 4 ont conclu à une baisse du SMR dans toutes les indications, entraînant une recommandation de prise en charge du médicament à un taux plus bas ;
- 2 ont conclu à une recommandation d'arrêt de la prise en charge du médicament dans une sous-population et à une baisse du SMR le plus élevé, entraînant une recommandation de prise en charge du médicament à un taux plus bas dans la population restante ;
- 3 ont entraîné un SMR insuffisant dans certaines indications, préconisant ainsi une non-prise en charge dans ces indications ;
- 6 avis 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 concerné.

#### ► Réévaluation

Indépendamment du calendrier de renouvellement d'inscription, les médicaments peuvent être réévalués à tout moment et ce à l'initiative :

- de l'entreprise du médicament qui peut demander la réévaluation du SMR ou de l'ASMR de son produit à tout moment si elle considère disposer de données suffisamment pertinentes. Cela a été le cas pour 10 avis rendus en 2015. Dans 4 de ces avis, la commission a revu à la hausse ses conclusions précédentes (augmentation du SMR) et dans les autres cas, les conclusions précédentes ont été maintenues ;

- de la commission qui peut se saisir elle-même ou être saisie par le ministre chargé de la santé et de la sécurité sociale ou le Collège de la HAS, 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 30 avis rendus en 2015.

Parmi ces 30 avis, la commission a maintenu ses conclusions précédentes à 19 reprises. Parmi les 11 avis ayant vu une modification des conclusions de la commission :

- 1 a conclu à une baisse du SMR, entraînant une recommandation de prise en charge du médicament à un taux plus bas ;
- 1 a 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 ;
- 7 avis 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. Six de ces avis concernaient la même molécule ;
- 1 avis a conduit à une baisse de l'ASMR de II à IV ;
- 1 avis a conduit à une hausse de l'ASMR de V à IV.

Enfin, une réévaluation peut être soumise par l'entreprise du médicament suite à l'obtention de résultats demandés par la commission dans le cadre d'une étude post-inscription (cf. 2 Études post-inscription). Cela a été le cas pour 5 avis rendus en 2015. Dans tous les cas, les données soumises n'ont pas entraîné de modification des conclusions initiales de la commission.

## 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 du médicament 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. Au total en 2015, le délai moyen de traitement des demandes de première inscription a été de 100 jours, le délai médian de 88 jours. Cinquante-deux pour cent de ces demandes ont été traitées en moins de 90 jours.

## 1.7 Phases contradictoires et recours

### ► Phase contradictoire

*Cette partie porte sur les phases contradictoires des avis transmis aux ministres en 2015. L'audition ou l'examen des observations écrites de l'entreprise du médicament peut avoir eu lieu en 2014. De même une audition réalisée en 2015 peut donner lieu à un avis transmis en 2016 et sera comptabilisée dans le rapport d'activité de 2016.*

Lors de l'audition qu'elle a sollicitée dans le cadre de la phase contradictoire, l'entreprise du médicament 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 du médicament peut se faire accompagner d'experts de son choix, qui se différencient des experts choisis par la commission. Pour ces auditions, les entreprises du médicament 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 de nouveau, tenant compte, le cas échéant, des arguments et éclairages présentés par l'entreprise du médicament, puis vote. Son avis définitif est alors communiqué à l'entreprise du médicament qui dispose de 8 jours calendaires pour signaler exclusivement les éventuelles erreurs matérielles.

En 2015, la commission a accordé 50 auditions concernant 57 médicaments. Dans la moitié des cas, il s'agissait de demandes de modification des conclusions de l'avis dans le cadre d'une primo-inscription.

Tableau 11. Motif d'examen par la commission pour les avis ayant fait l'objet d'une audition

Demande	Nombre de dossiers
Première inscription	25
Inscription dans une extension d'indication ou modification des conditions d'inscription	5
Renouvellement d'inscription ou réévaluation du SMR ou de l'ASMR à l'initiative de la commission/HAS ou des entreprises ou suite à une saisine	20

## ► Détail des modifications apportées

Quarante-quatre des 50 auditions effectuées en 2015 concernaient soit le SMR, soit l'ASMR, soit les deux. À l'issue de 39 de ces auditions les conclusions ont été maintenues (78 %) ; elles ont donc été modifiées dans 22 % des cas, totalement ou partiellement, en conformité ou non avec les revendications des entreprises. Une audition a donné lieu à une révision à la baisse de l'ASMR.

Tableau 12. Modifications de SMR ou d'ASMR apportées suite à une audition

Critère	Modification
SMR	Passage de modéré à important (2 avis)
ASMR	Passage de V à IV (2 avis)
ASMR	Passage de IV à V

Les 6 autres auditions qui ne concernaient ni le SMR ni l'ASMR ont porté sur la population cible (2 cas), la place dans la stratégie thérapeutique (2 cas) ou des aspects rédactionnels de l'avis (2 cas).

Par ailleurs, peuvent être soumises à la commission les observations écrites des entreprises 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 2015.

## ► Recours dans le cadre de l'article R. 163-13

Après que l'avis définitif a été transmis au ministre chargé 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 du médicament 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 du médicament 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 2015, ce droit a été exercé pour 7 médicaments dont 6 pour une même molécule et à chaque fois contre l'intention du ministre de radier. Les entreprises du médicament ont présenté des observations écrites. Suite à ces recours, la commission a maintenu ses conclusions initiales.

## 1.8 Demandes retirées par les entreprises du médicament

L'entreprise du médicament 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 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 2015 :

- 5 demandes de retrait après examen par la commission ont été formulées par les entreprises ;
- ces retraits ont concerné 4 demandes de première inscription et 1 demande de radiation ;
- pour 3 des demandes d'inscription, la commission a estimé que le service médical rendu par le médicament était insuffisant et dans le quatrième cas qu'il était soit faible, soit insuffisant selon les modalités d'utilisation ;
- 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.

## 1.9 Recours en Conseil d'État

Au cours de l'année 2015, aucun nouveau recours n'a été introduit devant le Conseil d'État à l'encontre de décisions administratives prises sur la base d'avis de la commission de la transparence.

## 1.10 Demandes de communication

Conformément à l'article L.1451-1-1 du Code de la santé publique, les séances de la commission de la transparence font l'objet d'un enregistrement. En outre, les séances font l'objet d'une transcription intégrale communicable sur demande écrite après occultation des données relevant du secret industriel et commercial.

En 2015, 24 demandes de communication des transcriptions des débats de la commission ont été reçues et acceptées, envoyées aux entreprises du médicament par le service évaluation des médicaments.

## 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...). Ces données n'ont pas vocation à remplacer celles d'un développement défaillant 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...). 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 entreprises concernées 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'étude](#). Ils donnent des points de repère pratiques sur les aspects méthodologiques des études post-inscription.

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) dans le cadre d'un comité de suivi des études en vie réelle. Les règles de ce comité sont étendues par l'accord CEPS-LEEM du 31 décembre 2015 et prendront effet en 2016.

Le comité de suivi des études en vie réelle a pour mission 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 entreprises et, si besoin, avec le LEEM. Les entreprises n'assistent pas aux délibérations du comité de suivi des études en vie réelle.

En 2015, le comité s'est réuni à six reprises. 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 ;
- anticipé sur les résultats des études à venir sur l'année 2015.

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 possibles.

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 2015 sont au nombre de 97 (128 en 2014). Vingt nouvelles demandes ont été prononcées, pour 17 par la commission et pour 3 par le CEPS (8 en 2014, 7 par la commission et 1 par le CEPS). Vingt-quatre avis de la commission ont intégré les résultats finaux d'études post-inscription (12 en 2014).

# Soutien à l'innovation

## 1. Innovation et activités internationales

### 1.1 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...), 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 2015, 3 demandes de reconnaissance de médicament présumé innovant ont été faites par des entreprises du médicament. Une de ces demandes a obtenu une réponse favorable.

Afin d'obtenir une instruction accélérée de leur dossier, les entreprises 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 entreprises peuvent déposer un pré-dossier et l'instruction peut démarrer avant l'octroi de l'AMM.

Ces instructions et dépôts anticipés ne préjugent pas des conclusions de la commission.

### 1.2 Les rendez-vous précoces

La HAS, au même titre que les autres agences d'évaluation technologique (HTA) européennes, réalise des « rendez-vous précoces » avec les entreprises qui développent des médicaments.

Cette mission de la HAS a récemment été renforcée par la loi de modernisation du système de santé (article 156 alinéa 10) qui précise désormais que « *La Haute Autorité de santé, autorité publique indépendante à caractère scientifique dotée de la personnalité morale, est chargée de : « Organiser des consultations précoces avec ses services à la demande des entreprises développant des spécialités pharmaceutiques, des produits ou prestations innovants du fait de leur nouveau mécanisme d'action et d'un besoin médical insuffisamment couvert, avant la mise en œuvre des essais cliniques nécessaires à l'évaluation mentionnée au 1° du présent article ».*

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 II/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 entre l'entreprise, la HAS et les autres agences européennes d'HTA (dans le cadre d'un réseau européen dit EUnetHTA), avec ou sans l'Agence européenne du médicament (EMA).

Dans le cadre d'un travail en collaboration avec l'EMA, une procédure de réalisation des rendez-vous précoces communs est actuellement en cours de rédaction après une concertation des différentes agences d'HTA concernées.

Compte tenu des mises sur le marché de plus en plus anticipées pour des molécules innovantes dans des situations où le besoin n'est pas couvert, des demandes à des stades plus précoces du développement (avant la phase II) peuvent également être acceptées sous certaines conditions. Dans ce contexte, la HAS, en collaboration avec les autres agences d'HTA et l'EMA, a participé à des rendez-vous précoces pour des médicaments en phase I ou II de leur développement : les « *adaptive pathways* ».

Pour ces rendez-vous précoces, les entreprises du médicament transmettent une demande argumentée qui permet d'en étudier la recevabilité pour un médicament nouveau, réellement en cours de développement et dans une maladie où la couverture du besoin est imparfaite. L'étape de recevabilité 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...) 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...).

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... Des questions portant sur la réalisation d'une évaluation médico-économique, si une étude évaluant l'efficience 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 HAS](#).

En 2015, un total de 9 rendez-vous précoces a été organisé :

- 4 rendez-vous précoces européens dans le cadre du projet SEED (3) ou EUnetHTA (1) dont 3 en partenariat avec l'EMA ;
- 2 organisés avec différentes agences d'HTA européennes et l'EMA ;
- 3 rendez-vous précoces nationaux ;

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.

Ils ont concerné les maladies suivantes :

- le cancer de l'ovaire, la douleur, l'hémophilie A, une maladie rare, le cancer de la prostate, des tumeurs rares, pour les rendez-vous internationaux ;
- la rétinite pigmentaire, des maladies infectieuses, l'hépatite C, pour les rendez-vous nationaux.

## 2. Remboursement dérogatoire

### 2.1 Article 48<sup>7</sup>

Depuis le 1<sup>er</sup> 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<sup>o</sup> 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<sup>o</sup> 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<sup>o</sup> 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<sup>o</sup> 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<sup>o</sup> 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<sup>o</sup> 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. »

Dans ce contexte, l'ANSM informe 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'indication(s) non définie(s) dans l'ATU de cohorte mais incluse(s) 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<sup>o</sup> 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<sup>o</sup> 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.

7. Dispositif permanent pour les ATU de cohorte et transitoire pour les ATU nominatives (janvier à juillet 2014).

Depuis le 1<sup>er</sup> janvier 2015, 19 avis ont été rendus. Les délais d'examen par le Collège de la HAS ont été d'en moyenne **31 jours** avec une publication effectuée avec un délai de 1 mois supplémentaire du fait de l'attente de la publication des AMM validées par la Commission européenne.

## 2.2 Recommandation 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 malades 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'arrêt 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 entreprises exploitantes 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 (SEM) 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.

En 2015, pour l'ensemble des RTU soumises par l'ANSM, 5 avis du Collège ont été rendus. Il s'agit de :

- AVASTIN dans le « Traitement de la dégénérescence maculaire liée à l'âge néovasculaire » ;
- CIRCADIN chez les « Enfants âgés de 6 à 18 ans et traités pour un trouble du rythme veille-sommeil associé à des troubles développementaux et des maladies neurogénétiques » ;
- STELARA dans la « Maladie de Crohn active modérée à sévère » ;
- TRUVADA dans la « Prophylaxie pré-exposition du VIH chez les personnes âgées de 18 ans et plus à haut risque d'acquisition du VIH » ;
- VERAPAMIL dans le « Traitement prophylactique de l'algie vasculaire de la face ».

Trois autres avis du Collège ont été pris mais sont en attente de publication du protocole validé par l'ANSM.

# Le bon usage des médicaments

## 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

### 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 [700 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 entreprises 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 dans 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 le 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 2015, 104 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 entreprises du médicament 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.

## 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 de 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 médicaments 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 2015, 4 fiches de bon usage des produits de santé/fiches classe ont été publiées**, portant sur :

- la place des benzodiazépines dans l'insomnie ;
- la place des associations fixes corticoïde/bêta-2 mimétique longue durée d'action dans le traitement de fond de l'asthme persistant ;
- les protocoles à respecter dans le cadre d'une interruption médicamenteuse de grossesse ;
- la place des anticoagulants oraux dans la fibrillation auriculaire non valvulaire.

## 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 2015, la commission a rédigé ou mis à jour 25 fiches d'information thérapeutique.**

# Conclusion et perspectives

## 1. Les avis de la commission en chiffres

Au cours de l'année 2015, la commission a reçu un total de 842 demandes (*versus* 634 en 2014), dont 247 demandes de première inscription (*versus* 192), 41 demandes d'extension d'indication (*versus* 34), 330 demandes de renouvellement d'inscription (*versus* 212) et 56 réévaluations programmées incluant 7 saisines, 19 médicaments et plus de 50 indications à réévaluer. La différence entre 2015 et 2014 réside à la fois en une augmentation globale des demandes déposées (inscriptions, une cinquantaine en plus, et renouvellements d'inscription, une centaine en plus) et en des conséquences importantes des saisines en termes de nombre d'indications à réévaluer (une cinquantaine en plus).

Malgré cette inflation de demandes, la commission aura rendu 805 avis, soit une augmentation de l'activité de 28 % par rapport à 2014 concernant des inscriptions et des renouvellements d'inscription.

En 2015, 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.

Les conclusions de la commission pour ce qui concerne le SMR n'ont pas été très différentes de celles de 2014 : sur 268 SMR prononcés pour des demandes d'inscription, il y a eu 42 SMR insuffisants ; 9 médicaments n'ont pas été proposés à l'inscription, en raison d'un SMR insuffisant dans toutes leurs indications.

Par comparaison à 2014, les conclusions de la commission diffèrent essentiellement sur l'ASMR avec 22 ASMR I à III octroyées en 2014 et 7 en 2015.

Cinquante auditions ont été demandées pour 57 spécialités. La commission a changé certains aspects de l'avis (niveau de SMR, d'ASMR, libellé de l'avis, place dans la stratégie thérapeutique ou population cible) dans 22 % des cas, que ce soit en conformité ou non avec les demandes de l'entreprise du médicament.

Le délai moyen de traitement des demandes de première inscription a été de 100 jours (107 jours en 2014), le délai médian de 88 jours (95 jours en 2014). Cinquante-deux pour cent de ces demandes ont été traitées en moins de 90 jours (délai maximal requis).

## 2. Reconnaissance de l'innovation

La reconnaissance de l'innovation se fait aussi dans le cadre de procédures accélérées d'instruction et d'examen. En 2015, seuls 3 médicaments ont fait l'objet de cette demande. L'un a répondu aux conditions nécessaires pour être considéré par le règlement intérieur de la commission comme « présumé innovant ».

Le service évaluation des médicaments a également réalisé en 2015, pour le compte de la commission, 9 rendez-vous précoces avec des entreprises du médicament 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 entreprises quels étaient, du point de vue de l'évaluation technologique, 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. Ces rendez-vous préfigurent les rendez-vous précoces prévus dans la loi de modernisation du système de santé.

## 3. Réforme des modalités d'évaluation des médicaments

La commission confirme en 2015 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 entreprises du médicament, en particulier les déterminants qui conduisent à l'attribution d'un SMR suffisant ou insuffisant et à la reconnaissance d'une ASMR.

Cependant, il est devenu nécessaire de repenser les critères d'évaluation des médicaments. Une réflexion a été lancée par la ministre de la Santé afin de repenser les critères permettant de réaliser l'évaluation technologique des médicaments. Cette mission a été confiée à Mme Dominique Polton.

La HAS, au travers de la CT et du SEM, a activement contribué à l'élaboration de l'état des lieux de l'évaluation du médicament en alimentant la mission Polton de nombreux bilans et analyses transversales.

Ces analyses techniques rétrospectives ont facilité la compréhension des difficultés du système d'évaluation et des besoins des acteurs avant d'envisager de le modifier.

Bien que le SMR soit un critère éprouvé, adaptable à tous médicaments et toutes situations, et dont l'usage est maîtrisé par la CT, cette dernière a proposé des pistes d'évolution afin d'apporter des éléments de réponse aux difficultés identifiées.

La commission a ainsi recommandé d'introduire du discernement dans le processus d'évaluation en sollicitant des allègements de tâches (suppression de l'évaluation des génériques, suppression des avis pour la radiation d'une spécialité faisant l'objet d'une non-commercialisation ou d'un arrêt de commercialisation, suppression de l'évaluation par la CT lorsque la demande concerne un changement d'exploitant...).

Elle a proposé et défendu la création d'un dispositif de remboursement temporaire qui permettrait de recommander le remboursement d'un médicament au potentiel suspecté mais non démontré pour une durée limitée. Cette période de remboursement dérogatoire serait mise à profit pour collecter des données cliniques et médico-économiques qui permettraient à la HAS, à l'issue de la période, d'affermir son jugement et d'évaluer si la promesse est réellement tenue. Cette proposition a été retenue dans le rapport final de la mission.

Enfin, la CT a réaffirmé sa préférence pour des scénarios faisant évoluer le couple SMR/ASMR vers un indicateur unique : la VTR.

## 4. Indépendance, impartialité et transparence de la commission

En 2015, 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 transcrits 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.

À la demande d'un tiers, lorsque l'avis de la commission est définitif, la transcription de ces débats peut être demandée. Sous réserve de masquage des informations ayant trait au secret industriel et commercial, ces transcriptions sont communiquées.

## 5. 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 104 synthèses d'avis. Plus de 700 synthèses sont désormais disponibles. Comme les avis, ces synthèses sont publiées sur le site de la HAS. Des synthèses font également l'objet de points d'actualité réguliers dans le magazine de la HAS et 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 entreprises du médicament débute chez le praticien.

Quatre fiches de bon usage du médicament ont été rédigées et publiées, portant sur la place des benzodiazépines dans l'insomnie, la place des associations fixes corticoïde/bêta-2 mimétique longue durée d'action dans le traitement de fond de l'asthme persistant, les protocoles à respecter dans le cadre d'une interruption médicamenteuse de grossesse et la place des anticoagulants oraux dans la fibrillation auriculaire non valvulaire.

Vingt-cinq fiches d'information thérapeutique ont été élaborées ou actualisées pour des médicaments d'exception et publiées sur le site de la HAS.

## Liste des tableaux

<i>Tableau 1. Répartition entre les différents types de demandes déposées en 2015.....</i>	<i>p. 86</i>
<i>Tableau 2. Répartition entre les différents types de demandes examinées en 2015.....</i>	<i>p. 86</i>
<i>Tableau 3. Nombre de dossiers examinés par séance depuis 2013.....</i>	<i>p. 87</i>
<i>Tableau 4. Avis rendus en 2015 selon les différents types de demandes.....</i>	<i>p. 87</i>
<i>Tableau 5. SMR attribués en 2015 pour tout ou partie des indications en première inscription ou pour une nouvelle indication (toutes procédures).....</i>	<i>p. 88</i>
<i>Tableau 6. ASMR attribuées en 2015 aux demandes de première inscription ou d'inscription dans une nouvelle indication (toutes procédures).....</i>	<i>p. 89</i>
<i>Tableau 7. ASMR I, II et III attribuées depuis 2012 pour tout ou partie des indications en première inscription (toutes procédures).....</i>	<i>p. 89</i>
<i>Tableau 8. ASMR I, II et III attribuées depuis 2012 pour tout ou partie des indications dans une nouvelle indication (toutes procédures).....</i>	<i>p. 89</i>
<i>Tableau 9. Médicament s'étant vu reconnaître une ASMR importante en 2015.....</i>	<i>p. 89</i>
<i>Tableau 10. Médicaments s'étant vu reconnaître une ASMR modérée en 2015.....</i>	<i>p. 90</i>
<i>Tableau 11. Motif d'examen par la commission pour les avis ayant fait l'objet d'une audition.....</i>	<i>p. 91</i>
<i>Tableau 12. Modifications de SMR ou d'ASMR apportées suite à une audition.....</i>	<i>p. 92</i>



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

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 (CNEDiMITS) établit chaque année un rapport d'activité qui est remis au Parlement. Le rapport d'activité de la CNEDiMITS 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 dispositifs médicaux (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 2015 est construit en deux parties :

- la première partie du rapport présente les missions, le fonctionnement et la doctrine de la CNEDiMITS en vue d'explicitier 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 CNEDiMITS pour l'année 2015 :
  - 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 CNEDiMITS,
    - les avis rendus par la CNEDiMITS,
    - les avis ayant fait l'objet d'une demande de phase contradictoire,
    - les demandes d'études post-inscription,
  - le bilan de l'activité programmée correspondant aux révisions des descriptions génériques, saisines du ministre et autosaisines,
  - le bilan des documents de bon usage élaborés,
  - les rendez-vous précoces avec les fabricants,
  - les attentes de la CNEDiMITS 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
CNEDiMITS	commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé
CEESP	commission évaluation économique et santé publique
CSF	Comité stratégique de filières industries et technologies de santé
CSIS	Conseil stratégique des industries de santé
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	étude contrôlée randomisée
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'apnée hypopnées obstructives du sommeil

## Missions, fonctionnement et doctrine

L'objectif de cette première partie est d'explicitier la doctrine de la CNEDiMITS<sup>1</sup>, 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 dans le 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. »*

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).

La CNEDiMITS 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 les prestations associées à ces produits de santé. Cette diversité explique la difficulté d'établir une méthodologie d'évaluation unique pour tous les produits.

La CNEDiMITS 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...).

## 1. Cadre réglementaire du remboursement des dispositifs médicaux

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 de 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 pas 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'achats 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) ;
- 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 CNEDiMITS 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 endocavitaire (simple, double et triple chambre),
  - défibrillateurs cardiaques implantables sans sonde endocavitaire,
  - valves cardiaques chirurgicales biologiques.

#### ► Type d'inscription sur la liste des produits et prestations remboursables

Deux modalités d'inscription sur la LPPR coexistent<sup>2</sup> :

- 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 CNEDiMITS, 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).  
Depuis la loi n° 2014-1554 du 22 décembre 2014 de financement de la sécurité sociale pour 2015, l'inscription sur la LPPR de produits répondant pour tout ou partie à des descriptions génériques particulières peut être subordonnée au dépôt auprès de l'ANSM par l'industriel d'une déclaration de conformité aux spécifications techniques des descriptions génériques concernées. L'inscription de ces produits sur la liste prend la forme d'une description générique renforcée permettant leur identification individuelle. La liste des descriptions génériques renforcées est fixée par arrêté des ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale ;
- l'inscription sous **nom de marque** (ou nom commercial) est mise en œuvre pour les produits innovants ou lorsque l'impact sur les dépenses de l'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 industriel peut également demander une inscription sous nom de marque en cas d'indications particulières ou d'ASA supérieure à celle des dispositifs inscrits sous la ligne générique.  
Pour une inscription sous nom de marque, un dossier de demande de remboursement doit être déposé par l'industriel pour une évaluation par la CNEDiMITS 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. Article R. 165-3 du CSS.

## 2. Missions, composition et fonctionnement

### 2.1 Missions, critères d'évaluation et composition

La CNEDiMITS est l'une des commissions spécialisées de la Haute Autorité de santé (HAS).

Les missions, les critères d'évaluation et le fonctionnement de la CNEDiMITS sont régis par le Code de la sécurité sociale et par le [règlement intérieur de la commission](#).

Depuis 2014, la commission est présidée par le Pr Jacques Belghiti, chirurgien digestif, également membre du Collège de la HAS.

Elle était initialement composée de 19 membres scientifiques. Le décret du 9 juillet 2015 prévoit désormais que la commission se compose de 28 membres : 21 membres titulaires et 7 suppléants qui ont une voix délibérative. Sont également présents 8 membres ayant une voix consultative représentant notamment les directions centrales du ministère de la Santé et les différents régimes d'assurance maladie. Les membres sont nommés pour une période de 3 ans, renouvelable deux fois, par décision du Collège de la HAS. Afin d'intégrer les modifications prévues par le décret précité, la commission a été renouvelée par le Collège de la HAS le 4 novembre 2015 comme suit :

- le Dr Pierre-Jean Benezet, médecine physique et réadaptation, et le Pr Claude Lefeuvre, cardiologue interventionnel ont été nommés vice-présidents ;
- 23 autres membres ont été choisis en raison de leurs compétences scientifiques. Il s'agit de praticiens de différentes disciplines (anesthésie-réanimation, cardiologie, chirurgie digestive, chirurgie orthopédique et chirurgie vasculaire, endocrinologie, ergothérapie, gastro-entérologie, méthodologie, neurologie, 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 ;
- 2 membres ont par ailleurs été choisis parmi les adhérents d'associations de malades et d'usagers du système de santé afin de renforcer le dynamisme de la démocratie sanitaire au sein de la HAS.

### 2.2 Procédures

#### ► Procédure d'élaboration d'un avis

L'élaboration des avis de la CNEDiMITS comprend les étapes suivantes :

- le service évaluation des dispositifs (SED) instruit les données fournies dans le dossier du demandeur, éventuellement complétées de données issues de la littérature ;
- la commission examine ces données, si besoin fait appel à l'avis d'experts externes à la commission ;
- sur la base des documents préparatoires, les débats, votes et conclusions de la commission donnent lieu à la rédaction d'un projet d'avis par le SED ;
- la CNEDiMITS 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 est 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 CNEDiMITS 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 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...) et examine les données scientifiques transmises. Si les éléments communiqués par l'industriel sont insuffisants, la CNEDiMITS peut notifier au demandeur les renseignements complémentaires qui sont exigés et suspendre les délais d'instruction du dossier jusqu'à réception des informations demandées<sup>3</sup>.

##### • 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, administrative et réglementaire et 2 adjoints (pharmaciens) assistés d'un secrétariat. Depuis le mois d'octobre 2015, le Dr Grégory Emery est responsable du service.

3. Article R. 165-8 du CSS.

Le SED assure l'expertise interne des demandes en respectant la déontologie, les procédures et les 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 de la CNEDiMTS peut faire appel à une expertise externe, notamment pour les DM concernant des spécialités non représentées parmi les membres de 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 les résultats du travail d'un groupe d'experts multidisciplinaire.

Dans tous les cas, le choix des professionnels de santé réalisant des expertises pour la CNEDiMTS prend en compte leurs éventuels liens d'intérêts et leurs compétences. Les professionnels 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 implique une instruction selon la procédure complète.

### ► Procédure contradictoire

Après adoption par la commission, l'avis est communiqué au demandeur qui 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 : il 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.

Ces documents sont systématiquement rendus publics sur le site Internet de la Haute Autorité de santé ([www.has-sante.fr](http://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 CNEDiMITS varient selon la catégorie de DM. Les DM à visée thérapeutique nécessitent des études de plus haut niveau de preuve que les DM d'assistance.

En l'absence d'étude clinique, l'industriel argumente 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.

La CNEDiMITS intègre dans ses évaluations les données cliniques dont elle a connaissance, qu'elles soient fournies ou non par l'industriel. C'est notamment le cas pour les données 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 CNEDiMITS 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.

##### ► Investigation clinique

Les données scientifiques transmises par l'industriel sont analysées selon les critères de la médecine fondée sur les preuves. La CNEDiMITS 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. La qualité et la pertinence des premières études cliniques mises en œuvre est alors déterminante ;
- 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.

##### ► Critères de jugement intermédiaires

Le recours à des critères intermédiaires est possible. Leur validité devra néanmoins avoir fait l'objet d'une démonstration scientifique.

##### ► 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 ou plusieurs évolutions incrémentales de celui-ci. Ces évolutions ne doivent pas empêcher la réalisation d'études qui 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.

##### ► 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. Cela 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 CNEDiMITS prend en compte les recommandations françaises et étrangères des sociétés savantes et, en leur absence, l'avis d'experts. 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.

La CNEDiMITS 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...).

### 3.5 Réponses aux questions fréquentes

#### ► Quels sont les facteurs conduisant à un niveau de service attendu ou rendu (SA/SR) suffisant ?

La commission tient compte :

- de la démonstration d'une modification de l'évolution spontanée d'une maladie, d'un handicap ou d'un symptôme ou d'un changement de la prise en charge ;
- du contexte médical en adaptant son niveau d'exigence selon la catégorie de DM de la transposition des résultats aux conditions réelles d'utilisation du DM ;
- de la gravité de la maladie ou du handicap ;
- 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.

#### ► 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 justifiée 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).

#### ► 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.

Les critères retenus sont des critères cliniques (mortalité, morbidité, compensation du handicap, qualité de vie, réduction des effets indésirables), ou de commodité d'emploi avec un 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.

Une revendication d'équivalence ou la démonstration d'une non-infériorité par rapport à un autre produit limitent toute revendication en termes d'ASA à une ASA de niveau V.

Pour une même catégorie de DM, les niveaux d'ASA/ASR attribuées par la CNEDiMITS 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 évaluée, 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 de 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...) disponibles portant sur les pathologies ou le handicap concerné 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 CNEDiMITS 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 CNEDiMITS. 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 CNEDiMITS ;
- la détection d'un risque particulier dans tout 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 CNEDiMITS 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 2011](#) ».

## 3.8 Évaluation en vue du renouvellement d'inscription sur la LPPR

L'inscription sur la LPPR est assurée pour une durée maximale de 5 ans dans le cas d'une inscription sous nom de marque.

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.

Lors du renouvellement d'inscription, l'analyse des résultats des études demandées par la CNEDiMITS 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

Pour une inscription sous description générique, la durée d'inscription a été étendue, par décret du 13 décembre 2015, à 10 ans au maximum. Certaines descriptions génériques de la LPPR ne sont plus adaptées à une prise en charge optimale des patients et nécessitent d'être réévaluées. Leur réévaluation a été instaurée depuis 2004 ; elle vise à définir médicalement ces descriptions génériques. La précision des indications 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 CNEDiMITS évalue le SR pour les produits correspondant à une description générique. Dans le cas où une description générique est 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 CNEDiMITS. 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 CNEDiMITS.

Ensuite, la CNEDiMITS, 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 est publié au Journal officiel.

## 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 CNEDiMITS ?

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 CNEDiMITS prenaient en compte à la fois<sup>4</sup> :

- **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 d'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 de risques), de performance ou d'accès à la thérapeutique.

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.

### 4.2 Quels outils sont disponibles pour accompagner l'innovation ?

Les évolutions législatives de 2008 et 2009 ont apporté des textes essentiels (article 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.

## Données d'activité

### 1. Bilan 2015

#### 1.1 Activité non programmée

##### ► Demandes enregistrées

*Cette partie traite des **dossiers déposés** entre le 1<sup>er</sup> janvier et le 31 décembre 2015. Ces demandes peuvent avoir fait l'objet d'un examen par la CNEDiMITS après le 31 décembre 2015.*

4. 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.

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 CNEDiMITS.

La CNEDiMITS 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 210 demandes.**

Demandes	2015	2014
Première inscription	95	122
Renouvellement d'inscription	69	68
Modification des conditions d'inscription	35	49
Autre demande (radiation, modification administrative)	11	8
<b>TOTAL</b>	<b>210</b>	<b>247</b>

► **Demandes traitées**

*Cette partie reflète l'**activité effective** de la commission en 2015, puisqu'elle présente les données portant sur des demandes examinées par la commission durant cette période. Ces demandes peuvent avoir été enregistrées avant 2015. De même, leur instruction peut avoir été achevée après le 31 décembre 2015.*

La commission se réunit un mardi sur deux, toute la journée, dans les locaux de la Haute Autorité de santé.

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 22 reprises et a examiné 221 demandes.**

Demandes	2015
Première inscription	96
Renouvellement d'inscription	74
Modification des conditions d'inscription	42
Autre demande (radiation, modification administrative)	9
<b>TOTAL</b>	<b>221</b>

Année	Total	Nombre de dossiers/séance
<b>2015 (22 séances)</b>	<b>221</b>	<b>10</b>
2014 (20 séances)	179	11,3
2013 (21 séances)	163	11,8

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 externe qui donne un éclairage par rapport à sa pratique.

Les experts sollicités, 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 par la commission<sup>5</sup>. En 2015, 30 experts externes ont été sollicités, dont 4 auditionnés en situation de conflit. Les associations de patients peuvent également être sollicitées en qualité de partie prenante afin de faire part de leur opinion sur la prise en charge de la pathologie concernée. Au cours de l'année 2015, 8 associations ont ainsi été auditionnées par la commission. Les experts et les parties prenantes (associations de patients et organisations professionnelles) sollicités n'assistent ni aux débats ni aux votes de la commission.

## ► Avis rendus

*Cette partie présente les **avis rendus** par la commission en 2015. Les données peuvent correspondre à des demandes dont l'instruction a débuté avant le 1<sup>er</sup> janvier 2015. Les avis dont l'adoption ou la phase contradictoire était en cours au 31 décembre 2015 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 2016.*

### • Avis rendus : totalité de l'activité non programmée

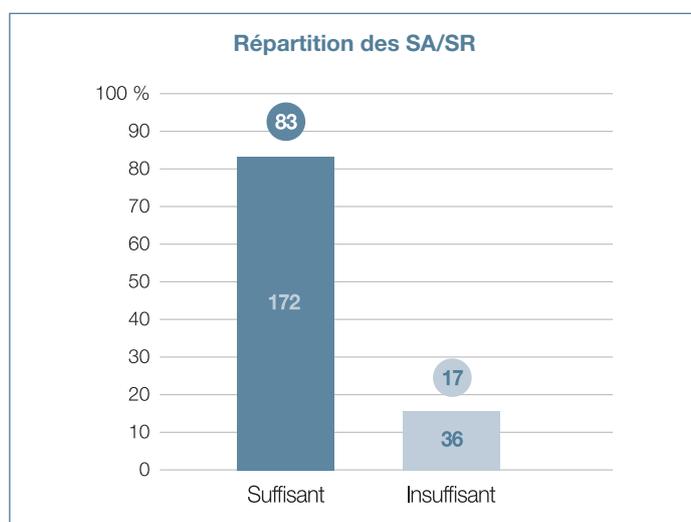
➔ La CNEDiMITS a rendu 210 avis en réponse à des demandes déposées par les fabricants.

Demandes	2015	2014
Première inscription	89	78
Renouvellement d'inscription	75	58
Modification des conditions d'inscription	35	46
Autre demande (radiation, modification administrative)	11	13
<b>TOTAL</b>	<b>210</b>	<b>195</b>

En 2015, sur les 199 avis rendus (première inscription, renouvellement d'inscription et modification des conditions d'inscription), 90 (51 %) ont fait l'objet d'une procédure d'instruction complète, 91 (49 %) d'une procédure d'instruction simplifiée.

Les SA ou SR ainsi que les ASA ou ASR étant attribués indication par indication<sup>6</sup>, un même avis peut contenir plusieurs SA ou SR et/ou ASA ou ASR différents. Pour 6 avis rendus en 2015, 2 SA/SR ont été attribués et 1 avis a obtenu 4 SA/SR, pour 30 avis, plusieurs ASA/ASR ont été données. Pour 4 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.

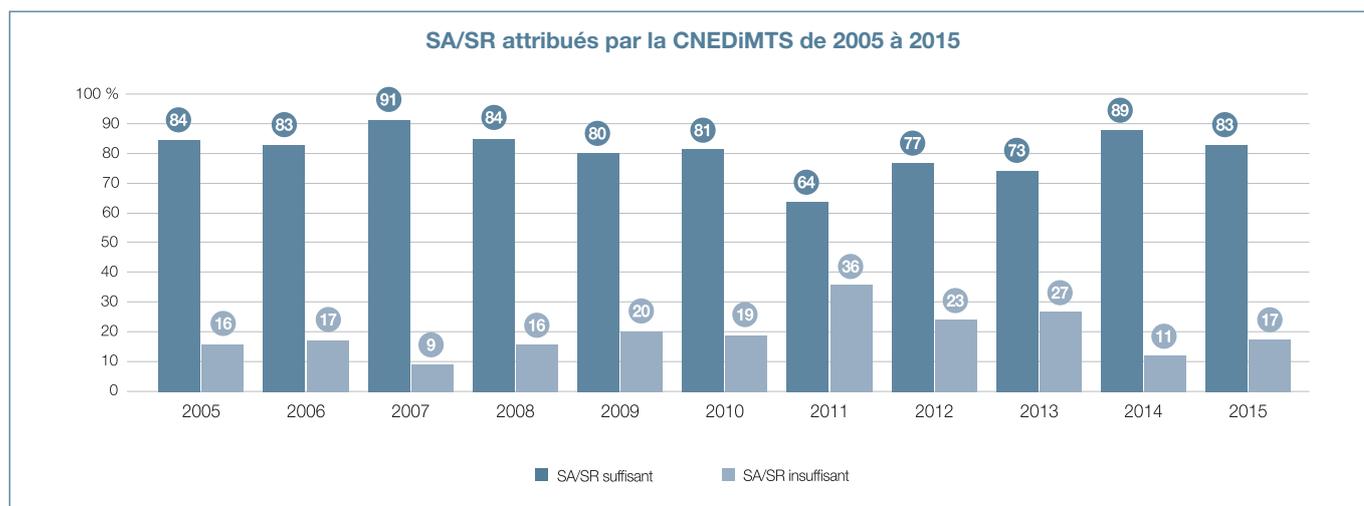
### Service attendu/service rendu



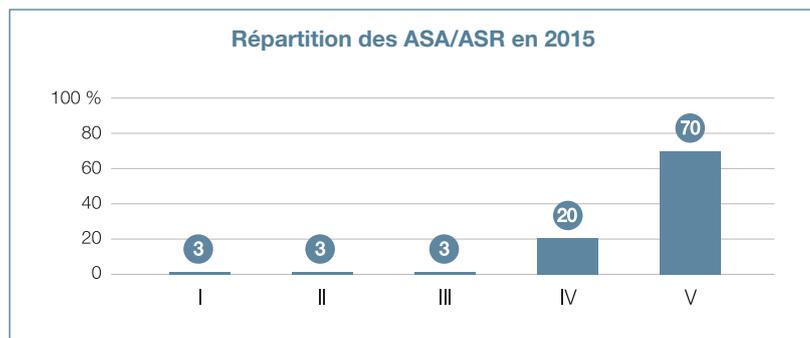
5. En situation de conflit d'intérêts (cf. [guide des déclarations d'intérêts et de gestion des conflits d'intérêts](#)).

6. Selon les articles R. 165-2, R. 165-6, R. 165-11, R. 165-11-1 du Code de la sécurité sociale, la CNEDiMITS 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.

La figure ci-dessous montre l'évolution des SA/SR attribués depuis la création de la HAS.



### Amélioration du service attendu/amélioration du service rendu



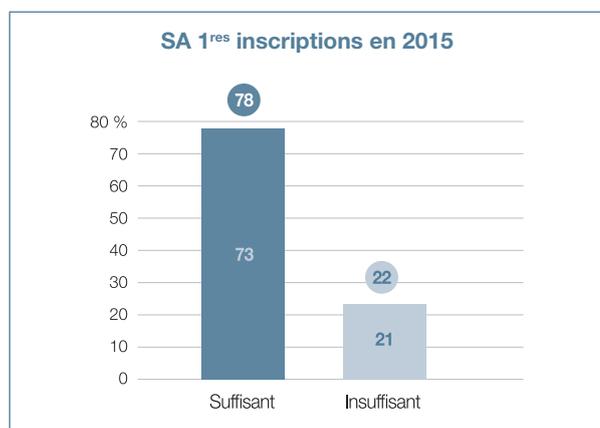
### Délai

Le délai moyen de traitement de l'ensemble des demandes (inscription, modification des conditions d'inscription et renouvellement d'inscription), quelle que soit la procédure, a été de 100 jours. Le délai médian a été de 97 jours.

#### • Avis rendus : les premières inscriptions

Parmi les 199 avis rendus en 2015 (inscription, modification des conditions d'inscription et renouvellement d'inscription), 89 (45 %) concernaient des demandes de première inscription au remboursement. Cinquante et une (57 %) de ces demandes d'inscription ont été examinées en PIC, 38 (43 %) en PIS.

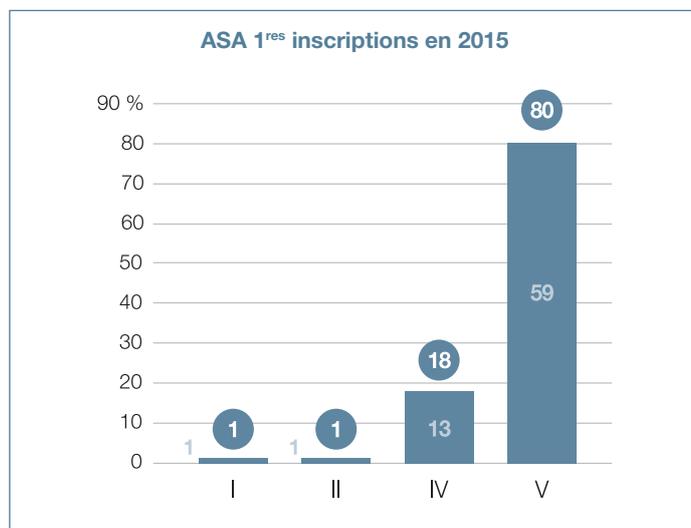
### Service attendu



➔ La CNEDiMITS a rendu un avis favorable à l'inscription de 73 DM, représentant 78 % 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 2015, 11 avis ont comporté plusieurs niveaux d'ASA.



En 2015, la commission a reconnu pour tout ou partie de leurs indications.

Amélioration du service attendu	Nom et type du dispositif médical
<b>ASA I (majeure)</b>	COREVALVE EVOLUT R avec cathéter de pose EnVeoR, bioprothèse*, bioprothèse valvulaire aortique implantée par voie artérielle transcutanée
<b>ASA II (importante)</b>	MITRACLIP, clip de réparation mitrale bord à bord
<b>ASA III (modérée)</b>	Aucune
<b>ASA IV (mineure)</b>	Emblem S-ICD 3401, sonde de défibrillation sous-cutanée*
	SALITOL 7 %, sérum salé hypertonique 7 % pour nébulisation**
	ALBERT TWION, dispositif d'assistance électrique à la propulsion pour fauteuil roulant manuel
	SURPASS, déviateur de flux
	SURPASS STREAMLINE, stent intracrânien auto-expansible à largage contrôlé dit <i>flow diverter</i>
	iSTENT, stent de micro-pontage trabéculaire
	AQUALEG, revêtement de protection pour prothèse tibiale
	Sir-Sphères, microsphères d'Yttrium-90
	Tutoplast, allogreffes osseuses viro-inactivées
	DEXCOM G4 PLATINUM, système de mesure en continu du glucose interstitiel**
	VIBRANT SOUNDBRIDGE : indications des surdités mixtes et de transmission, implant d'oreille moyenne***
	Système modulaire de reconstruction massive de l'épaule MUTARS**
	HELIX 3D 7E10, articulation de la hanche polycentrique à régulation hydraulique de la phase d'appui et de la phase d'oscillation
3C100 C-LEG (version 4), genou monoaxial commandé par microprocesseur pour prothèse externe du membre inférieur	
PROCLAIM, stimulateur médullaire non rechargeable	

\* Pour ce dispositif, l'ASA I a été associée à une ASA IV.

\*\* Pour ces dispositifs, l'ASA IV a été associée à une ASA V.

\*\*\* Ce dispositif a obtenu deux ASA IV.

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 CNEDiMITS en réponse à ces demandes.

ASA revendiquée	ASA accordée			
	I	II	IV	V
I (3 DM)		1	1	1
II (2 DM)				2
III (14 DM*)			8	1
IV				

\* 5 ont obtenu un SA insuffisant.

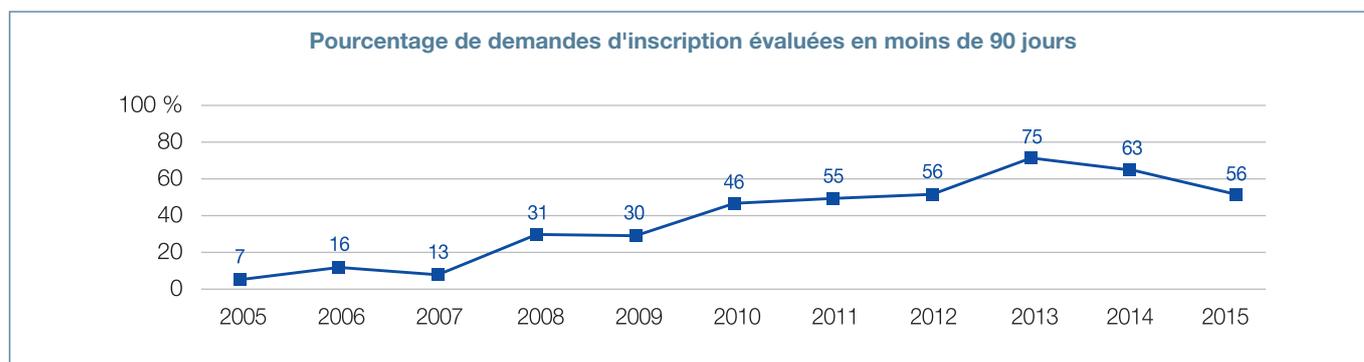
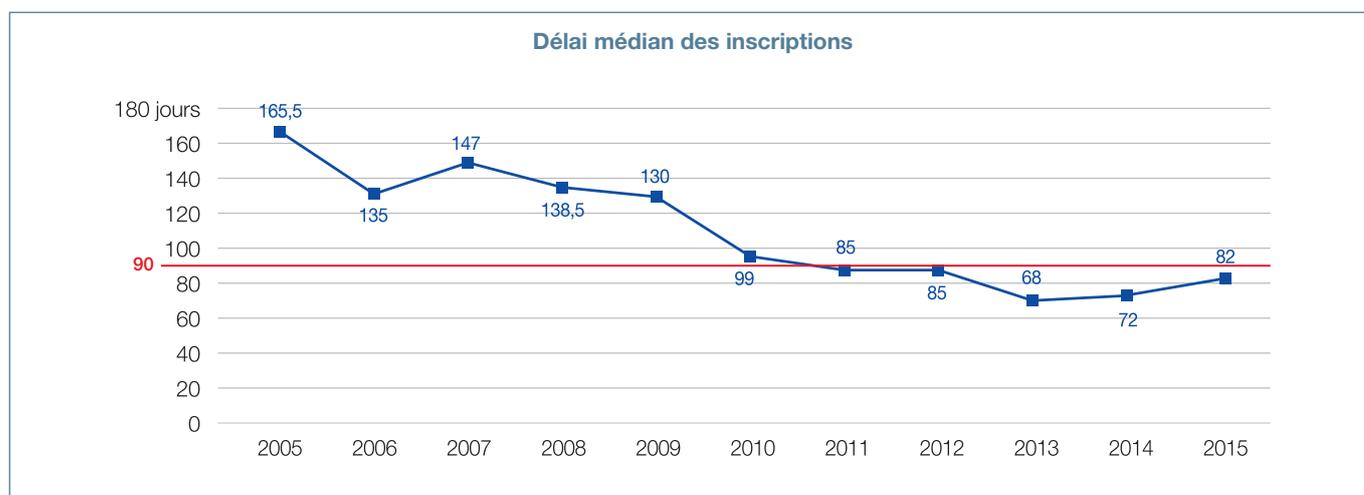
**Remarque :** lorsque plusieurs ASA ont été attribuées par la CNEDiMITS pour un même dispositif, seule la meilleure ASA a été retenue dans le tableau (exemple : si pour un dispositif la CNEDiMITS a attribué une ASA III et une ASA V, seule l'ASA III a été retenue).

#### • Délais

Le délai moyen de traitement des demandes de première inscription, quelle que soit la procédure d'instruction, a été de 87 jours<sup>7</sup>. Le délai médian a été de 82 jours. Cinquante-six pour cent (56 %) des demandes étaient traitées en moins de 90 jours. Le délai de traitement minimal a été de 11 jours et le délai maximal de 189 jours. Quarante-neuf pour cent (49 %) des demandes ont été closes en moins de 150 jours. Le délai moyen pour les PIS a été de 62 jours et le délai médian 52 jours. Le délai moyen pour les PIC a été de 105 jours et le délai médian 99 jours.

En 2015, 14 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-dessous montrent l'évolution des délais pour l'évaluation des demandes d'inscription au remboursement.



7. 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 LPPR au JO est de 180 jours (tacitement 90 jours pour la CNEDiMITS et 90 jours pour le CEPS).

## ● Phases contradictoires

*Remarque préliminaire : les phases contradictoires portent sur des demandes closes en 2015 par la commission (avis transmis au CEPS en 2015). L'audition ou l'examen des observations écrites peut avoir eu lieu en 2014.*

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 de nouveau pour confirmer ou modifier l'avis émis initialement. Son avis définitif est alors communiqué au demandeur.

En 2015, sur les 199 avis rendus : 34 avis (17 %) ont fait l'objet d'une audition au cours de leur phase contradictoire et 7 (4 %) ont fait l'objet d'observations écrites soumises en commission, soit 41 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 123 jours.

Demands	Nombre de dossiers
Première inscription	18
Renouvellement d'inscription	16
Modification des conditions d'inscription	7
<b>TOTAL</b>	<b>41</b>

Toutes les auditions sollicitées en 2015 concernaient soit le SA/SR soit l'ASA/ASR. Les conclusions relatives au SA/SR ou à l'ASA/ASR ont été maintenues dans 30 cas et modifiées dans 4 cas.

Les quatre modifications ci-dessous concernaient l'attribution d'un SA insuffisant et aucune modification concernant l'ASA n'a été demandée :

- modification d'un SR insuffisant en suffisant et attribution d'une ASR V ;
- le changement de comparateur a entraîné une modification d'une ASA IV en ASA V accompagnée d'une modification des indications ;
- modification d'une ASA IV en ASA III accompagnée d'une modification des indications ;
- modification de l'indication et du comparateur avec attribution d'une ASA IV.

## 1.2 Études post-inscription demandées

➔ La CNEDiMITS a demandé en 2015 une étude post-inscription pour 8 dispositifs.

Onze réunions CEPS/HAS/industriels ont été organisées en 2015 pour 15 industriels différents.

Deux études communes à plusieurs dispositifs ont donné lieu à des réunions impliquant simultanément plusieurs industriels :

- étude STIDEFIX concernant les stimulateurs cardiaques triple chambre (2 réunions/5 industriels) ;
- cotyles à double mobilité (1 réunion/2 industriels).

## 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 CNEDiMITS 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 2015, elle a évalué 6 catégories de produits concernant des descriptions génériques. La durée moyenne de ces révisions a été inférieure à 16 mois. Seuls les travaux achevés en 2015 sont cités.

La CNEDiMITS a effectué 8 autres évaluations de catégories homogènes de produits dans le cadre de phases contradictoires. Ces phases contradictoires ont duré en moyenne 124 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 CNEDiMITS auparavant.

Lors d'une activité non programmée et particulièrement complexe, la CNEDiMITS s'autosaisit afin d'évaluer l'ensemble de la catégorie dans le même temps. Ce procédé a été appliqué une fois au cours de l'année 2015.

La CNEDiMITS peut être saisie par le ministre ou les directions du ministère.

## Révisions des descriptions génériques

### LPPR

- Postiches pour homme ou femme (désormais dénommés prothèses capillaires).
- Syndrome d'apnées-hypopnées centrales du sommeil et respiration de Cheyne-Stokes – dispositifs médicaux pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associées.
- Solutés de réhydratation orale.
- Sièges pouvant être adaptés sur un châssis à roulettes (sièges coquilles de série, sièges modulables et évolutifs de série).
- Corsets-sièges (désormais dénommés sièges moulés).

### Intra-GHS

- Défibrillateurs cardiaques implantables.

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

### LPPR

- Ventilation assistée.
- Pompes à insuline externes, portables et programmables.
- Implants mammaires.
- Perfusion à domicile.
- Prothèses mammaires externes.
- Pansements.
- Lits médicaux.

### Intra-GHS

- Défibrillateurs cardiaques implantables.

## Saisines du ministère/CEPS

- Implants mammaires
- Projet d'arrêté fixant de nouvelles durées d'inscription applicables aux descriptions génériques.
- Occlusion de l'appendice auriculaire gauche par voie transcutanée – critères d'éligibilité des centres implantateurs (article L. 1151-1 du CSP).
- Valves aortiques transcutanées : réévaluation des critères d'éligibilité des centres implantateurs (article L. 1151-1 du CSP).
- Solutions d'acide hyaluronique.
- Modification des modalités d'utilisation et de prescription des neurostimulateurs pour stimulation cérébrale profonde – indication Parkinson.

## 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 CNEDiMITS produit des fiches de bon usage des technologies de santé. Vingt et une fiches ont été publiées. Elle a également produit 11 fiches d'information thérapeutique dont 3 publiées en 2015 :

- **Thoraflex hybrid**, prothèse vasculaire hybride ;
- **E-vita open plus**, prothèse vasculaire hybride ;
- **Precision spectra**, système de neurostimulation médullaire implantable rechargeable.

## 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 en 2010, se sont accentuées jusqu'en 2014 : respectivement 4, 2, 8 et 14 rencontres de 2011 à 2014. Une diminution des demandes est notée en 2015 : seules 3 rencontres ont été sollicitées par les industriels.

## 1.6 Attentes de la CNEDiMITS 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 revendication d'une ASA), la CNEDiMITS a exprimé ses attentes en termes de données cliniques, notamment en ce qui concerne le critère de jugement et la durée de l'étude.

Au total, il existe 28 rapports dans lesquels sont précisées les attentes de la CNEDiMITS en termes de données cliniques lors de l'évaluation d'un DM (cf. annexe).

En 2015, la commission s'est prononcée sur ses attentes dans le rapport « Syndrome d'apnées-hypopnées centrales du sommeil et respiration de Cheyne-Stokes ».

## 1.7 Évaluation des DM financés en intra-GHS

Cette année, la HAS a procédé à l'évaluation des défibrillateurs cardiaques implantables. Elle a recommandé la création de trois descriptions génériques distinctes permettant l'inscription de ces dispositifs sur la liste *ad hoc*.

## 1.8 Focus

### ► Dispositifs utilisés suite au traitement d'un cancer

La HAS a évalué plusieurs catégories de produits utilisés suite au traitement d'un cancer : les prothèses capillaires, les implants mammaires et les prothèses mammaires externes. Ces évaluations s'inscrivent dans le cadre du 3<sup>e</sup> plan cancer (2014-2019) qui vise notamment à améliorer la qualité de vie des patients et réduire les conséquences économiques du cancer. Par ailleurs, le contexte sanitaire particulier de cette année a fait émerger un lien entre la survenue de lymphome anaplasique à grandes cellules et le port d'un implant mammaire.

Les prothèses capillaires visent à pallier le handicap créé par la perte de cheveux. Sur les 52 000 patients concernés chaque année par la prescription de prothèses capillaires, plus de la moitié sont atteints de cancer. La HAS a mené une évaluation dans le but de mieux définir les conditions de prise en charge, ainsi que les produits les plus appropriés en termes de rendu visuel et de confort. Dans son avis, la CNEDiMITS recommande la prise en charge des prothèses capillaires totales, partielles et des accessoires en cas d'alopécie temporaire ou définitive, partielle ou totale, de l'adulte et de l'enfant, consécutive à une pathologie ou à sa prise en charge.

Autres dispositifs concernés, les implants mammaires. En France, environ 400 000 femmes sont porteuses d'implants mammaires, dont 20 % suite à un cancer. En raison d'une augmentation de cas de lymphome anaplasique à grandes cellules associé à un implant mammaire (LAGC-AIM) et à la demande de la DGS, la HAS a mené une évaluation sur les implants mammaires et leurs alternatives. Cette évaluation constituait une actualisation de ses travaux de 2009. Les nouvelles données disponibles ne permettant pas d'apporter d'éléments supplémentaires pour que soient envisagées des modifications des implants pris en charge et conditions de remboursement (indications, contre-indications), la CNEDiMITS a recommandé d'individualiser les implants sous nom de marque afin de permettre leur suivi *via* les bases de données médico-administratives. Elle préconise également un encadrement de leur utilisation et la mise en place systématique d'une concertation pluridisciplinaire.

Enfin, la CNEDiMITS a émis des recommandations sur les modalités de prescription et de délivrance des prothèses mammaires externes. Ces recommandations font suite à l'avis de projet de modification de la procédure d'inscription et des conditions de prise en charge des prothèses mammaires externes publié au Journal officiel du 19 mai 2015 et à la phase contradictoire prévue à l'article R. 165-9 du Code de la sécurité sociale. Les prothèses mammaires externes sont indiquées après mastectomie totale ou partielle, en cas d'asymétrie congénitale ou acquise et en cas d'hypoplasie majeure ou aplasie.

↳ Pour en savoir plus, consulter l'avis de la CNEDiMITS sur [l'évaluation des postiches](#), sur [l'évaluation des implants mammaires](#), sur [les prothèses mammaires externes](#).

### ► Révision de plusieurs catégories de sièges pour personnes handicapées

Dans le handicap, plusieurs catégories d'aides techniques utilisées pour le maintien en position assise lors de déficits posturaux ont fait l'objet d'une évaluation en 2015 : les sièges coquilles de série, les sièges modulables et évolutifs de série et les sièges moulés (corsets-sièges).

L'intérêt clinique de ces dispositifs a ainsi été réévalué et les conditions de prise en charge ont été définies par la CNEDiMITS.

Parmi les évolutions majeures apportées par la commission, figure une redéfinition des produits contenus dans ces différentes catégories et des indications de prise en charge.

Les sièges coquilles, tels que définis, répondent au besoin de maintien en position assise d'une population limitée aux personnes âgées avec un degré de perte d'autonomie jugé important.

Les corsets-sièges, désormais appelés « sièges moulés », sont destinés aux patients ayant une déficience grave de la station assise d'origine neurologique, orthopédique et/ou congénitale. Leur nomenclature a été actualisée pour introduire la modularité à tous les niveaux, afin d'optimiser le positionnement du patient en fonction des zones anatomiques concernées par la déficience.

Les sièges évolutifs et modulables de série sont également destinés aux patients ayant une déficience grave de la station assise d'origine neurologique, orthopédique ou congénitale, et peuvent constituer une alternative aux sièges moulés (corsets-sièges). Une nomenclature modulaire a également été recommandée afin de mettre en adéquation les spécifications de ces sièges avec leur objectif d'aide au positionnement.

D'autres types de sièges (destinés à l'hygiène ou au transport notamment) ont été identifiés dans ces descriptions génériques. Au vu de leur finalité et de leurs caractéristiques techniques extrêmement différentes, la CNEDiMITS a également recommandé l'individualisation de descriptions génériques spécifiques pour les sièges de bain et sièges automobiles en recommandant pour cette dernière catégorie une prise en charge forfaitaire chez les enfants handicapés de plus de 10 ans.

↳ Pour en savoir plus, consulter le rapport d'évaluation sur [les sièges moulés \(corsets-sièges\)](#), sur [les sièges coquilles de série](#) et sur [les sièges de série modulables et évolutifs](#).

### ► Prévention de la mort subite cardiaque

Cause de décès cardio-vasculaire la plus fréquente dans le monde, la mort subite cardiaque (MSC) est le plus souvent liée à une tachyarythmie ventriculaire responsable d'une instabilité hémodynamique avec perte de conscience, sans récupération spontanée. Malgré les politiques de santé publiques, fondées sur la chaîne de la survie et le développement de l'accès aux défibrillateurs externes automatiques, le taux de survie à 1 mois reste très faible en France.

Pour prévenir les MSC, les défibrillateurs cardiaques automatiques implantables (DAI) peuvent être indiqués pour initier un traitement électrique antiarythmique en réponse à la détection d'un trouble du rythme ventriculaire potentiellement léthal.

En 2015, les DAI avec sonde(s) endocavitaire(s) ont fait l'objet d'une évaluation par la CNEDiMITS afin d'actualiser les conditions de prise en charge dans la prévention primaire et secondaire de la MSC.

Le choix du type de dispositif (simple, double ou triple chambre) à implanter doit donc reposer sur l'évaluation individuelle du patient en tenant compte de son état clinique (nécessité de stimulation cardiaque définitive, besoin de détection du trouble du rythme ou insuffisance cardiaque associée), des complications liées au dispositif médical, du coût et du bénéfice attendu pour le patient.

Une mise à jour des spécifications techniques minimales a été réalisée afin de prendre en compte les évolutions techniques et les nouvelles fonctionnalités disponibles avec ces dispositifs.

- Pour en savoir plus, consulter le rapport d'évaluation sur [les défibrillateurs cardiaques automatiques implantables avec sonde\(s\) endocavitaire\(s\)](#).

### ► Évaluation conjointe d'un dispositif et de son acte d'implantation dans l'insuffisance mitrale

L'insuffisance mitrale est la deuxième valvulopathie la plus fréquente en Europe. Il s'agit d'une affection grave engageant le pronostic vital des patients. La CNEDiMITS a réalisé une évaluation conjointe, en 2015, d'un clip de réparation mitrale bord à bord, et de son acte d'implantation. Cette évaluation s'est inscrite dans une démarche particulière liée au fort potentiel d'amélioration de la prise en charge des patients atteints d'insuffisance mitrale. L'ambition de la HAS a ainsi été de réduire les délais d'évaluation tout en évitant les risques sanitaires et/ou financiers excessifs liés à un accès trop précoce à une technique insuffisamment évaluée et un retard de mise à disposition auprès des patients d'une technique porteuse de progrès.

Dans son rapport, la HAS recommande de limiter la technique de réparation mitrale bord à bord aux patients avec insuffisance mitrale sévère, d'origine dégénérative, symptomatique malgré une prise en charge optimale, non éligibles à la chirurgie de réparation ou de remplacement valvulaire et répondant aux critères échocardiographiques d'éligibilité. La HAS insiste sur la validation des critères de contre-indication chirurgicale par une équipe multidisciplinaire et recommande fortement l'obtention de l'avis d'un gériatre. Enfin, seuls les patients ayant une espérance de vie supérieure à 1 an doivent pouvoir bénéficier de cette procédure.

Dans les autres indications, et/ou pour des risques opératoires moins élevés, la place de cette technique dans la stratégie thérapeutique reste indéterminée.

- Pour en savoir plus, consulter le rapport d'évaluation sur [le clip de réparation mitrale bord à bord et son acte d'implantation](#).

## 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 n° 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 CNEDiMITS	Date de publication avis projet	Date nouvel avis CNEDiMITS	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			

Révision des lignes génériques	Date avis CNEDiMTS	Date de publication avis projet	Date nouvel avis CNEDiMTS	Date de publication nomenclature
Lits et accessoires	28/11/07	20/09/09	28/04/10	29/06/10
Appareils électroniques correcteurs de surdit�	01/04/08			
Appareils de phototh�rapie et de contr�le 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 Compression m�dicale	17/02/09 23/11/10			
Appareil de neurostimulation �lectrique transcutan�e	17/02/09			
Pompes implantables	29/04/09	06/03/09		28/05/09
Proth�ses mammaires externes du sein	26/05/09	17/03/11	31/05/11	12/04/16
Implants mammaires et d'expansion cutan�e	26/05/09			
Appareils divers de correction orthop�dique de membre sup�rieur	26/01/10			
DM pour perfusion � domicile	14/09/10			
Appareils modulaires de verticalisation	14/09/10			
D�ambulateurs et prestations de livraison	14/09/10			
Appareils destin�s au soul�vement	10/11/10			
Coussins de s�rie	08/03/11			
Orth�ses de membre sup�rieur	26/01/10			
Proth�ses externes de membre sup�rieur	29/06/10 Modifi� le 21/12/10			
Implants d'embolisation art�rielle : indications neurologiques	28/06/11 Modifi� le 29/11/11			
Implants d'embolisation art�rielle : indications p�riph�riques	28/06/11 Modifi� le 29/11/11			
DM pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associ�es - oxyg�noth�rapie	17/04/12	29/10/13	11/02/14	
Traitement de la crise d'algie vasculaire de la face	17/04/12			
Contention orthop�dique	10/07/12			

Révision des lignes génériques	Date avis CNEDiMTS	Date de publication avis projet	Date nouvel avis CNEDiMTS	Date de publication nomenclature
DM pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associées - ventilation	20/11/12	04/12/13	13/05/15	
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			
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			
Postiches pour homme ou femme	26/03/15			
Solutés de réhydratation orale	22/07/15			
Sièges pouvant être adaptés sur un châssis à roulettes	11/09/15			
Corsets-sièges	15/09/15			
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 (auto-saisine CNEDiMTS, saisine ministérielle...)	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 de 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

Révision des lignes génériques (auto-saisine CNEDiMTS, saisine ministérielle...)	Date avis CNEDiMTS	Date de publication avis projet	Date nouvel avis CNEDiMTS	Date de publication nomenclature
Sets de produits de santé/ssets de pansements	22/03/11		21/07/11	30/12/11
DM autosurveillance et 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			
Scooters	22/02/12			
Observance du 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 (auto-saisine CNEDiMTS, saisine ministérielle...)	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 utilisées en chirurgie	Rapport juin 11	Fiche de bon usage
Prothèses de hanche métal/métal	01/05/13	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

Catégories de dispositifs HORS LIGNES GÉNÉRIQUES (auto-saisine CNEDiMTS, saisine ministérielle...)	Date avis CNEDiMTS	Observations
Neurostimulateurs médullaires pour le traitement des douleurs chroniques	09/04/14	Conclusions incluses dans les avis postérieurs au rapport
Syndrome d'apnées-hypopnées centrales du sommeil et respiration de Cheyne-Stokes – dispositifs médicaux pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associées	Rapport 05/06/15	Conclusions incluses dans les avis postérieurs au rapport
Défibrillateurs cardiaques implantables	29/06/15	DM intra-GHS

### 3. Avis de la commission en chiffres

En 2015, la CNEDiMTS a rendu 199 avis, dont 89 sur des demandes de première inscription dans un délai moyen de 87 jours. La commission a rendu un avis favorable à l'inscription de 73 DM (SA suffisant), représentant 78 % des demandes d'inscription. Comme les années précédentes, peu de dispositifs ont pu être valorisés en termes d'ASA. Seuls 2 dispositifs se sont vu en effet octroyer une ASA I et une ASA II. Aucun dispositif n'a obtenu une ASA III.

La CNEDiMTS a émis cette année des conclusions relatives à 6 catégories de produits : sièges pouvant être adaptés sur un châssis à roulettes, corsets-sièges, postiches pour homme ou femme, solutés de réhydratation orale, dispositifs médicaux pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associées, défibrillateurs cardiaques implantables.

Elle a répondu à 6 saisines du ministère de la Santé : implants mammaires, encadrement des centres implanteurs de dispositifs de fermeture de l'appendice auriculaire gauche par voie transcutanée, solutions d'acide hyaluronique injectables en intra-articulaire, modification des modalités d'utilisation et de prescription des neurostimulateurs pour stimulation cérébrale profonde dans la maladie de Parkinson, réévaluation des critères d'éligibilité des centres implanteurs de valves aortiques transcutanées et projet d'arrêté fixant de nouvelles durées d'inscription applicables aux descriptions génériques.

Les phases contradictoires faisant suite à la publication au Journal officiel de 8 avis de projet ont été traitées : ventilation assistée, implants et prothèses mammaires externes, pompes à insuline externes (portables et programmables), pansements, perfusion à domicile, lits médicaux et défibrillateurs cardiaques implantables conventionnels avec sonde endocavitaire.

## Perspectives

### Constitution d'une commission comprenant un nombre plus important de membres

Le nombre de membres composant la CNEDiMTS était insuffisant au vu de la variété des produits évalués et compte tenu de l'élargissement du champ de la LPPR. Le décret du 9 juillet 2015 a permis de modifier la composition de la CNEDiMTS. À ce jour les membres sont au nombre de 28, contre 18 auparavant.

Deux sièges sont désormais attribués aux adhérents d'une association de patients et d'usagers du système de santé dans cette nouvelle composition. Ces derniers véhiculant des éléments de « perspective patient », un des enjeux de la CNEDiMTS pour 2016 sera de favoriser leur implication de manière régulière. Cet élargissement de la collaboration entre les usagers et les professionnels de santé témoigne de la volonté de la HAS de faire vivre la démocratie sanitaire à tous les niveaux de l'institution.

Il est à noter que l'évolution des règles en matière de transparence et déontologie s'est traduite en 2015 par la décision du ministre chargé de la santé de mettre fin à la présence des représentants des entreprises de dispositifs médicaux à la CNEDiMTS. Pour poursuivre le nécessaire dialogue entre la commission et les représentants des entreprises de santé, un comité d'interface a été mis en place dès novembre 2015 et devrait se réunir trois ou quatre fois par an. Ce comité a pour principales missions d'échanger sur les procédures d'évaluation, d'étudier les modalités d'échanges concernant les dossiers, de réfléchir aux mesures pour assurer la transparence des débats et de procéder à l'analyse rétrospective des avis rendus par la CNEDiMTS.

### Extension du périmètre de l'évaluation

#### ► Évaluation des dispositifs médicaux pris en charge dans les prestations d'hospitalisation (DM « Intra-GHS »)

L'objectif des pouvoirs publics étant de ne recommander aux établissements de santé, pour certaines catégories, que des DM évalués par la CNEDiMTS, la commission avait inscrit à son programme de travail 2015 les quatre catégories suivantes :

- les valves cardiaques chirurgicales biologiques ;
- les défibrillateurs cardiaques implantables sans sonde endocavitaire ;
- les stents intracrâniens utilisés dans l'angioplastie des sténoses athéromateuses ;
- les défibrillateurs cardiaques implantables conventionnels : avec sonde endocavitaire (simple, double et triple chambre).

La commission a publié un guide spécifique 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 (Titre V de la LPPR)**

Suite au travail réalisé par le Comité stratégique de filière, un décret permettant de rendre éligibles à la LPPR les DM non implantables issus d'innovations technologiques est paru le 19 décembre 2015. La Commission a donc élargi son périmètre d'évaluation à ces DM invasifs (au sens de la directive 93/42/CE), à usage individuel, utilisés par un médecin pour ou pendant la réalisation d'un acte (inscrit ou non à la CCAM) au cours d'une hospitalisation ou en environnement hospitalier.

Les règles d'évaluation sont 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 et spécifiques du DM à évaluer.

### **Renforcement de la transparence sur les exigences de la commission**

L'anticipation des exigences de la commission pour l'intégration de nouvelles technologies dans le panier de soins remboursables est une clé du succès pour un industriel dans sa stratégie d'accès au marché.

Les avis émis par la CNEDiMITS, systématiquement rendus publics depuis plusieurs années, constituent une source importante d'information. L'exploitation de ces avis peut permettre aux professionnels de santé et industriels de mieux comprendre la doctrine de la commission sur une catégorie de produits. Cette doctrine évolue au fil des évaluations compte tenu des technologies qui apparaissent et de la stratégie de prise en charge des pathologies considérées.

Pour faciliter ce travail, la HAS a cette année mis en ligne sa base de données sur les avis rendus par la CNEDiMITS afin de permettre son exploitation en *open data*.

Par ailleurs, la commission définit, à l'occasion de certaines évaluations de classe, ses exigences pour une inscription sous nom de marque afin de permettre aux industriels d'anticiper ces exigences.

Enfin, les transcriptions des séances de la CNEDiMITS relatives à l'examen des dispositifs médicaux sous nom de marque relevant d'une procédure d'instruction complète sont systématiquement adressées aux industriels concernés. Le demandeur peut ainsi prendre connaissance de l'intégralité des points discutés lors de l'examen de son dossier par la commission.

### **Optimisation du processus d'évaluation : mise en place du dossier allégé**

En 2016, la CNEDiMITS entend poursuivre ses évaluations à un rythme soutenu avec la perspective de réduire les délais de décision. Pour ce faire, l'optimisation du processus d'évaluation constitue un levier clé.

La simplification du contenu du dossier soumis par le demandeur pour les évolutions mineures de gamme de DM déjà remboursés avait été identifiée ces dernières années comme un axe potentiel d'amélioration. Le CSIS CSF « Évaluation de l'innovation des produits de santé » avait en effet demandé une adaptation des procédures pour ces situations.

Dans ce contexte, la HAS a mis en place en 2015 un dossier allégé pour les compléments de gamme et les évolutions mineures de gamme. Le guide fabricant a donc été actualisé, après concertation de l'ensemble des acteurs concernés, en intégrant les modalités de dépôt d'un dossier « allégé » et les situations concernées. En 2015, les industriels ont utilisé cette nouvelle trame ciblant l'information utile à la CNEDiMITS dans ces situations précises pour 21 dossiers.

### **Accompagnement des industriels : rencontres précoces et entretiens pré-dépôt**

Afin d'améliorer la production de données cliniques pertinentes au regard des exigences de l'évaluation, la HAS propose depuis quelques années des rencontres précoces. Ces rencontres, gratuites, non liantes et confidentielles, permettent aux industriels de soumettre leurs propositions de développement clinique à l'analyse 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) et sur demande des industriels. 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. Une [notice](#) décrit les modalités pratiques de ces demandes et de leur déroulé. Il est à noter que l'intérêt de ce type de rencontre a été consacré par la loi n° 2016-41 du 26 janvier 2016 de modernisation de notre système de santé (article 156) qui en a défini le cadre juridique.

La HAS est également sollicitée par les industriels sur d'autres aspects, le plus souvent technico-réglementaires, lors de la constitution ou de la finalisation de leur dossier (champ de la LPPR, contenu du dossier). Lorsque les questions soulevées sont multiples et ont trait à des questions réglementaires complexes, une réunion peut être proposée à l'industriel. Une formalisation des modalités de demande d'entretien dit « pré-dépôt » sera proposée au travers d'une notice spécifique. L'enjeu de ces entretiens est d'optimiser le contenu et la lisibilité des dossiers soumis à la CNEDiMITS.

La mise en place et le renforcement de ces deux modalités de rencontre témoignent ainsi de la volonté de la HAS d'accompagner les industriels pour l'accès au marché de nouveaux dispositifs.

## 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 mieux connaître le suivi de leurs malades et leur fournira des outils de recherche clinique. Les informations recueillies, qui constitueront des données essentielles dans le cadre de la demande de renouvellement d'inscription, 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.

Toutes les études devront faire l'objet d'une déclaration sur <https://clinicaltrials.gov>.

### ► Descriptions génériques renforcées, une nouvelle identification individuelle dans 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 CNEDiMITS, mais il offre néanmoins une nouvelle perspective de suivi des DM inscrits sous description générique, c'est-à-dire sans exigences cliniques spécifiques *a priori*.

## 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 surdit  par pose d'implants cochl aires ou d'implants du tronc c r bral.
-  valuation des implants de renfort pour le traitement de l'incontinence urinaire d'effort f minine et du prolapsus des organes pelviens de la femme.
-  valuation des proth ses de hanche (2007 et 2014).
-  valuation de l'assistance circulatoire m canique (hors dispositifs l gers).
-  valuation des appareils  lectroniques correcteurs de surdit .
-  valuation des implants de r fection de paroi, de suspension et d'enveloppement en chirurgie digestive et dans les indications sp cifiques   la chirurgie p diatrique.
-  valuation des endoproth ses aortiques abdominales utilis es pour le traitement des an vrismes de l'aorte abdominale sous-r nale.
-  valuation des endoproth ses coronaires   lib ration de principe actif.
- Dispositifs m dicaux d'aide   la pr vention des escarres (projet de nomenclature).
-  valuation des dispositifs de compression m dicale   usage individuel – Utilisation en pathologies vasculaires.
- Proth ses externes de membre sup rieur.
- R  valuation des bioproth ses valvulaires aortiques implant es par voie art rielle transcutan e ou par voie transapicale.
- Compression-contention m dicale   usage individuel – Utilisation en orthop die, rhumatologie, traumatologie.
- Implants articulaires du genou.
- Dispositifs m dicaux et prestations associ es pour traitement de l'insuffisance respiratoire et de l'apn e du sommeil : oxyg noth rapie   domicile.
- Dispositifs m dicaux et prestations associ es pour traitement de l'insuffisance respiratoire et de l'apn e du sommeil : ventilation m canique   domicile.
- Implants du rachis.
- Implants de pontage.
-  valuation des endoproth ses utilis es dans l'angioplastie des st noses ath romateuses intracr niennes.
- Substituts osseux.
- V tements compressifs pour grands br l s.
- Syndrome d'apn es-hypopn es obstructives du sommeil (SAHOS).
- Dispositifs m dicaux pour traitement de l'insuffisance respiratoire et prestations associ es.
- Neurostimulateurs m dullaires pour le traitement des douleurs chroniques.
- Dispositifs de fermeture percutan e de l'appendice auriculaire gauche.
- Syndrome d'apn es-hypopn es centrales du sommeil et respiration de Cheyne-Stokes.



# 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 prescription ou de prise en charge et des recommandations en santé publique pour aider notamment 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 2015 est construit en trois parties :

- la première partie présente les missions et le fonctionnement ;
- la deuxième partie présente le bilan de l'année 2015 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 liées au programme de travail de la CEESP, comprenant notamment :
  - les recommandations en santé publique,
  - les rapports d'évaluation technologique/économique.

## 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 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 de santé soit prise en compte dans les décisions les concernant, notamment celles relatives à leur prix. La CEESP s'appuie sur les travaux du service évaluation économique et santé publique (SEESP) et est également amenée à examiner certains dossiers du service évaluation des actes professionnels (SEAP).

La commission évaluation économique et santé publique 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 missions de :

- rendre un avis médico-économique sur les actes, produits ou prestations de santé (1<sup>er</sup> 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 a également pour mission de préparer ses délibérations relatives :
  - aux avis mentionnés au 2<sup>o</sup> 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<sup>o</sup> 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

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 membres d'associations d'usagers et 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. Des représentants des directions d'administration centrale des ministères chargés de la santé et de la sécurité sociale, des organismes d'assurance maladie et du CEPS assistent aux débats de la commission, sans voix délibérative.

Parmi les membres de la CEESP, deux vice-présidents peuvent être désignés par le Collège de la HAS.

Le mandat actuel couvre la période de 2015 à 2018. La commission est présidée par Jean-Luc Harousseau, président (du Collège) de la Haute Autorité de santé<sup>1</sup>. Sa vice-présidente est Catherine Le Galès.

### ► 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, désigné par le président. En 2015, la présidence de la sous-commission sciences humaines et sociales 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 2015, 11 réunions de la sous-commission économie et 7 réunions de la sous-commission sciences humaines et sociales ont été organisées. Les discussions menées en sous-commission économie font l'objet d'un compte rendu transmis à la commission.

### ► Bureau

Le bureau de la commission se compose du président, de la vice-présidente, des deux présidents des sous-commissions, et le cas échéant leur secrétaire ainsi que du chef du service évaluation économique et santé publique et de son adjoint. 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 ;
- examiner les liens d'intérêts des membres de la commission et organiser, le cas échéant, leur départ en séance ;
- 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.

### ► 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 Jean-Patrick Sales<sup>2</sup>.

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 des demandes.

La commission se réunit une fois par mois. Ses procès-verbaux sont publiés sur le site Internet de la Haute Autorité de santé et diffusés aux membres de la commission, à tous les participants à la séance, au directeur de la Haute Autorité de santé et aux membres du Collège, ainsi qu'aux représentants des ministères chargés de la santé et de la sécurité sociale et des organismes d'assurance maladie.

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 2015.

1. La présidence de la commission évaluation économique et santé publique est assurée par le Dr Jean-François Thébaud depuis février 2016.

2. La direction de l'évaluation médicale, économique et de santé publique est dirigée par le Dr Chantal Belorgey depuis juin 2016.

# 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 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 sécurité sociale, la HAS expertise les études médico-économiques nécessaires à l'évaluation de l'efficience 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 d'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<sup>e</sup> 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, 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. 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...).

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'efficience sont bien présentes (exhaustivité des documents fournis, notamment du rapport technique, des publications, du modèle...).

Si les éléments d'appréciation communiqués par l'industriel ou le fabricant sont insuffisants, le service évaluation économique et santé publique peut lui 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, d'un rapporteur économiste de la commission et, depuis février 2015, d'un rapporteur non spécialisé en évaluation économique.

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, et le cas échéant en sous-commission sciences humaines et sociales, 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...) complémentaires nécessaires à l'évaluation du dossier. Les liens d'intérêts des experts ainsi sollicités font l'objet d'une analyse selon les procédures en vigueur à la HAS. 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 par l'équipe projet du service évaluation économique et santé publique de la qualité méthodologique de l'évaluation économique déposée, 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 oralement, s'ils le souhaitent, 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 afin de valider l'analyse critique méthodologique et d'apprécier 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 cette audition, l'industriel transmet au préalable, au service évaluation économique et santé publique, toutes les observations écrites qu'il souhaite faire. La phase contradictoire porte sur l'avis rendu par la commission sur la base des données du dossier déposé et 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 cette audition, présenter de nouvelles données, ni de nouvelles simulations, y compris lorsqu'elles concernent des éléments demandés au cours de l'échange technique et n'ayant pas obtenu de réponse à cette occasion.

À l'issue de l'audition, la commission délibère de nouveau, tenant compte des arguments et éclairages présentés par l'entreprise, puis modifie la rédaction de son avis le cas échéant. L'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.

### ► **Transcription des débats**

En application des articles L. 1451-1-1 et R. 1451-6 du Code de la santé publique, la HAS réalise un enregistrement des séances de la commission évaluation économique et santé publique. Pour en faciliter la communication et la compréhension, la HAS a fait le choix

de recourir à une transcription des débats par l'intermédiaire d'une société prestataire. La transcription des débats relatifs à l'examen d'un produit est, depuis la séance du 8 décembre 2015, transmise à l'entreprise afin de laisser à celle-ci la possibilité de demander, avant la publication, l'occultation de certaines données relevant du secret industriel et commercial. Ce document, issu d'une prestation assurée par un tiers, n'est pas validé par la HAS et n'est, de fait, pas opposable.

#### ► Publication des avis d'efficience

Les avis définitifs de la commission sont publiés sur le site Internet de la HAS après masquage des données qui relèvent du secret industriel et commercial.

### 1.4 Quels outils sont mis à disposition de l'industriel pour la constitution des dossiers 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](#).

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 CEESP. 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 peuvent rencontrer les producteurs des modèles économiques.

#### ► Les rencontres précoces avec l'industriel

Afin de favoriser la conformité des études économiques déposées avec les 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.

#### ► 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](#) » 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 et des évolutions méthodologiques. 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 a été mis en consultation publique en juillet 2015 afin de recueillir les remarques des différents acteurs impliqués dans l'élaboration des dossiers d'avis d'efficience.

## 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 médicalement pertinentes. Cet objectif se traduit par l'estimation d'un ratio différentiel coût-résultat (RDRC) 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 RDRC dépend de plusieurs facteurs dont la documentation permet d'apprécier le degré d'incertitude attaché aux résultats et donc le degré de confiance accordé 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, chirurgie...).

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 interventions préventives, curatives ou palliatives 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 de pratique, 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 dans les résultats du modèle dépend de la robustesse des données intégrées et de leur extrapolation 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 résultats comme de coûts, 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 est analysé 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 qu'un choix est modifié. Les analyses de sensibilité probabilistes 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. Afin de donner l'information la plus complète au CEPS, il est attendu qu'une grande amplitude de variation du prix soit simulée, ou que la stabilité de la relation entre la variation de prix et la variation du RDCR soit démontrée.

## 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 cinq 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 des résultats par la CEESP.

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 référence n'a été définie pour considérer un RDCR comme « trop » élevé.

## ► Données complémentaires

Une troisième partie présente les données complémentaires attendues. Cette partie poursuit trois 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 associés à l'intervention étudiée en pratique courante (populations rejointes, recueil des coûts, impact sur l'organisation des soins, des pratiques et stratégies de prise en charge, concordance des hypothèses d'extrapolation avec la pratique médicale courante à moyen terme, prise en compte de nouvelles stratégies thérapeutiques...);
- proposer éventuellement la réalisation d'analyses 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 du contexte clinique ainsi que de 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 ;
- le choix d'une 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. Ainsi, 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) ;
- l'absence de données cliniques et/ou économiques suffisantes pour permettre un éclairage en termes d'efficacité.

Dans la seconde situation, la commission peut le cas échéant reconnaître 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'efficacité.

### 2.4 Quelle est la contribution des avis d'efficacité à la négociation des prix ?

Les avis d'efficacité 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'efficacité sont fondés sur les prix revendiqués par l'industriel, ce qui peut limiter l'information produite en termes d'efficacité 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 revendiqué. 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'efficacité 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.

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 pourra 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 avis émis par deux commissions de la HAS (CEESP et CT ou CEESP et CNEDiMITS) 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 les industriels.

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'efficacité constatée de l'intervention évaluée.

Dès lors que le produit entre dans le champ du décret (ASMR I, II ou III) obtenue et impact significatif sur les dépenses de l'Assurance maladie), l'industriel doit fournir un dossier d'efficacité complet lors de sa demande de réinscription.

## 2.7 Les demandes de données complémentaires et études post-inscription

Des demandes de données complémentaires, en post-inscription, peuvent être formulées par la commission, puis reprises dans la convention signée entre le Comité économique des produits de santé (CEPS) et l'industriel. Pour le médicament, les conditions de réalisation de ces études sont prévues dans les accords-cadres 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. Pour les dispositifs médicaux, c'est l'accord-cadre signé entre le CEPS et les syndicats représentatifs ou organisations regroupant les fabricants ou distributeurs de dispositifs médicaux qui contient des dispositions destinées à améliorer le démarrage et la réalisation des études. Des réunions tripartites (CEPS/HAS/fabricants), organisées par le CEPS à la HAS, permettent de mettre en perspective la demande d'étude et les contraintes de sa réalisation. La clause de la convention est établie sur la base du compte rendu de cette réunion. La CEESP examine les études post-inscription dès lors qu'elles intègrent une dimension économique.

## 2.8 Le 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 l'expertise sanitaire annexée au décret n° 2013-413 du 21 mai 2013, de la [charte de déontologie et du guide de déclaration d'intérêts et de gestion des conflits d'intérêts de la HAS](#). 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. Ils sont par ailleurs astreints à un devoir de réserve.

Avant l'examen de chacun des dossiers prévus à l'ordre du jour, le président invite les membres de la commission dont la déclaration d'intérêts fait état de liens d'intérêts considérés comme majeurs avec le dossier examiné ou des produits concurrents à se déporter en quittant la salle. Il invite également les autres membres à faire connaître les intérêts qu'ils n'auraient pas préalablement déclarés et qui pourraient générer un conflit avec le dossier examiné. Au regard des liens ainsi déclarés, le président peut demander à un ou plusieurs membres de quitter la salle avant l'examen du dossier concerné.

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 électronique neutre administrée.

Les avis et les points principaux des débats de la commission sont publiés sur le site de la HAS, assurant la transparence de cette évaluation et de ses conclusions.

### 3. Bilan de l'activité 2015 sur les avis d'efficience

#### 3.1 Demandes déposées

*Cette partie concerne les demandes déposées et enregistrées entre le 1<sup>er</sup> janvier et le 31 décembre 2015. Les avis d'efficience peuvent ne pas avoir encore fait l'objet d'une validation par la CEESP au 31 décembre 2015. Dans ce cas, l'avis ne sera présenté que dans le compte rendu d'activité de 2016.*

En 2015, le service évaluation économique et santé publique a enregistré 97 demandes mais seules 65 répondaient aux critères du décret (44 médicaments et 21 dispositifs médicaux). Ces demandes ont été examinées par le Collège de la HAS qui a constaté l'éligibilité à une évaluation économique pour 23 dossiers (21 médicaments et 2 dispositifs médicaux), compte tenu des revendications d'ASMR/ASA, de l'impact revendiqué sur les dépenses d'assurance maladie et des revendications d'incidence sur l'organisation des soins, les pratiques professionnelles ou les conditions de prise en charge des malades. L'évaluation médico-économique de 2 médicaments a par ailleurs été confiée en 2015 au Collège de la HAS, par décision du président du Collège, qui a souhaité utiliser ainsi le pouvoir d'évocation.

Tableau 1. Répartition des demandes déposées en 2015

Demandes déposées	Nombre de dossiers
Nombre de dossiers déposés	97
<i>Dont hors décret</i>	32
Nombre de décisions rendues par le Collège (éligibilité)	65
<i>Dont éligibles</i>	23
<i>Dont inéligibles</i>	42

Tableau 2. Dossiers éligibles en 2015

PRODUIT <i>Laboratoire</i>	Pathologie	Domaine thérapeutique
<b>XTANDI® (enzalutamide)</b> <i>Astellas Pharma</i>	Cancer de la prostate	Cancérologie
<b>VIEKIRAX® (ombitasvir + paritaprevir + rotonavir)</b> <i>Abbvie</i>	Hépatite C	Infectiologie
<b>EXVIERA® (dasabuvir)</b> <i>Abbvie</i>	Hépatite C	Infectiologie
<b>SAPIEN 3 (DM – valve aortique)</b> <i>Edwards Lifesciences</i>	Valvulopathie	Cardiologie
<b>HALAVEN® (eribuline)</b> <i>Esai</i>	Cancer du sein	Cancérologie
<b>NEXPLANON® (etonogestrel)</b> <i>MSD</i>	Contraception	Contraception
<b>COREVALVE (DM – valve aortique)</b> <i>Medtronic</i>	Valvulopathie	Cardiologie
<b>COSENTYX® (sécukinumab)</b> <i>Novartis Pharma</i>	Psoriasis en plaques	Dermatologie
<b>LEMTRADA® (alemtuzumab)</b> <i>Genzyme</i>	Sclérose en plaques	Neurologie
<b>ZONTIVITY® (vorapaxar)</b> <i>MSD</i>	Athérosclérose	Cardiologie
<b>OPDIVO® (nivolumab)</b> <i>Bristol-Myers Squibb</i>	Mélanome avancé	Cancérologie/Dermatologie

PRODUIT <i>Laboratoire</i>	Pathologie	Domaine thérapeutique
<b>REPATHA® (evolocumab)</b> <i>Amgen</i>	Hypercholestérolémie	Métabolisme
<b>OPDIVO® (nivolumab)</b> <i>Bristol-Myers Squibb</i>	Cancer bronchique non à petites cellules	Cancérologie/Pneumologie
<b>KEYTRUDA® (pembrolizumab)</b> <i>MSD</i>	Mélanome avancé	Cancérologie/Dermatologie
<b>KANUMA® (sebelipase alfa)</b> <i>Synageva Biopharma</i>	Déficit en lipase acide lysosomale	Endocrinologie et métabolisme
<b>MEKINIST® (trametinib)</b> <i>Novartis Pharma</i>	Mélanome avancé	Cancérologie/Dermatologie
<b>PRALUENT® (alirocumab)</b> <i>Sanofi</i>	Hypercholestérolémie	Métabolisme
<b>ENTRESTO® (sacubitril + valsartan)</b> <i>Novartis Pharma</i>	Insuffisance cardiaque	Cardiologie
<b>GENVOYA® (elvitegravir + cobicistat + emtricitabine + tenofovir + alafenamide)</b> <i>Gilead</i>	Infection par le VIH	Infectiologie
<b>STRENSIQ® (asfotase alfa)</b> <i>Alexion Pharma</i>	Hypophosphatasie	Endocrinologie et métabolisme
<b>KYPROLIS® (carfilzomib)</b> <i>Amgen</i>	Myélome multiple	Cancérologie
<b>COTELLIC® (cobimetinib)</b> <i>Roche</i>	Mélanome avancé	Cancérologie/Dermatologie
<b>ORKAMBI® (lumacaftor + ivacaftor)</b> <i>Vertex Pharmaceuticals</i>	Mucoviscidose	Pneumologie

### 3.2 Avis rendus

*Cette partie présente les avis rendus par la commission en 2015. Les données présentées peuvent correspondre à des demandes déposées avant 2015 ou dont l'instruction a débuté avant le 1<sup>er</sup> janvier 2015. Les avis dont l'adoption ou la phase contradictoire était en cours au 31 décembre 2015 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 2016.*

En 2015, 21 avis d'efficacité (18 sur des médicaments, 3 sur des dispositifs médicaux) ont été validés par la commission et transmis au CEPS avec un délai d'instruction moyen de 101 jours.

Tableau 3. Avis rendus en 2015

Produit évalué	Publication en 2015
<b>NPLATE (romiplostim)</b> – Purpura thrombopénique immunologique	
<b>MITRACLIP (DM – valve mitrale)</b> – Insuffisance mitrale	
<b>ESBRIET® (pirfenidone)</b> – Fibrose pulmonaire idiopathique	
<b>GAZYVARO® (obinutuzumab)</b> – Leucémie lymphoïde chronique	
<b>DAKLINZA® (daclatasvir)</b> – Hépatite C	04/11/2015
<b>FLUENZ TETRA® (vaccin grippal)</b>	
<b>ZYDELIG® (idelalisib)</b> – Leucémie lymphoïde chronique/Lymphome folliculaire	
<b>HARVONI® (ledipasvir + sofosbuvir)</b> – Hépatite C	03/11/2015

Produit évalué	Publication en 2015
IMBRUVICA® (ibrutinib) – Lymphome à cellules du manteau/Leucémie lymphoïde chronique	
XTANDI® (enzalutamide) – Cancer de la prostate	
VIEKIRAX® (ombatasvir + paritarevir + rotonavir) – Hépatite C	02/11/2015
EXVIERA® (dasabuvir) – Hépatite C	02/11/2015
SAPIEN 3 (DM – valve aortique percutanée) – Valvulopathie aortique	
HALAVEN® (eribuline) – Cancer du sein	
NEXPLANON® (etonogestrel) – Implant contraceptif sous-cutané	
COREVALVE (DM – valve aortique percutanée) – Valvulopathie aortique	
COSENTYX® (sécukinumab) – Psoriasis en plaques	
LEMTRADA® (alemtuzumab) – Sclérose en plaques	
ZONTIVITY® (vorapaxar) – Athérosclérose	
REPATHA® (evolocumab) – Hypercholestérolémie	
OPDIVO® (nivolumab) – Cancer bronchique non à petites cellules	

Tableau 4. Répartition des avis rendus en 2015 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	3
Inscription sur la liste des produits agréés aux collectivités et divers services sociaux et sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux	15
Inscription sur la liste des produits et prestations remboursables	3

Tableau 5. Répartition des avis rendus en 2015 selon le type de demande

Type de demande	Nombre de dossiers
Première inscription	14
Extension d'indication	2
Renouvellement d'inscription	4
Réévaluation	1

Parmi les 21 avis rendus en 2015, seuls 3 dossiers incluaient une analyse d'impact budgétaire en plus de l'étude d'efficience.

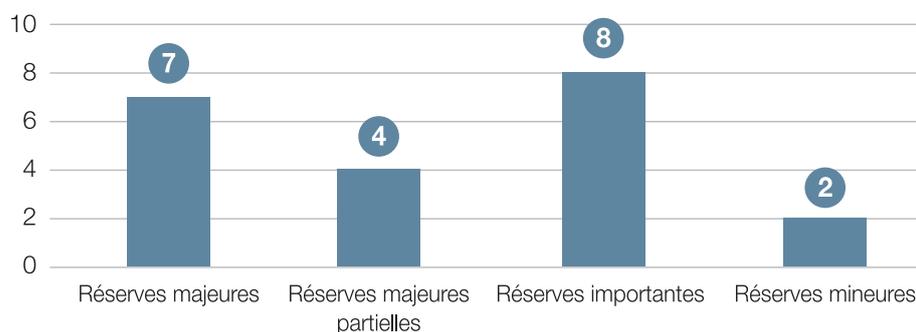
#### ► Conformité méthodologique

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. Sept avis ont été rendus avec des réserves majeures invalidant l'ensemble du modèle médico-économique.

Pour 4 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 2 avec des réserves mineures.

### Répartition des avis rendus selon la qualification des réserves sur la conformité méthodologique



#### ► Données complémentaires

Ces données doivent permettre de définir ce qui est attendu dans le cadre de la réalisation d'études futures, de façon à réduire l'incertitude attachée aux résultats et à confirmer l'efficacité attendue par des données d'utilisation en vie réelle. Dix-neuf des 21 avis rendus en 2015 ont fait l'objet de demandes de données complémentaires. Celles-ci ont principalement porté sur la nécessité de fournir des données, non disponibles au moment de l'évaluation et qui pourraient permettre de conforter les résultats du modèle en termes d'efficacité (intégration de données d'efficacité comparatives en vie réelle, données d'efficacité du produit à plus long terme, arrivée sur le marché de nouveaux comparateurs à prendre en compte...).

Près de la moitié des demandes de données complémentaires formulées portaient sur la réalisation d'une analyse d'impact budgétaire compte tenu de l'impact significatif attendu sur les dépenses de l'Assurance maladie.

#### ► 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 réserve majeure, l'avis liste les éventuelles réserves importantes et mentionne l'existence de réserves mineures, sans les détailler.

La qualification des réserves est notamment déterminée par le degré d'incertitude sur les résultats, par la façon dont cette incertitude est documentée et par le risque que le choix méthodologique retenu 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 21 avis validés, 17 ont fait l'objet de réserves sur les choix structurants de l'étude soumise et 5 sur l'objectif de l'étude. Dans 4 avis, il s'agissait d'au moins une réserve majeure et dans 9 avis d'au moins une réserve importante.

Le choix des comparateurs retenus dans l'étude médico-économique est le choix structurant qui soulève le plus souvent des réserves (14 avis, dont 3 avis avec une réserve majeure, 1 avis avec réserve majeure partielle et 10 avis avec une réserve importante). Ces réserves portaient principalement sur la non-prise en compte d'au moins un des comparateurs pertinents dans l'étude.

Neuf des 21 études médico-économiques déposées par les industriels sont réalisées sur un horizon temporel vie entière. Le choix de l'horizon temporel 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 majeures dans 3 études.

##### ● Réserves sur la modélisation

Les 21 avis validés ont tous fait état de réserves sur la modélisation dont 3 avec une réserve majeure, 1 avec réserve majeure partielle et 13 avec au moins une réserve importante. Dans 8 avis, plus de 4 réserves étaient formulées.

Les réserves majeures portaient principalement sur les données cliniques utilisées pour estimer les probabilités dans le modèle. La prise en compte de la dimension temporelle de l'évaluation a fait l'objet de réserves importantes dans 3 avis.

Le type de modèle mis en œuvre a fait l'objet d'une réserve majeure pour un dossier. La plupart des études reposaient sur une modélisation multi-état de type Markov (15 dossiers) couplée pour 3 d'entre elles à un arbre de décision. Trois modèles de survie et 1 modèle de transmission dynamique ont également été proposés. Trois études ont fait l'objet de réserves importantes sur la structure du modèle, les hypothèses et la population simulée.

##### ● Réserves sur l'évaluation des résultats de santé

Sur les 21 avis validés, 15 ont fait état de réserves sur l'estimation des résultats de santé (1 dossier avec réserve majeure et 5 dossiers avec au moins une réserve importante).

Ces réserves portaient sur les sources et la méthode d'estimation de l'utilité de base des états de santé (données sources, valorisation des états de santé) et sur l'estimation des désutilités appliquées à l'utilité de base.

### ● Réserves sur les coûts

Sur les 21 avis validés, 18 ont fait état de réserves sur l'estimation des coûts dont au moins une réserve importante dans 3 dossiers. Quatre études ont fait l'objet d'au moins 4 réserves mineures. Les principales critiques portaient sur une sous-estimation des résultats d'analyse de coûts (non-prise en compte de certains coûts) et sur le manque de robustesse de la méthode mise en œuvre. Des réserves ont également été formulées en raison de l'absence de mise à jour des sources de données.

### ● Réserves sur la présentation des résultats et les analyses de sensibilité

Les 21 études évaluées ont toutes fait l'objet de réserves sur la présentation des résultats et les analyses de sensibilité, dont 4 avec au moins une réserve majeure et 16 avec au moins une réserve importante. Cinq études font l'objet d'au moins 4 réserves. Les réserves majeures soulignaient la non-transposabilité des résultats dans une sous-population, le caractère incomplet des analyses de sensibilité réalisées et la présentation par comparaison deux à deux.

### ► Conclusions de la CEESP sur l'efficacité

Les conclusions de la CEESP se distinguent en fonction du niveau de réserve obtenu.

- Pour 7 avis validés comportant une réserve majeure globale, la CEESP a conclu que l'efficacité du produit n'était pas démontrée.
- Pour les 14 avis sans réserve majeure globale (10 avis avec réserves importantes ou mineures ; 4 avis avec réserve majeure partielle), les ratios différentiels coûts-résultats estimés par les industriels sont très variables. Par ailleurs, ils peuvent dépendre des sous-populations (5 avis), ou de la place du produit dans la stratégie thérapeutique (2 avis) :
  - dans 5 avis, les RDCR retenus par la HAS sont supérieurs à 50 000 € par QALY, y compris lorsque le dossier présente plusieurs RDCR calculés par sous-population. Dans 2 avis, ils sont inférieurs à 50 000 € par QALY ;
  - dans 4 avis, une forte amplitude du résultat est observée selon les sous-populations, conduisant à des conclusions sur l'efficacité qui peuvent être favorables ou défavorables au produit selon les sous-populations ;
  - dans 1 avis, le RDCR n'a pas été repris, considérant que l'incertitude était trop importante pour fonder une conclusion sur l'efficacité, malgré l'absence de réserve méthodologique majeure ;
  - dans 2 avis, le RDCR n'est pas exprimé en €/QALY.

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 (4 dossiers), niveau de confiance faible (5 dossiers), transposabilité des résultats non garantie à la pratique médicale courante (2 dossiers). Un élément important documenté par la CEESP pour interpréter la portée de l'évaluation présentée est la restriction éventuelle de la population pour laquelle l'efficacité est évaluée par rapport à la population correspondant à la revendication d'une ASMR I à III.

La CEESP a également pu apporter un éclairage plus large sur les produits analysés et les conditions de leur efficacité en soulignant, par exemple, l'impact que peuvent avoir certains choix industriels (positionnement dans la stratégie thérapeutique, stratégie de prix unique), l'arrivée prochaine de concurrents ou les conditions d'utilisation du produit en vie réelle.

Elle s'est également attachée à souligner dans plusieurs dossiers les enjeux du prix négocié, en termes de taille de la population cible et d'impacts financiers, lorsque de futures extensions d'indication sont à prévoir ou lorsque d'autres produits concurrents entreront en négociation de prix sur la même indication. Enfin, l'évaluation séquentielle de plusieurs produits dans une même indication a conduit la CEESP à recommander qu'une réévaluation de l'efficacité soit réalisée à court terme, notamment dans le traitement de l'hépatite C et dans la prise en charge de certains cancers.

### 3.3 Avis publiés

Onze avis d'efficacité ont été publiés en 2015.

### ► Conformité méthodologique et RDCR des avis publiés

Tableau 6. Réserves et RDCR des 11 avis publiés en 2015

Nom du produit	Niveau maximal des réserves émises sur la conformité méthodologique	RDCR présenté en analyse de référence*
LEMTRADA®	Importantes	< 20 000 à 129 382 €/QALY selon la population
ZOSTAVAX®	Importantes	26 053 €/QALY
ROTATEQ®	Importantes	29 797 €/QALY
ROTARIX®	Importantes	24 413 €/QALY
ADEMPAS®	Majeures	NA
OLYSIO®	Majeures partielles	16 890 à 18 127 €/QALY selon la population
XOLAIR®	Importantes	51 447 €/QALY
DAKLINZA®	Importantes	14 660 à 102 073 €/QALY selon la population et la stratégie considérées

Nom du produit	Niveau maximal des réserves émises sur la conformité méthodologique	RDCR présenté en analyse de référence*
HARVONI®	Majeures	NA
VIEKIRAX®	Majeures partielles	10 975 à 91 954 €/QALY ou dominé selon la population et la stratégie considérées
EXVIERA®	Majeures partielles	10 975 à 91 954 €/QALY ou dominé selon la population et la stratégie considérées

\* L'interprétation du RDCR doit tenir compte de l'incertitude associée au résultat, précisée dans le texte de l'avis.

### ► Impact sur les prix des avis publiés en 2015

Cette analyse ne tient pas compte des éventuelles remises accordées dans le cadre d'échanges conventionnels.

Sur les 11 avis publiés en 2015, 8 ont fait l'objet d'une publication de prix à l'issue des négociations entre le CEESP et les industriels en 2015. Il s'agit de 7 médicaments inscrits à la fois sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités et divers services publics et sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux et de 1 uniquement inscrit sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités et divers services publics.

Pour 4 de ces produits, le prix facial obtenu a été inférieur de moins de 10 % au prix revendiqué. Leurs RDCR établis sur la base du prix revendiqué étaient très variables, allant d'environ 11 000 €/QALY à 51 000 €/QALY.

Un produit a obtenu un prix facial inférieur de 21 % au prix revendiqué.

## 3.4 Contacts avec les industriels

### ► Échanges techniques

Des questions techniques ont été posées pour les 21 avis validés en 2015 et, pour 12 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 2015, pour 20 des 21 avis rendus, des observations ont été formulées par les industriels sur les projets d'avis, et pour 8 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 8 auditions, 3 ont abouti à la requalification d'une réserve, 3 à la suppression d'une réserve, et des reformulations ont été acceptées pour la grande majorité des dossiers concernés.

### ► Rencontres précoces

En 2015, 21 rencontres précoces ont été organisées. Environ 43 % 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 2015. 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. Les points discutés lors de ces rencontres portent principalement sur le choix des comparateurs et l'importance de l'évaluation de l'incertitude. Sont également abordées des questions liées à l'horizon temporel, à la population d'analyse, aux données d'utilité et aux coûts directs à prendre en compte.

## 3.5 Complémentarité des avis de la HAS

Dans les avis rendus en 2015 par la CEESP et pour lesquels un avis d'une des deux autres commissions réglementaires était disponible (21 dossiers analysés), au moins une même limite portant sur les données cliniques a été signalée à la fois dans l'avis de la CEESP et dans les conclusions de l'avis de la CT ou de la CNEDiMITS dans 15 dossiers. Les limites signalées par la CEESP portent seulement sur les données cliniques intégrées dans la modélisation économique. Ce qui peut expliquer qu'une similitude entre le niveau de réserves motivant les avis de la CEESP et les niveaux de SMR/SA et/ou d'ASMR/ASA octroyés par la CT ou la CNEDiMITS ne soit pas systématiquement retrouvée.

En particulier, sur les 10 avis rendus par la CEESP avec des réserves majeures invalidant l'ensemble ou une partie du modèle médico-économique, 7 dossiers comportaient une réserve majeure relative aux données cliniques. Pour 1 de ces dossiers, la CT ou la CNEDiMITS a octroyé des niveaux de SMR/SA et d'ASMR/ASA inférieurs à ceux revendiqués par l'industriel fondés sur les mêmes arguments que la CEESP, à savoir une hétérogénéité des populations étudiées. Pour les 6 autres dossiers, la CT ou la CNEDiMITS a octroyé un niveau de SMR/SA et d'ASMR/ASA inférieur à ceux revendiqués par l'industriel fondé sur des arguments différents de ceux de la CEESP, les données cliniques mobilisées dans l'évaluation économique pouvant être différentes, notamment en termes de populations étudiées, de celles retenues dans le dossier soumis à la CT ou la CNEDiMITS.

Par ailleurs, la CT ou la CNEDiMITS n'a pas octroyé un SMR/SA suffisant dans toutes ou certaines indications revendiquées pour 4 dossiers sur des arguments qui n'ont pas conduit la CEESP à émettre une réserve majeure. Ces arguments portaient sur l'efficacité en morbi-mortalité du produit, la tolérance du produit ou sa place dans la stratégie thérapeutique.

# 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 de 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 de 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.

Elle 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 et prend la forme d'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 niveaux de complexité variés (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 et le cas échéant l'audition des parties prenantes. 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, Direction de la sécurité sociale).

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 et 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 est ensuite discuté par la commission évaluation économique et santé publique qui peut, le cas échéant, élargir le champ de l'étude, ou proposer des réorientations. Sur proposition de la commission évaluation économique et santé publique, le Collège de la HAS valide la note de cadrage ou la feuille de route 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 portant sur les autres dimensions pertinentes de l'évaluation 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...);
- un groupe de travail pluridisciplinaire peut être constitué par le service évaluation économique et santé publique après analyse des déclarations publiques d'intérêts des experts. 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 peut ensuite être 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 Internet de la HAS](#) ;
- 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 2015

En 2015, la commission a émis 2 rapports d'évaluation médico-économique et 6 recommandations en santé publique. Chacun de ces travaux est brièvement décrit ci-après.

### ► Rapports d'évaluation médico-économique (2)

Les rapports d'évaluation médico-économique publiés en 2015 sont les suivants.

#### ● Conditions de développement de la chimiothérapie intraveineuse en Hospitalisation à Domicile (HAD) : analyse économique et organisationnelle. Mise en ligne le 16 mars 2015.

Sur saisine de la Direction générale de l'offre de soins, la HAS a réalisé un travail actualisant la synthèse de littérature qu'elle avait publiée en 2005 sur la chimiothérapie pratiquée en hospitalisation à domicile. Elle a complété cette analyse par une étude des bases de données tarifaires codant les séjours de chimiothérapie en HAD (PMSI-HAD) et par 5 monographies de sites réalisées après enquête de terrain. Ces travaux ont permis à la HAS de dresser un état des lieux précis des pratiques actuelles de chimiothérapie en HAD et de produire des recommandations, destinées aux décideurs publics, pour lever les freins au développement de cette activité.

Le traitement par chimiothérapie des patients atteints de cancer peut être réalisé en hospitalisation conventionnelle (le plus souvent lors de séances en hospitalisation de jour), mais également dans le cadre d'une prise en charge en HAD. Face au ralentissement de la dynamique de croissance de l'activité globale des établissements d'HAD en France, alors même que l'objectif fixé par le régulateur est un doublement de cette activité à l'horizon 2018, la DGOS a interrogé la HAS sur :

- ▶ la pertinence d'encourager le développement de la chimiothérapie en HAD, au regard de l'évaluation médico-économique de ce type de prise en charge ;
- ▶ les modalités tarifaires et organisationnelles qui permettraient, le cas échéant, d'assurer ce développement.

À partir de l'analyse de la littérature, des bases de données tarifaires et des 5 monographies de sites d'HAD réalisées, la HAS a dressé un certain nombre de constats relatifs aux modalités d'organisation de la chimiothérapie en HAD. Elle formule 18 recommandations destinées aux décideurs (DGOS, ARS, établissements d'HAD et établissements prescripteurs). Elles sont déclinées aux niveaux national, régional et local et portent sur le périmètre et la nature de l'activité de chimiothérapie à développer en HAD, le renouvellement de la politique tarifaire, l'amélioration de la prise en charge et les traitements.

Les recommandations de la HAS ont pour objectifs de :

- ▶ permettre le développement de la chimiothérapie en HAD dans les domaines où cela apparaît souhaitable (hématologie notamment) au bénéfice des patients les plus fragilisés (personnes âgées, enfants, patients avec cancer métastatique) tout en étant réalisable d'un point de vue technique pour les personnels des établissements d'HAD et ceux des pharmacies à usage intérieur (PUI) des établissements de santé (injections fréquentes mais simples, ou de courte durée) ;
- ▶ résoudre les difficultés rencontrées par les acteurs, qu'elles soient organisationnelles, administratives, informatiques ou tarifaires ;
- ▶ harmoniser les pratiques sur le territoire, afin de rendre accessible la chimiothérapie pour tous les patients qui souhaitent bénéficier de ce type de prise en charge.

Certaines de ces recommandations peuvent être mises en œuvre de manière isolée, d'autres nécessitent d'être articulées entre elles, notamment celles qui visent à encourager le développement de cette activité, qui ne pourra être assuré sans la levée de certains freins, notamment tarifaires.

#### ● Outil logiciel permettant l'analyse de l'adéquation des tarifs aux coûts de production de la chirurgie ambulatoire par méthode de microcosting. Mise en ligne le 30 mars 2015.

Depuis 2012, à la demande de la DGOS, la HAS est engagée avec l'Agence nationale d'appui à la performance des établissements de santé et médico-sociaux (Anap) dans un programme de développement de travaux et d'outils destinés à aider les établissements et les professionnels de santé à augmenter la part de l'activité chirurgicale réalisée en ambulatoire, tous actes confondus. Un des freins au développement de la chirurgie ambulatoire dans les établissements de santé réside dans leur difficulté à appréhender leurs coûts unitaires pour cette activité.

La HAS a donc développé un logiciel dit de « *microcosting* » qui permet aux établissements de calculer le coût réel de réalisation d'un geste chirurgical donné et de le comparer aux recettes perçues. Il s'agit d'un « pack » comportant un fichier Excel avec macro-fonctions, un guide questions/réponses et un tutoriel disponible sur le site de la HAS.

L'objectif de l'outil est à la fois économique et organisationnel. Il permet non seulement à un établissement utilisateur de calculer le coût complet instantané du geste considéré (en euros) mais également de simuler la variation du coût unitaire du geste étudié, en fonction du nombre de patients traités ou de nouvelles modalités d'organisation (extension des horaires d'ouverture par exemple).

Grâce à ce logiciel, il sera concrètement possible d'arbitrer entre des choix d'extension des horaires ou d'accroissement capacitaire (nombre de places, nombre de blocs...) en vue d'une augmentation d'activité, d'identifier des goulots d'étranglement dans le flux des patients et d'évaluer le dimensionnement et l'organisation de l'unité pour un fonctionnement optimal minimisant son coût associé.

### ► Recommandations en santé publique (6)

En 2015, la HAS a émis 6 recommandations en santé publique.

#### ● Actualisation du référentiel de pratiques de l'examen périodique de santé (EPS). Dépistage et prévention du diabète et des maladies liées au diabète. Mise en ligne le 13 février 2015.

Dans ce référentiel de pratiques de l'examen périodique de santé des centres d'examen de santé de l'Assurance maladie sur la prévention et le dépistage du diabète de type 2 et des maladies liées au diabète, la HAS rappelle l'histoire de la maladie, l'épidémiologie, les facteurs de risque et leur prévention (pour les facteurs de risque amendables), les examens diagnostiques, les traitements,

la stratégie de dépistage opportuniste ciblé, les examens de surveillance pour la prévention des complications microvasculaires et macrovasculaires, la place du médecin de CES dans le dispositif.

● **Actualisation du référentiel de pratiques de l'examen périodique de santé (EPS). Dépistage et prévention du cancer du sein. Mise en ligne le 10 avril 2015.**

Dans ce référentiel de pratiques de l'examen périodique de santé des centres d'examen de santé de l'Assurance maladie sur le dépistage et la prévention du cancer du sein, la HAS rappelle les recommandations en ce qui concerne le programme national de dépistage organisé du cancer du sein, les critères d'inclusion et d'exclusion des femmes dans ce dépistage et les modalités de dépistage chez les femmes à haut risque de cancer du sein.

Des données complémentaires sont apportées sur l'histoire de la maladie, l'épidémiologie, les facteurs de risque, les examens et les traitements, la stratégie diagnostique en fonction des niveaux de risque, la place du médecin de CES dans le dispositif de dépistage et de prévention de ce cancer.

● **Autotests de dépistage du VIH. Mise en ligne le 15 avril 2015.**

En raison de la commercialisation annoncée en 2015 des autotests de dépistage de l'infection par le VIH (ADVIH) sur le marché français, la Direction générale de la santé (DGS) a demandé à la HAS de produire un « guide de bonne pratique » d'utilisation des ADVIH à destination des professionnels en contact avec les utilisateurs.

Ce document s'adresse aux pharmaciens qui délivreront les ADVIH mais également aux autres professionnels de santé (médecins, sages-femmes, infirmiers) ainsi qu'aux travailleurs sociaux et aux associations susceptibles d'être impliqués dans des questions de prévention et de sexualité en rapport avec le VIH.

La liste de questions et réponses pratiques proposée dans ce document a pour objectifs de permettre aux professionnels de répondre aux questions des utilisateurs potentiels d'ADVIH et de les accompagner dans leur démarche de dépistage.

Ce document a été rédigé en collaboration avec les membres d'un groupe d'experts constitué de représentants d'institutions, d'associations et d'organismes impliqués dans la lutte contre le VIH, de pharmaciens, d'un sociologue, d'un médecin généraliste et d'un biologiste. Les réponses formulées sont fondées sur les éléments présentés dans un argumentaire.

Pour que ce document soit accessible à l'ensemble des professionnels, la diffusion s'est faite en partenariat avec les institutions et les associations impliquées dans la prévention et la lutte contre le VIH.

● **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. Mise en ligne le 3 juin 2015.**

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. En raison de l'intérêt potentiel d'une telle stratégie, une étude a été financée par la Caisse nationale de l'assurance maladie des travailleurs salariés (Cnamts) pour étudier ses performances par rapport à la stratégie actuelle. Compte tenu de ces nouvelles données sur la stratégie couplant les dosages de la trypsine immunoréactive (TIR) et de la protéine associée à la pancréatite (PAP), la Cnamts et l'Association française pour le dépistage et la prévention des handicaps de l'enfant (AFDPHE) ont demandé à la HAS d'évaluer si ces dernières justifiaient une évolution du programme de dépistage néonatal systématique de la mucoviscidose en France.

La méthode utilisée repose sur une comparaison des performances diagnostiques et de l'efficacité de différentes stratégies de dépistage, incluant ou non un test génétique (TIR-ADN, TIR-PAP et TIR-PAP-ADN avec ou sans rattrapage). Une analyse des enjeux éthiques a été réalisée afin de mettre en perspective les résultats observés.

Au total, compte tenu des résultats de l'analyse économique, et notamment du risque de perte de chance associé à la stratégie TIR-PAP-ADN sans rattrapage, et de l'analyse des enjeux éthiques liés aux modalités de dépistage, la HAS recommande l'abandon de la stratégie actuelle TIR-ADN au profit d'une stratégie TIR-PAP.

Compte tenu de l'anxiété générée par la réalisation d'un test à la sueur chez un nouveau-né et du nombre de nouveau-nés convoqués qui s'avèreront non malades, l'information des parents devrait être renforcée sur l'éventualité que leur enfant soit convoqué à un test de la sueur qui se révélera négatif pour la plupart des enfants concernés. Cette information vise à présenter le test de la sueur comme faisant partie intégrante du processus de dépistage afin, le cas échéant, de limiter autant que possible l'anxiété des parents en évitant qu'ils perçoivent ce test comme le signal d'un diagnostic imminent de mucoviscidose.

Par ailleurs, la HAS réitère la recommandation déjà formulée en 2009 : « La HAS recommande d'envisager la possibilité d'informer une première fois les parents en période prénatale sur la mucoviscidose, le fonctionnement du dépistage et les conséquences possibles du programme pour eux, avec éventuellement la remise d'un document écrit synthétique et l'accès à des ressources complémentaires pour les parents qui le souhaiteraient. »

Concernant l'identification des nouveau-nés atteints de forme frontière, les recommandations suivantes de 2009 de la HAS sont réitérées :

- ▶ « La HAS recommande de préciser les critères diagnostiques qui doivent conduire à organiser un suivi régulier en CRCM pour un nouveau-né et ceux qui ne doivent pas conduire à un suivi en CRCM.
- ▶ La HAS recommande de définir la prise en charge optimale des nouveau-nés atteints de formes frontières de la mucoviscidose.
- ▶ La HAS recommande d'évaluer l'impact, notamment psychologique, du dépistage néonatal pour les enfants diagnostiqués avec une forme modérée de la maladie. »

● **Les performances des tests de dépistage de la trisomie 21 fœtale par analyse de l'ADN libre circulant – volet 1. Mise en ligne le 18 novembre 2015.**

La trisomie 21 est une anomalie chromosomique dont la prévalence à la naissance augmente avec l'âge maternel. Son dépistage repose sur la mesure par échographie de la clarté nucale du fœtus combinée au dosage des marqueurs sériques du premier ou, à défaut, du deuxième trimestre de la grossesse.

Ce dépistage estime pour les femmes enceintes qui le souhaitent un niveau de risque qui, s'il est supérieur ou égal à 1/250, conduit à proposer un diagnostic de confirmation reposant sur l'analyse du caryotype fœtal, après amniocentèse ou choriocentèse, examens qui comportent un faible risque de perte fœtale.

De nouveaux tests ont été développés depuis 2008, qui sont fondés sur la recherche, par séquençage haut débit, d'une surreprésentation de séquences d'ADN fœtal provenant du chromosome 21 ou bien de l'ADN libre circulant dans le sang maternel.

Dans ce premier volet, la HAS a, dans un premier temps, analysé les données de la littérature portant sur les performances de ces nouveaux tests de dépistage de la trisomie 21. La littérature analysée montre que le taux de détection de trisomie 21 par analyse de l'ADN libre circulant est supérieur à 99 % et le taux de faux positifs inférieur à 1 % dans le groupe des femmes identifiées comme à risque. La HAS rappelle qu'en cas de résultat positif, le diagnostic de confirmation repose toujours sur l'établissement du caryotype fœtal après amniocentèse ou choriocentèse, et que ces tests ne se substituent pas aux techniques de surveillance de la grossesse, notamment échographiques.

Les performances des tests telles qu'objectivées par cette évaluation justifient de mettre à jour les modalités actuelles de dépistage de la trisomie 21, travail que mène, dès à présent, la HAS avec les experts et l'ensemble des professionnels de santé à partir des résultats des études françaises en cours. Dans ce second volet de l'évaluation, les enjeux éthiques, économiques et organisationnels seront notamment abordés afin de définir précisément la place de ces tests dans la stratégie de dépistage de la trisomie 21 en France.

#### ● **Rapport d'orientation : critères d'éligibilité des patients à un hébergement à proximité d'un établissement de santé. Mise en ligne le 21 décembre 2015.**

Ce rapport d'orientation, élaboré à la demande de la Direction générale de l'offre de soins, s'inscrit dans le cadre de la mise en œuvre d'une expérimentation, encadrée par un décret, selon laquelle les établissements de santé peuvent proposer à leurs patients une prestation d'hébergement temporaire non médicalisé en amont ou en aval de leur hospitalisation.

La saisine, précisée dans la feuille de route validée par le Collège de la HAS en avril 2015, a délimité le périmètre à la définition des conditions d'accès et des critères d'éligibilité des patients à ces prestations d'hébergement non médicalisé à proximité d'un établissement de santé.

En partant du cadre légal préalablement fixé et en croisant les critères d'éligibilité identifiés dans la littérature publiée en France et à l'étranger et dans l'étude du cas de l'institut Gustave-Roussy à Villejuif, la HAS a retenu un ensemble de critères. Ces derniers ont été soumis à un groupe de lecture composé de professionnels de santé et d'associations d'usagers dont le rôle a consisté à vérifier, discuter et compléter les critères proposés.

Les critères d'éligibilité proposés sont généraux et transversaux afin d'être pris en compte dans le décret précisant les modalités de mise en œuvre de l'expérimentation, qui n'est pas limitée à une pathologie ou un mode de prise en charge particulier. Les critères sont utilisables aux différents stades de l'hospitalisation et peuvent avoir des justifications différentes en fonction du patient. Ils doivent être pris en compte dans le cadre d'une décision médicale après discussion et consentement éclairé du patient. L'absence de réponse à un critère ne peut constituer à elle seule une entrave à l'admission d'un patient en hébergement non médicalisé.

Les critères d'éligibilité des patients à un hébergement à proximité d'un établissement de santé se réfèrent :

- ▶ à l'accord du patient ;
- ▶ aux conditions d'accès et de prise en charge : critère d'éloignement du lieu de résidence du patient de l'établissement de santé et critère relatif aux conditions d'hébergement précisant l'absence de besoin de surveillance continue par les professionnels de santé ;
- ▶ à l'organisation et au périmètre de la prise en charge (en amont de l'hospitalisation, en alternance avec une hospitalisation et après une hospitalisation) et à l'insertion dans le parcours de soins du patient ;
- ▶ aux caractéristiques des patients, en particulier, critères médicaux et relatifs à l'autonomie ;
- ▶ aux critères sociaux ;
- ▶ aux conditions relatives aux autres personnes hébergées ;
- ▶ à la question de la durée de la prestation d'hébergement.

Les modalités de mise en œuvre de l'expérimentation, qui seront précisées par décret, permettront de définir les conditions d'accès et les critères d'éligibilité des patients sur le fondement des propositions de la HAS, ainsi que la prestation d'hébergement, les structures éligibles à l'expérimentation, les structures assurant la mise en œuvre effective de la prestation d'hébergement et le financement.

Au terme de l'expérimentation, les modalités de mise en œuvre et notamment les critères d'éligibilité pourront être révisés en fonction de leur adaptation aux pratiques réelles.

#### ▶ **Autres travaux**

##### ● **Article 36 expérimentations de télémédecine**

La HAS est impliquée, au travers du service évaluation de la pertinence des soins et amélioration des pratiques et des parcours (SE3P) et du service évaluation économique et santé publique (SEESP), dans l'évaluation des expérimentations de télémédecine.

Cette forme de pratique médicale à distance est fondée sur l'utilisation des technologies de l'information et de la communication. Elle fait l'objet, depuis 2011, d'une stratégie nationale de déploiement. La télémédecine permet d'établir un diagnostic, d'assurer un suivi, de requérir un avis spécialisé ou d'effectuer une surveillance. Pour les patients, elle améliore l'accessibilité à l'offre de soins et la qualité de vie en permettant une prise en charge et un suivi sur leur lieu de vie.

Les attentes autour de la télémédecine sont très importantes et son développement confronte les pouvoirs publics, les patients et les professionnels à de nouvelles problématiques, en particulier celles de la sécurité de ces nouveaux modes de prise en charge et de l'évaluation médico-économique des projets.

Dans ce contexte, la HAS est chargée d'évaluer les expérimentations de télémédecine prévues à l'article 36 de la loi de financement de la sécurité sociale pour 2014 en vue de leur généralisation. Ces expérimentations portant sur le déploiement de la télémédecine dans des régions pilotes concernent la réalisation d'actes de télémédecine pour des patients pris en charge en médecine de ville d'une part, et en établissements sociaux et médico-sociaux d'autre part.

- ▾ Pour en savoir plus, consulter le [rapport sur l'efficience de la télémédecine : état des lieux de la littérature internationale et cadre d'évaluation](#).

## 2. 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 de l'Assurance maladie disponibles à partir du portail SNIIRAM (Système national d'informations inter-régimes de l'assurance maladie) comportant des données agrégées (Datamarts et tableaux de bord) et des données individuelles (échantillon : EGB et données exhaustives : DCIR),
  - 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 et de l'INCa).

Les bases de données sont utilisées dans le cadre des évaluations médico-économiques et des recommandations de santé publique afin de fournir des éléments de contexte sur le sujet traité, d'observer et d'analyser les 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 2015, à partir des données exhaustives du PMSI-HAD, dans le cadre de l'évaluation économique et organisationnelle sur les conditions de développement de la chimiothérapie intraveineuse en hospitalisation à domicile. Cette analyse consistait à affiner les connaissances sur l'activité de chimiothérapie en HAD d'une part, sur les caractéristiques des patients et sur les différentes prises en charge (prise en charge principale, associée, traitement par molécules inscrites sur la liste en sus) d'autre part.

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. En 2015, une analyse des données du PMSI-Psy a été réalisée pour connaître la prise en charge des patients adultes atteints de troubles envahissants du développement (recommandation en cours).

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 dossiers soumis à la CEESP, à la CT et à la CNEDiMTS.

## Perspectives

Afin de tenir compte des évolutions scientifiques et de l'expérience acquise avec les premiers avis d'efficience, un travail conjoint entre le service évaluation économique et santé publique et la sous-commission économie de la CEESP d'actualisation du guide méthodologique pour l'évaluation économique a débuté en 2015. L'ensemble des documents produits à cette occasion sera présenté pour validation à la CEESP.

Cette actualisation intègre notamment 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 important pour l'Assurance maladie (par exemple, la mise sur le marché des nouveaux traitements de l'hépatite C). Après examen par la CEESP et le Collège de la HAS, ce guide sera mis en consultation publique sur le site Internet, permettant à toutes les parties prenantes d'exprimer leurs commentaires. Une version finale sera ensuite publiée.

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.

Les récents rapports sur la mission d'évaluation économique de la HAS (Igas<sup>3</sup> et mission Polton<sup>4</sup>) recommandent d'ailleurs cette publication immédiate, à l'instar de ce qui est fait pour les avis de la CT et de la CNEDiMTS.

Pour ce qui concerne les activités issues du programme de travail, la CEESP poursuivra son implication dans les évaluations des actions et programmes de santé publique dans toutes leurs dimensions : médicales, économiques, éthiques et sociales. La multidisciplinarité de sa composition lui donne les compétences et la légitimité 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.

3. Marine Jeantet, Alain Lopez. Évaluation médico-économique en santé. Décembre 2014.

4. Dominique Polton. Rapport sur la réforme des modalités d'évaluation des médicaments. Novembre 2015.

L'année 2016 sera marquée pour la CEESP par la mise en œuvre des dispositions concernant l'évaluation d'efficacité et l'analyse d'impact budgétaire contenues dans le nouvel accord-cadre liant le CEPS et les industriels du médicament. À ce titre, la CEESP souhaite contribuer aux réflexions en matière d'arbitrage dans les dépenses publiques de santé.

La loi de modernisation du système de santé prévoit également un renforcement de la nécessité d'évaluer l'efficacité des actions de santé, afin de contribuer à l'optimisation des dépenses publiques.

## Liste des tableaux

<i>Tableau 1. Répartition des demandes déposées en 2015.....</i>	<i>p. 133</i>
<i>Tableau 2. Dossiers éligibles en 2015 .....</i>	<i>p. 133</i>
<i>Tableau 3. Avis rendus en 2015.....</i>	<i>p. 134</i>
<i>Tableau 4. Répartition des avis rendus en 2015 selon le contexte de la demande.....</i>	<i>p. 135</i>
<i>Tableau 5. Répartition des avis rendus en 2015 selon le type de demande.....</i>	<i>p. 135</i>
<i>Tableau 6. Réserves et RDCR des 11 avis publiés en 2015 .....</i>	<i>p. 137</i>



5, 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

[www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr)