



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

Concertation des parties prenantes

*Renforcer l'information dévolue aux associations
en vue d'améliorer la contribution des associations
d'usagers aux évaluations des produits de santé*

Compte rendu des auditions du 17 novembre 2023

Présents :

– *Président de la Haute Autorité de santé* : Lionel Collet

– *Président de séance* : Christian Saout

– *Au titre des associations et collectifs d'usagers du système de santé* :

Inès Alaoui (AIDES), Claude Coutier (Collectif Les Triplettes Roses), Virginie Da Silva (Collectif Les Triplettes Roses), Bernard Delcour (AF3M), Jean-François Faloviez (ELLyE), Clotilde Genon (RENALOO), Christophe Gerbeau (ADMR), Bruno Lamothe (RENALOO), Yann Mazens (FAS), Hervé Nabarette (FAS)

– *Au titre des industriels* :

Marianne Bardant (LEEM), Éric Baseilhac (LEEM), Frédérique Debroucker (SNITEM), Alexandra Duvauchelle (FEDEPSAD), Frédéric Girard (France BIOTECH), Anouk Trancart (SNITEM)

– *Au titre du ministère* :

Chantal Guilhaume (DGS)

– *Au titre de la Haute Autorité de santé* :

Joëlle André-Vert (Cheffe du service SEU), Maxence Lyonnet (Chef du service Juridique), Floriane Pelon (Directrice de l'Évaluation et de l'Accès à l'Innovation)

– *Au titre de la Haute Autorité de santé (observateurs)* :

Alexandre Biosse Duplan (Service Engagement des usagers), Mathilde Bruneau (Service Engagement des usagers), Margareth Galbraith (Direction de l'évaluation et de l'accès à l'innovation), Marc Guerrier (Service Engagement des Usagers), Morgane Le Bail (Service Evaluation des dispositifs), Stéphanie Lecomte (Service Presse), Bertrand Mussetta (Service Evaluation des médicaments), Aurélie Pacull (Service Evaluation des dispositifs), Hélène Robert-Rouillac (Mission Numérique en santé)

Ordre du jour :

Message d'accueil par Lionel Collet, Président de la HAS.....	4
Ouverture de la séance par Christian Saout, Président de séance	5
Audition des associations d'usagers.....	5
Audition des industriels.....	7
Audition du ministère	10
Audition de la HAS	11
Échanges : élaboration du consensus	12
Approbation du relevé de conclusion.....	16

Message d'accueil par Lionel Collet, Président de la HAS

Le Président de la HAS remercie Christian Saout de présider cette séance, en sa qualité de membre du collège, ainsi que Joëlle André-Vert et tous les membres de la HAS qui permettent à cette réunion de se tenir.

Le sujet de l'information des associations est extrêmement complexe. D'un côté, associations et collectifs expriment la demande légitime d'accéder à certaines données pour formuler un avis étayé et contribuer utilement à la réflexion de la HAS dans son évaluation d'un produit de santé. De l'autre, les industriels demeurent attentifs à la protection de leurs données dans le cadre du secret des affaires.

Si un texte juridique offre la possibilité à la HAS de mettre à disposition des données provenant des industriels, ces derniers jouent un rôle essentiel dans la définition des éléments pouvant être partagés. La réflexion doit s'inscrire dans le cadre européen. Les travaux de la HAS pourraient d'ailleurs orienter les textes communautaires.

La question qui se pose est la suivante : en quoi l'accès des associations aux dossiers des industriels bénéficie-t-il à l'évaluation, et donc, à la qualité de l'évaluation des produits examinés ?

La HAS et son collège se sont réunis à trois reprises pour évoquer ce sujet.

Le Collège a formellement demandé que trois conditions soient respectées :

- que la HAS n'encourt aucun risque juridique au motif qu'elle aurait communiqué aux associations des données qu'elle n'aurait pas dû partager ;
- que le processus défini n'allonge pas les délais d'évaluation par la HAS ;
- que le dispositif ne génère pas de charge de travail supplémentaire pour les équipes.

Le corollaire de ces principes étant que l'accès aux données des industriels apporte une valeur ajoutée aux contributions des associations.

Le Président de la HAS rappelle par ailleurs les trois grandes valeurs de la HAS : rigueur scientifique, indépendance et transparence. La finalité recherchée est de rendre les informations transparentes, dans le respect des trois critères précités.

La HAS entretient des relations historiques avec les associations de patients depuis sa création en 2004. L'expertise de ces dernières est indispensable pour la HAS. Le sujet débattu aujourd'hui est majeur et il est légitime d'y consacrer une journée. Ces travaux constituent une page de l'histoire entre les associations, les industriels et la HAS.

Cette journée de travail aboutira, non pas à une décision conclusive, mais à un relevé de conclusion qui sera soumis à consultation publique. Le Collège de la HAS se réunira ensuite et se positionnera sur les suites envisagées.

Le Président de la HAS salue la représentante du ministère qui encadre ces réflexions ainsi que toutes les équipes internes engagées dans ces travaux.

Il remercie l'ensemble des participants et quitte la séance.

Ouverture de la séance par Christian Saout, Président de séance

Le Président souligne l'enjeu national et européen que constitue la participation des représentants des usagers à l'évaluation. Cette dernière est prévue par le règlement européen sur l'évaluation des technologies de santé. Ce règlement s'applique de lui-même, sans qu'un texte de transcription ne soit nécessaire ou qu'un texte d'application français ne puisse le contredire.

La réflexion s'inscrit également dans une approche historique de la HAS d'associer autant que possible les usagers à la pertinence des évaluations. L'un des axes de la stratégie 2019-2024 vise à renforcer l'intégration des usagers dans l'ensemble des travaux de la HAS. Une feuille de route en sept actions et un comité de suivi ont ainsi été définis sur le volet de l'évaluation des produits de santé. La question de l'accès aux dossiers des industriels a émergé dans ce comité de suivi et a donné lieu à des réunions exploratoires du Collège.

Le Président appelle de ses vœux un consensus permettant effectivement aux représentants des usagers d'accéder aux informations des industriels pour améliorer la qualité de leurs contributions. Il insiste sur les trois principes évoqués par le Président de la HAS : absence de délais supplémentaires, absence de risque juridique et absence de charge de travail additionnelle pour les équipes de la HAS.

Le Président indique qu'une grille de cinq questions a été adressée aux parties prenantes :

- Quelle est l'utilité de la mise à disposition du dossier de l'industriel pour la pertinence de la contribution des associations d'usagers ?
- A qui incombe-t-il (et pourquoi) de transmettre une copie du dossier déposé ?
- Le dossier communiqué à l'association doit-il masquer (et comment) les secrets industriels et les droits intellectuels ?
- Le cas échéant, qui de l'industriel ou de la HAS sélectionne les parties à communiquer ?
- Les associations d'usagers qui sont par ailleurs productrices de biens de santé ou de brevets concurrents ou ayant des liens, notamment financiers, avec les industriels de santé concurrents peuvent-elles être admises à accéder au dossier ?

Audition des associations d'usagers

Les associations et collectifs d'usagers remercient la HAS d'organiser cette réunion très attendue. Le temps donné a permis de préparer une réflexion et une position commune aux associations membres de France Assos Santé et extérieures.

L'accès des associations aux données des industriels présente plusieurs intérêts. Il leur permet tout d'abord de réagir au contenu et, le cas échéant, de le compléter. Cet accès répond également à un impératif éthique et favorise l'apprentissage des associations et de la HAS.

En accédant aux données (notamment les données d'efficacité, de tolérance et d'effets secondaires), l'association est en mesure de connaître les éléments mis en avant dans le dossier.

L'absence d'informations issues du dossier empêche parfois les associations d'apporter une contribution. En effet, si l'association ignore les données recueillies lors des années écoulées, elle n'est pas en mesure d'étudier la demande d'accès précoce ou la réévaluation de cet

accès. En l'état, il n'existe aucune justification à l'exclusion des associations d'utilisateurs des informations scientifiques.

Par ailleurs, l'accès au dossier permet de travailler en complémentarité. Si la description de la maladie est correctement réalisée, les associations y consacreront moins de temps et la compléteront par des informations sur la vie avec la maladie et l'impact sur les proches. De même, en complément des études sur une technologie particulière dont elles auront connaissance, les associations mettront l'accent sur l'utilisation concrète du dispositif (mode d'administration, professionnels intervenant, etc.).

Le travail de contribution est chronophage et ne constitue pas l'unique mission des associations. L'accès aux dossiers industriels serait facilitant pour ces structures.

En outre, à la lecture d'un dossier, les associations seraient en mesure de réagir en sortant de leur position de contributeur « à l'aveugle ». Elles peuvent, par exemple, s'exprimer sur la répliquabilité des études et modèles en vie réelle. L'accès au protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données permet de disposer d'un résumé des données dans le cadre d'un accès précoce.

Les homologues de la HAS ont développé des processus répondant à cette logique d'accès, en mettant en ligne des informations de cadrage en début d'évaluation, par exemple.

L'accès se justifie également d'un point de vue éthique. La société savante internationale HTAi définit un critère de justice et énonce : « *Les patients ont les mêmes droits à contribuer à l'évaluation que les autres parties prenantes et ils ont accès à des processus qui permettent une réelle implication* ».

Enfin, cet accès serait porteur d'apprentissages pour les associations et pour la HAS. La lecture des *verbatim* prendrait une autre dimension. Les associations percevraient le lien possible entre leur contribution et l'évaluation par les commissions.

Le changement le plus exigeant pour la HAS consistera à accroître les échanges entre associations et évaluateurs. Dans l'idéal, les seconds se tournent vers les premières pour des informations et avis utiles appuyés sur les dossiers dont les associations auraient connaissance.

Selon les associations et collectifs d'utilisateurs, il revient à la HAS de transmettre une copie du dossier déposé, et ce, pour plusieurs raisons :

- Certaines associations pourraient ne pas souhaiter entrer en relation avec l'industriel.
- L'encadrement de la HAS éloigne le risque de qualifier la transmission du dossier en « information promotionnelle ».
- Les associations connaissent désormais le Service Engagement des Usagers : complexifier les interlocuteurs et les flux d'information ne serait pas souhaitable.
- La HAS est garante du système et doit en conserver une vision globale.
- L'occurrence effective de la mise à disposition doit être enregistrée par la HAS. Dès lors que l'appel à contributions est ouvert, l'association peut demander l'accès au dossier et signe un accord de confidentialité. La HAS enregistre que le dossier a été demandé et transmis.
- La HAS pourra organiser des retours d'expérience utiles.

D'un point de vue opérationnel, l'intervention de la HAS se limite à l'envoi du dossier sur demande, en échange d'un accord de confidentialité (aucun résumé à rédiger, pas de traduction à réaliser, etc.).

Selon les associations et collectifs d'utilisateurs, il appartient également à la HAS de définir un cadre commun et une définition partagée du secret industriel et du droit intellectuel. Il reviendrait à l'industriel de procéder au masquage, dans le cadre défini par la HAS. Un retour d'expérience pourra s'organiser après une période d'observation. La pratique concrète du masquage pourra alors être ajustée et améliorée sur la base de ces observations.

Le Président comprend que les industriels masqueraient les données du dossier déposé, dans le respect de règles relevant de grands principes édictés par la HAS.

Une représentante des associations et collectifs d'utilisateurs le confirme. Des dérogations seraient prévues pour certains cas d'exception.

Le dossier déposé est utilisé par la Commission de la transparence, la Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé et la Commission d'évaluation économique et de santé publique. Il semble utile que les associations disposent d'un niveau d'information équivalent. Néanmoins, certaines annexes techniques pourraient ne pas leur être ouvertes.

Enfin, en réponse à la cinquième question, il convient de distinguer :

- d'une part, les associations ayant des relations avec des structures de recherche et de développement ou de production (gouvernance, financements) et les associations détenant des brevets ;
- d'autre part, les associations pouvant avoir des liens avec des laboratoires pharmaceutiques dont elles perçoivent des financements.

Dans ce second cas, il apparaît peu opportun de définir un seuil au-delà duquel il serait impossible de communiquer le dossier à une association. La meilleure solution réside dans la signature d'un accord de confidentialité au plus haut niveau des associations sollicitant un accès au dossier.

Au-delà des associations, les questions de liens et de conflits concernent des experts médicaux à qui la HAS adresse les dossiers. Un retour d'expérience de la HAS en la matière serait intéressant.

Des cas particuliers peuvent se présenter. Par exemple, un laboratoire pourrait faire valoir une situation spécifique légitimant, selon lui, de refuser l'accès à une association. La situation devrait alors être examinée par le Collège de la HAS.

Le Président remercie les représentants des associations et collectifs d'utilisateurs pour cette position argumentée.

Audition des industriels

Une représentante des prestataires de services et distributeurs de matériel juge utile et pertinent de donner aux associations d'utilisateurs l'accès aux informations. Cet accès constitue un progrès. Les usagers éclaireront l'évaluation de la prestation associée à la distribution du dispositif médical en apportant leur expérience sur la qualité de vie et la réalité de l'accompagnement associé au traitement et au dispositif médical.

Dans un souci de neutralité et de facilité organisationnelle, il reviendrait à la HAS d'organiser cette mise à disposition.

La pertinence d'impliquer les patients n'est pas remise en cause, ces derniers disposant d'une perception particulière (expérience de la maladie, rôle des aidants, etc.). Leur contribution doit pouvoir apporter une plus-value à l'évaluation de la HAS.

La simplicité administrative de cet accès constitue un élément majeur, les procédures retenues ne devant pas accroître la charge des associations d'usagers ou des industriels.

Un représentant des industriels confirme que l'accès doit être donné aux associations, qui disposent d'une perception particulière du fardeau de la maladie, de la pertinence clinique de certains critères d'évaluation ou encore de l'impact sur le parcours de santé et de vie.

Cet accès doit être ouvert aux associations disposant d'une légitimité dans le périmètre thérapeutique concernée : l'information ne saurait être largement diffusée.

Un cadre devra définir en amont les informations utiles à l'évaluation – le reste n'aura pas lieu d'être transmis. Le caviardage ou la rédaction d'une note synthétique devra être à la main de l'industriel.

Un engagement à la confidentialité apparaît également impératif. La HAS joue un rôle central dans l'implication des experts et dans la distribution des documents.

Les associations d'usagers qui développent ou participent au développement de produits concurrents devront être exclues. Dans une logique de transparence, tous les liens d'intérêts devront être déclarés. Une possibilité de refus par l'industriel pourrait être envisagée.

Le Président demande si l'engagement de confidentialité emporterait des conséquences juridiques pour l'association qui enfreint cette obligation.

Un représentant des industriels observe que l'accord de confidentialité serait signé par la HAS et l'association : si celle-ci viole l'accord, elle engage sa responsabilité.

L'optimisation de la contribution des patients à l'évaluation des médicaments constitue une volonté partagée des associations et des industriels. Dès 2020, le comité d'interface réunissant le LEEM et la HAS travaillait à la rédaction d'une fiche de synthèse sur la manière dont les industriels pourraient apporter une information utile aux associations de patients. Cette proposition ne s'est pas concrétisée.

Il revient aux patients de dire pourquoi l'accès aux dossiers industriels leur serait utile. En l'état, leur contribution est utilement orientée vers l'expression du besoin. Pour les représentants des industriels, toute information permettant de prolonger le raisonnement des associations sur la réponse aux besoins est opportune.

Plusieurs points de vigilance doivent néanmoins être mis en avant. Même si cela n'est pas la volonté d'une large majorité d'associations, il convient de s'assurer que les informations transmises n'aboutissent pas à une « évaluation bis » du médicament ou une évaluation antérieure à celle de la HAS, sous peine de remettre en cause l'indépendance de la Haute Autorité de santé et le caractère républicain de cet avis auquel chacun doit se conformer.

En outre, l'évaluation des médicaments requiert une compétence particulière, qui s'organise à des fins précises au sein de la HAS. Si l'avis des usagers est pertinent pour recueillir le besoin, l'expression de la qualité relève d'experts.

Le Président demande si la crainte des industriels est que le dossier soit partagé avec des bureaux d'études.

Un représentant des industriels confirme ce risque.

Le Président observe que l'obligation de confidentialité atténue ce risque.

Une représentante des industriels le confirme. L'accès à l'information doit respecter un principe d'égalité et d'équité. Les associations d'usagers présentent toutefois des profils, des enjeux et des modalités de financements différents. Cette hétérogénéité doit être prise en compte.

Les associations d'usagers interviennent en tant que parties prenantes, et non en tant qu'experts. Dès lors, elles ne sont pas soumises aux obligations de la charte de l'expertise. Le secret des affaires doit alors pouvoir être respecté au travers d'un engagement de confidentialité. En cas de manquement à cet engagement, l'association engage sa responsabilité.

Des données personnelles de santé pourraient être partagées, générant un enjeu de sécurisation accru.

Un socle réglementaire précis gagnerait à être défini pour fixer le niveau d'information dû par tous les industriels à toutes les associations. Ce cadre évitera que les parties prenantes considèrent que le dossier est trop ou insuffisamment caviardé. L'industriel conservera la possibilité d'ajouter des éléments qu'il juge pertinents.

Dans un souci de transparence, les associations devront publier leurs liens d'intérêts.

D'un point de vue réglementaire et afin de prévenir les conflits d'intérêts, il serait inapproprié que les industriels transmettent directement les dossiers. Ce rôle reviendrait donc à la HAS. Pour ne pas alourdir la charge de travail des équipes interne, la démarche devra s'effectuer dans un cadre prédéfini. Le rôle de la HAS est aussi de vérifier que le processus de transmission a bien été respecté.

Le « dossier bis » devra respecter la forme du dossier industriel pour ne pas alourdir la tâche des industriels.

Les représentants des industriels se déclarent favorables à la participation des associations d'usagers à l'évaluation des médicaments, mais aussi des dispositifs médicaux. En l'état, les contributions de ces dernières restent trop peu nombreuses. Leur apport est pourtant majeur pour éclairer les membres de la commission, mieux documenter la description de la maladie ou encore les alternatives thérapeutiques.

Les dispositifs médicaux sont spécifiques en ce qu'ils reposent sur des évolutions incrémentales survenant tous les 6 à 24 mois environ. Or, ces innovations au cycle de vie très court sont faiblement protégées par les brevets. Ces données stratégiques pour les entreprises doivent conserver un certain niveau de confidentialité. Le contenu et le format des données partagées doivent ainsi tenir compte de l'attendu (sur quels volets la HAS souhaite-t-elle être éclairée ?) et du risque industriel.

Dans ce contexte, un dossier adapté spécifique suivant la trame du dossier actuel serait opportun.

Sous réserve de définir un dispositif sécurisé de mise à disposition, les représentants des industriels sont favorables à ce que les associations reçoivent davantage d'informations que celles incluses dans les appels à contribution. Ainsi, pourraient utilement être partagés avec les représentants des usagers : le mode d'action, la description du produit, la place dans la stratégie, la population cible, les indications revendiquées, le comparateur et l'impact de santé publique.

Une représentante des industriels précise que cette position est issue de la consultation des adhérents du SNITEM, qui ont rendu un avis unanime sur cette question.

La HAS doit être garante de la transmission et tenir compte des liens d'intérêts possibles entre les associations et les industriels.

La procédure pourrait être initiée par une demande de l'association à la suite de la publication de la liste des dossiers en cours d'instruction sur le site de la HAS. La transmission n'interviendrait qu'après déclaration des liens d'intérêts de l'association et de l'individu mandaté au sein de l'association d'usagers. Les représentants des industriels insistent pour que l'identité des personnes ayant accès au dossier soit précisée. Le dossier « usagers » déposé par l'industriel sera transmis par la HAS, garant de l'absence de conflit d'intérêts et de la signature d'un accord de confidentialité.

En l'état, le scope européen d'évaluation des dispositifs médicaux reste trop restreint. La voix des patients est utile pour l'ensemble des dispositifs médicaux déposés (y compris les dispositifs numériques et les activités de télésurveillance médicale).

Le Président demande si les industriels plaident pour que les associations d'usagers puissent contribuer aux évaluations des dispositifs médicaux non ouverts actuellement à la contribution des associations d'usagers et le soient à l'avenir.

Une représentante des industriels juge pertinent que les associations d'usagers apportent leur contribution à l'évaluation des demandes de nouvelle activité de télésurveillance médicale. Plus largement, la voix des patients est majeure sur l'ensemble des dispositifs médicaux.

Une question annexe méritera d'être traitée : l'accès du prestataire de services et distributeurs de matériel au dossier, dans un contexte de séparation du dispositif médical et de la prestation prévue par la LFSS pour 2023.

Le Président remercie les représentants des industriels pour leur expression.

Audition du ministère

Le Président indique que la Direction de la Sécurité sociale ne peut participer à cette séance, du fait de l'examen en cours au Sénat du projet de loi de financement de la Sécurité Sociale, mais produira néanmoins des observations lors de la phase de consultation publique.

Une représentante de la DGS observe qu'il ne lui revient pas de se prononcer sur les cinq questions posées. En revanche, la Direction générale de la Santé écoute, prend connaissance des besoins des patients et participera à lever les éventuels obstacles.

La contribution des patients est attentivement étudiée par le ministère à l'issue de l'évaluation. Si l'accès au dossier des industriels est de nature à enrichir ces contributions, la DGS est favorable à cette mesure. Au regard des expressions manifestées, il semble nécessaire pour les associations de patients d'accéder à ces informations, que les industriels semblent enclins à partager.

Audition de la HAS

Les trois commissions réglementées de la HAS réservent des sièges à des experts issus des associations de patients et d'usagers. Ainsi, ces membres usagers ont accès à la totalité des dossiers et participent aux discussions sur l'évaluation à l'occasion desquelles sont présentées les contributions des associations de patients issues du mécanisme prévu par le décret relatif aux commissions spécialisées. Les membres usagers des commissions disposent d'un même droit de vote que les autres membres.

Pour rappel, en tant que partie prenante, les associations ont la possibilité de répondre à un questionnaire sur les médicaments et les dispositifs médicaux soumis à l'évaluation.

Sur le périmètre de la Direction de l'évaluation et de l'accès à l'innovation, la HAS a reçu 178 participations d'usagers en 2022. Environ 85 % de ces interventions l'ont été en tant que partie prenante – et non en tant qu'expert. Ces contributions ont majoritairement porté sur les médicaments.

Les contributions des associations de patients s'inscrivent dans le cadre d'un article du code de la sécurité sociale, modifié par un décret en conseil d'État de juin 2018 disposant que « *la Haute Autorité de santé peut inviter les associations de patients et d'usagers du système de santé à apporter leurs contributions à l'évaluation des médicaments et des produits [...]. A cette fin, elle informe les associations, notamment via son site internet, de l'objet et du périmètre des évaluations pour lesquelles une contribution peut être transmise* ». Pour mémoire, précédemment à ce décret, dans la phase expérimentale préparatoire à cette modification réglementaire, la HAS avait mis en place un dispositif de contribution des associations de patients qui nécessitait l'accord préalable de l'industriel.

En parallèle, un cadre réglementaire *ad hoc* a été défini pour les accès précoces, prévoyant que la HAS rende publique sur son site internet l'information du dépôt de la demande. Les associations de patients peuvent avoir accès au projet de protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données proposé par l'industriel et émettre des observations. Sur demande, la HAS peut inviter l'association à être entendue.

La Commission de la transparence, la Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé et la Commission d'évaluation économique et de santé publique intègrent les contributions des associations. Un document interne à la HAS précise que les procédures concernées se limitent aux évaluations étudiées par la HAS en instruction complète.

Le décret de droit commun et le décret relatif à l'accès précoce ne limitent pas l'accès aux associations agréées : toutes les associations de patients et d'usagers du système de santé sont concernées.

La HAS a publié en 2022 un support de formation destiné aux associations de patients et d'usagers. Le document comprend des recommandations sur les attendus (le partage et la transmission des expériences des personnes qui vivent avec la pathologie et des aidants, l'expression des besoins et des attentes d'un nouveau produit de santé) ainsi que des conseils sur ce que les associations n'ont pas à faire, puisque réalisé au sein de la HAS (revue de littérature scientifique, reprise d'informations ou de données extérieures disponibles par ailleurs).

L'usage des données industrielles par les associations d'usagers est peu évoqué dans la littérature. Le NICE (*National Institute for Health and Clinical Excellence*, organisation responsable d'établir les standards cliniques du système de santé britannique) a néanmoins

étudié en 2023 l'impact des contributions sur ses évaluations. Dans deux tiers des cas (sur 26 dossiers étudiés), la contribution des associations d'usagers aide à l'interprétation des données scientifiques et assure les membres des commissions dans leur appréciation du dossier.

La HAS développe un projet d'étude en vue d'analyser en 2024 les impacts des contributions sur les évaluations réalisées.

Au cours de l'été, un questionnaire a été adressé à 150 associations afin de comprendre leurs besoins spécifiques et étudier le bénéfice d'un accès aux données des industriels. Il apparaît que les besoins exprimés pour améliorer les contributions sont variés : disposer du dossier pour analyser les données scientifiques, se positionner sur la pertinence des objectifs, bénéficier des données d'efficacité et de tolérance à jour pour compléter l'appréciation et les attentes des patients. Plusieurs associations appellent à un langage compréhensible.

Au-delà de la transmission du dossier, le processus suppose d'identifier les éléments à transmettre, de valider le contenu, de faire signer les accords de confidentialité, d'assurer une traçabilité et, éventuellement, de traduire, résumer, adapter le langage du dossier. Il convient de discuter de la procédure applicable à chaque étape, de la responsabilité des différentes parties, des compétences mobilisées et du temps requis.

En l'état actuel de la réglementation, la HAS n'est pas en mesure de transmettre le dossier de l'industriel aux associations de patients et d'usagers.

Les critères retenus pour identifier les associations exclues de la consultation au motif d'un conflit d'intérêts potentiel devront également être précisés. L'inégalité de traitement des associations de patients dans leur contribution pourrait constituer un motif de recours. Aussi, la HAS préconise de s'adosser aux listes d'associations loi 1901 ou agréées par le ministère chargé de la Santé.

Un représentant de la HAS rappelle les propos introductifs du Président de la Haute Autorité de santé quant à l'absence de risque juridique et la nécessité qu'il n'y ait pas de charge de travail additionnelle pour la HAS. Ces exigences supposent de définir un modèle de « dossier bis » dont la transmission pourrait être assurée par l'industriel vers les associations. La HAS indiquerait sur son site internet – comme elle le fait déjà – les évaluations ouvertes à contributions, leur objet et leur périmètre.

Les dispositifs médicaux et les produits de santé au sens large sont concernés. Cependant, la réglementation actuelle relative aux contributions des associations d'usagers n'inclut pas la liste des activités de télésurveillance médicale ni les prises en charge transitoires ou anticipées de dispositifs médicaux (dispositifs PEC-T et PECAN).

Échanges : élaboration du consensus

Le Président constate un consensus sur la question de l'utilité de mettre un dossier de l'industriel à disposition des associations d'usagers.

Le caviardage des éléments relèverait des industriels.

L'enjeu est de définir si l'information est transmise directement par l'industriel, sur demande de l'association, ou par la HAS. Le Président souhaite qu'un consensus soit trouvé sur cet aspect.

Un représentant des industriels estime qu'un document *ad hoc* pourrait être rédigé.

Trois rubriques intéressent les associations : la connaissance du produit (indication, comparateur, impact de santé publique, etc.), la pertinence des bases sur lesquelles repose l'évaluation et la réponse au besoin.

Un représentant des associations et collectifs d'utilisateurs relève une divergence dans le contenu mis à disposition. Au-delà des éléments mentionnés, les associations doivent avoir une vision sur la description de la maladie lorsque celle-ci est rare ou méconnue, par exemple. Les résultats de l'ensemble des essais cliniques seraient également utiles.

Les associations et collectifs d'utilisateurs suggèrent de conserver la trame d'un dossier de transparence classique, éventuellement allégé des annexes techniques.

Le Président sollicite des précisions sur le rôle de « garant » attendu de la HAS : s'agit-il de transmettre à l'association le dossier déposé par l'industriel ou de vérifier l'adéquation des éléments transmis avec le cahier des charges du décret ?

Un représentant des associations et collectifs d'utilisateurs refuse qu'un document de synthèse soit mis à disposition. L'accès au dossier de transparence caviardé par l'industriel lui-même de certains éléments limiterait la charge de travail de tous et lèverait les doutes quant au contenu produit.

Le rôle de la HAS sera uniquement de transmettre le dossier aux associations qui en font la demande.

Une représentante des industriels confirme ce dernier propos. Un risque juridique existe dès lors que des informations sont partagées. Les industriels acceptent toutefois ce risque compte tenu des bénéfices d'une telle diffusion. Un équilibre doit être trouvé entre le risque et le bénéfice. Le contenu à partager doit être encadré et la procédure doit être claire.

En fonction des éléments nécessaires aux associations pour éclairer leur contribution, il sera possible de définir s'il est plus pertinent de mettre à disposition le dossier industriel caviardé ou un document *ad hoc*.

Une représentante de la HAS rappelle que l'objectif n'est pas de dupliquer l'évaluation scientifique ou technique.

Le Président relève, d'un côté, une volonté de disposer de l'ensemble du dossier caviardé des secrets industriels, et de l'autre, une volonté de rédiger un dossier *ad hoc* sur la base d'un cadre définissant les éléments à transmettre.

Une représentante des associations et collectifs d'utilisateurs souligne qu'il reviendrait aux industriels de masquer dans le dossier ce qu'ils ne souhaitent pas communiquer aux associations.

Une représentante des industriels précise qu'elle ne revient pas sur le principe, mais interroge la pratique. Les informations protégées par le secret industriel et commercial restent mal définies. Une définition générale englobe « *toute information qui n'est pas du domaine public ou accessible au public et dont la divulgation peut porter atteinte aux intérêts économiques ou à la position concurrentielle du propriétaire de l'information* ». Si l'interprétation relève des industriels, certains adopteront une approche très stricte de cette définition tandis que d'autres conserveront une approche plus ouverte. Cette hétérogénéité empêche toute égalité de traitement. Les associations pourraient considérer que des éléments utiles ont été caviardés par l'industriel. Aussi, il semble préférable de définir un cadre indiscutable, partagé par tous, basé sur un consensus quant aux informations utiles aux associations.

Pour les dispositifs médicaux, une entreprise propose au remboursement une indication particulière pour laquelle elle dispose d'une évaluation clinique. Cette indication est plus restreinte que le marquage CE. Cette simple information, aussi confidentielle soit-elle pour les industriels, est majeure pour les associations d'usagers. Il ne doit pas être envisagé qu'une entreprise considère que cette donnée soit caviardée au motif qu'elle relève du secret industriel. Les entreprises peuvent accepter de communiquer l'indication, sous réserve qu'un cadre de confidentialité soit défini et respecté.

Un représentant de la HAS objecte que le masquage opéré par la HAS sur les avis et sténotypies s'effectue en lien avec l'industriel. Ces travaux requièrent un temps d'échange incompressible. Un cadre réglementaire sécuriserait la HAS et éviterait les discussions au cas par cas sur les données à masquer au regard de l'approche de la confidentialité de chaque industriel.

Le Président note un consensus sur le fait que le caviardage relève de l'industriel, et non de la HAS. Dès lors que la définition d'une information soumise au secret des affaires est vaste, le risque d'une hétérogénéité des approches est important.

Un représentant des associations et collectifs d'usagers estime que l'industriel devra expliquer les raisons pour lesquelles certaines données sont masquées.

La HAS adopte une attitude conservatrice en proposant de partir du besoin des associations. Or, celles-ci ignorent le contenu des dossiers transmis à la HAS. Un dossier *ad hoc* contenant uniquement les prérequis définis à un instant T par les associations suppose que ces dernières connaissent la base sur laquelle la HAS rend un avis.

De même, les associations ne peuvent pas présager des informations dont la HAS dispose par ailleurs afin de limiter leur contribution à des éléments nouveaux.

Un cadre pourrait être fixé par la HAS pour définir les informations relevant du secret industriel et celles qui en sont exclues. Les représentants des associations ont proposé de mener une expérimentation pour apprécier la pertinence du caviardage réalisé et procéder aux ajustements nécessaires.

L'égalité de traitement entre associations ne constitue pas l'alpha et l'oméga de la démarche. La mise à disposition d'un volume plus important d'informations est un progrès, même si une hétérogénéité apparaît selon les dossiers.

Les représentants des associations demandent à nouveau que soit mis à leur disposition un dossier allégé de ses annexes, librement caviardé par l'industriel au regard de grands principes prédéfinis en amont par la HAS. Un retour d'expérience serait réalisé au bout de douze mois en vue d'améliorer le dispositif.

Un représentant des associations et collectifs d'usagers demande si un tel système, dans le cadre d'une expérimentation, nécessite un texte réglementaire.

Le Président estime qu'encadrer l'expérimentation par la réglementation serait utile compte tenu des enjeux de confidentialité et de la sensibilité des données partagées. Toutefois, une expérimentation de gré à gré entre associations et industriels a déjà été proposée.

S'agissant de la non-duplication des éléments, une représentante de la HAS précise qu'elle évoquait essentiellement la revue de littérature et son analyse critique, qui n'est pas attendue de la contribution des associations. De même, les associations n'ont pas vocation à discuter sur quoi repose l'avis de la HAS pour contribuer utilement à la réflexion.

Le retour d'expérience peut également s'envisager sur un dossier *ad hoc* afin de vérifier si les informations mises à disposition répondent aux besoins des associations et respectent le cadre prédéfini.

Un représentant des industriels souligne que le dossier partira, quoi qu'il arrive, du dossier de transparence.

L'expérimentation est intéressante pour connaître les limites du système. Il pourrait être opportun de la mener sur d'anciens dossiers de transparence, en caviardant et en rédigeant un document *ad hoc*, pour déterminer le modèle le plus contributif.

Une représentante de la HAS indique qu'un exercice a été mené en interne. Au regard des attentes des associations, il apparaît difficile de supprimer des rubriques entières du dossier. Entre sélectionner des rubriques du dossier actuel ou caviarder certaines informations, la deuxième option semble plus appropriée.

Il convient *a minima* de définir les éléments utiles aux associations qui ne peuvent pas être masquées. En revanche, il est plus complexe de déterminer les informations devant systématiquement être caviardées.

Un représentant des industriels assure que les entreprises sont ouvertes à transmettre toutes les informations qui apportent un éclairage complémentaire aux associations. Si partager le dossier de transparence caviardé ne pose pas de difficulté, il semble difficile de suivre la logique de la présentation lorsqu'une phrase est retirée. En constituant un document issu du dossier de transparence, replacé dans le contexte, cette difficulté est contournée.

Les études cliniques qui ne sont pas publiées ne pourront pas être partagées. Dès lors, les parties du dossier qui présenteront les résultats de ces études seront masquées. La rédaction d'un document *ad hoc* permettrait néanmoins d'explicitier les raisons pour lesquelles certains critères d'étude de qualité de vie ont été retenus.

Un représentant des associations et collectifs d'utilisateurs suggère de conduire une expérimentation avec, pour certains dossiers, un caviardage et pour d'autres, un document *ad hoc*. Les associations s'exprimeront sur les avantages et les inconvénients de chaque modèle. S'exprimer *a priori* sur les informations utiles contenues dans les dossiers de transparence est difficile dès lors que les associations en ignorent le contenu.

Le Président observe que si ces travaux concluent à la conduite d'une expérimentation, il n'y aura pas de relevé de décision à soumettre à la concertation publique.

Un représentant des associations et collectifs d'utilisateurs constate que le caviardage du dossier de transparence pose une difficulté aux industriels. L'expérimentation constitue une alternative moins-disante. Si les objectifs de la rencontre sont revus à la baisse, il en va de la responsabilité des industriels.

Un représentant des industriels assure que la volonté est de pouvoir répondre aux besoins des associations. Un document de 200 pages caviardé en plusieurs points serait peu compréhensible. La présentation d'un essai clinique masquant les résultats présente peu d'intérêt. Il semble plus utile de partir d'une liste d'informations répondant aux besoins des associations, alimentées par le dossier de transparence.

Un représentant des associations et collectifs d'utilisateurs observe que les résultats d'essais cliniques, même non publiés, ne sont pas soumis au secret des affaires et n'auraient donc pas à être caviardés.

Un représentant des industriels précise qu'une directive européenne de juillet 2014 impose de porter les essais cliniques à la connaissance du public dans les douze mois suivant leur finalisation. Selon un rapport de 2021 de Transparency International, cette obligation est respectée à 98 % par les sponsors industriels. La transparence sur les essais cliniques finalisés est donc déjà de mise. Toutefois, un dossier de transparence contient un plan de développement clinique, qui peut être considéré comme une donnée hautement stratégique et concurrentielle. Communiquer des données intermédiaires ne semble pas envisageable. En revanche, les critères de jugement, les objectifs et les attendus de l'essai clinique peuvent être présentés dans un dossier *ad hoc*. Ces informations apparaissent plus utiles que l'exposé caviardé d'un essai clinique.

Le Président observe qu'une expérimentation devrait s'inscrire dans la perspective de l'entrée en vigueur de la réglementation européenne en 2025.

Une représentante des associations et collectifs d'utilisateurs suggère d'imposer aux industriels de remettre un dossier caviardé et, en complément, un dossier synthétique.

Un représentant des industriels s'enquiert de l'apport du dossier caviardé.

Un représentant des associations et collectifs d'utilisateurs estime qu'il est intéressant de savoir que le dossier a été déposé sur la base d'essais cliniques en phase intermédiaire ou dont les résultats ne sont pas satisfaisants. Ces données ne relèvent pas du secret des affaires. Les associations disposent de l'expertise nécessaire pour apprécier l'information d'essais cliniques parcellaires.

Les associations acceptent une appréhension souple de la notion de « secret des affaires », dès lors qu'elle est argumentée.

Un représentant des industriels attire l'attention sur la charge de travail demandée à des *startups* qui ne gagnent pas encore d'argent. Le document *ad hoc* peut contenir des extraits entiers repris du dossier de transparence, ce qui simplifie la démarche.

Un représentant des associations et collectifs d'utilisateurs rappelle que le dispositif de contribution des associations relevait initialement du volontariat des industriels. Au nom du secret industriel, des entreprises refusaient de faire savoir qu'elles envoyaient leur dossier à la HAS. Ce système volontaire de 2016 a été complété d'une réglementation ultérieure.

Les données cliniques sont communiquées quelques mois après l'ouverture de l'appel à contributions, avec la publication des avis. La sécurisation du dispositif porte uniquement sur ces quelques mois. Une confiance réciproque est nécessaire pour cette période limitée dans le temps. Les associations peuvent s'engager sur une liste nominative des personnes ayant accès au dossier.

Afin de lever le point de crispation et de se baser sur une appréciation concrète, une étude rétrospective peut être conduite sur un ancien dossier, en présentant une version caviardée et un document *ad hoc*.

Approbation du relevé de conclusion

« Les parties prenantes réunies à l'initiative de la Haute Autorité de santé dans le cadre du suivi de sa feuille de route "Renforcer l'engagement des utilisateurs dans l'évaluation des technologies de santé à la HAS" sur le point relatif à l'accès des associations aux informations déposées par l'industriel en vue de l'évaluation d'un produit de santé :

- *Observent que la réglementation actuelle prévoit un niveau d'information limité des associations d'usagers du système de santé qui sont invitées à contribuer dans le cadre de l'évaluation des produits de santé prévue par le décret n° 2018-444 du 4 juin 2018 relatif à certaines commissions spécialisées de la Haute autorité de santé ; cette réglementation prévoit ainsi qu'en procédure courante l'objet et le périmètre de l'évaluation soient transmis aux associations contributrices à l'évaluation, d'une part, et que s'agissant de l'accès précoce soient transmis l'objet, le périmètre et le projet de protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données (PUT-RD) (sous réserve d'une obligation de confidentialité), d'autre part ;*
- *S'accordent sur l'intérêt d'augmenter le niveau d'information des associations dans la perspective de leurs contributions à l'évaluation des produits de santé :*
 - *Parce que la pertinence globale de leur contribution repose sur l'accès aux données d'efficience et de tolérance du produit de santé soumis à évaluation ;*
 - *Parce qu'elles ont vocation à formuler des observations sur la vie avec la maladie et que la connaissance de ces données d'efficience et de tolérance détermine de telles observations ; ainsi que les critères choisis et/ou retenus dans les études ;*
 - *Parce que l'éthique de la décision publique pousse à l'équité d'information des parties prenantes ;*
 - *Parce qu'une telle perspective est source d'apprentissages pour les associations elles-mêmes dans leur montée en compétence et en généralité ;*
 - *Parce que cette même perspective se situe dans la perspective de renforcement de la prise en compte des attentes des usagers dans tous les travaux de la HAS comme cela figure au sein du projet stratégique 2019-2024 de l'autorité publique indépendante ;*
 - *Parce que même si la littérature internationale n'offre qu'une seule occurrence d'évaluation scientifique d'un processus comparable cette étude conclut à ce que les contributions des associations d'usagers ont pour 2/3 des cas un impact sur l'interprétation des données scientifiques et une réassurance pour les experts inclus dans l'évaluation d'un bien de santé ;*
- *Estiment, sans attendre l'entrée en vigueur du règlement européen 2021-2282 concernant l'évaluation des technologies de santé, et même si ce périmètre est plus restreint que l'actuel périmètre des contributions des associations d'usagers tel que prévu au décret du 4 juin 2018, que des efforts peuvent être accomplis dans la perspective de l'entrée en vigueur de ce décret ;*
- *Reconnaissent pour y parvenir deux voies, le cas échéant cumulables :*
 - *celle d'un dossier par caviardage par l'industriel lui-même et découlant de l'application des lois et règlements protégeant les secrets industriels et la propriété intellectuelle ;*
 - *celle d'un dossier construit par l'industriel reposant sur des critères réglementés fixant les parties du dossier initialement déposé par l'industriel et reprises par lui en vue de leur transmission aux associations, s'agissant notamment du mode d'action du produit ou du dispositif, de sa place dans la stratégie thérapeutique, de la population-cible, du*

comparateur de référence, de l'indication revendiquée et de l'impact de santé publique ;

- *Estiment que dans ces conditions, et dès lors qu'une réglementation est nécessaire dans ces deux voies, de s'en remettre à l'autorité de réglementation ;*
- *Soulignent que des dispositions relatives aux liens d'intérêt, au contenu du dossier, à la confidentialité des éléments transmis et la sécurisation de la transmission de tout ou partie du dossier par la HAS doivent trouver leur place dans cette réglementation.*

Les parties rassemblées lors de la réunion du 17 novembre 2023 reconnaissent que la consultation publique aura alors pour objet d'identifier les solutions préférentielles.

Réserves :

- *Les associations présentes ont formulé une demande sur le fait que dans tous les cas elles puissent avoir accès au dossier industriel déposé et éventuellement caviardé par l'industriel.*
- *Les représentants de l'industrie ont exprimé leur réserve sur la mise à disposition de ce dossier complet parce qu'elles n'ont pas mandat pour cette option.*
- *La HAS quant à elle estime que de telles évolutions ne peuvent opérer sans réglementation et qu'en tout état de cause elle n'est pas en mesure d'opérer le transfert des données entre les parties prenantes. »*

Le relevé de conclusion est adopté.

Le Président remercie l'ensemble des membres présents et lève la séance à 15 heures 30.