

**NOTE DE
CADRAGE**

Utilisation des patient-reported outcomes (PROs) dans les évaluations des technologies de santé, des actes professionnels et dans l'élaboration des recommandations vaccinales et de santé publique

Validée par le Collège le 16 octobre 2024

Date de la saisine : NA

Demandeur : Autosaisine HAS

Service pilote : CCDVR (DEAI)

Personne(s) chargée(s) du projet : Camille Thomassin (CCDVR), Antoine Vanier (CCDVR)

1. Présentation et périmètre

1.1. Demande

Autosaisine HAS.

1.2. Contexte

Pour apprécier le bien-fondé de l'admission ou du maintien au remboursement par l'assurance maladie des technologies de santé (médicaments, dispositifs médicaux) et des actes professionnels, ainsi que pour l'élaboration de recommandations vaccinales et de santé publique, la HAS est amenée à évaluer des données cliniques.

Cette évaluation se fonde en particulier sur des résultats d'efficacité, mesurés par des critères de jugement, idéalement centrés sur le patient. Parmi les critères de jugement centrés sur le patient, les *patient-reported outcomes* (PROs) mesurent des résultats rapportés directement par les patients, sans interprétation d'un clinicien ou d'une autre personne (autre professionnel de santé, proche, aidant...). Les PROs peuvent concerner des concepts très variés. Ils doivent le plus souvent possible permettre de recueillir une perspective patient subjective (ressenti, perceptions, préférences, besoins, qualité de vie), à l'aide d'instruments de mesure, les *patient-reported outcomes measures* (PROMs).

La HAS accorde une attention particulière aux résultats de PROs dans les évaluations, et en fait régulièrement état dans ses publications comme les guides méthodologiques ou les doctrines d'évaluation des commissions^{1,2,3,4}. Cependant d'une part les données de PROs ne sont pas toujours disponibles pour l'évaluation et d'autre part certains choix méthodologiques retenus dans les études pour l'obtention de ces résultats de PROs peuvent limiter leur prise en compte et leur valorisation dans l'évaluation.

1.3. Enjeux

Les décisions de prise en charge par la collectivité de technologies de santé et la mise en œuvre de recommandations vaccinales et de santé publique doivent pouvoir s'appuyer sur des résultats étayant un bénéfice du point de vue des patients et usagers du système de santé.

1.4. Cibles

Promoteurs d'études interventionnelles et non interventionnelles (industriels de la santé, équipes de recherches académiques, structures de recherche, sociétés réalisant des prestations en recherche clinique (CROs), consultants), représentants des professionnels de santé, représentants d'association de patients et d'usagers du système de santé.

1.5. Objectifs

La HAS souhaite au cours de ce travail :

- réaliser un état des lieux de la prise en compte des PROs dans ses évaluations, afin d'identifier notamment les motifs conduisant à leur non-prise en compte,
- engager une réflexion de fond et proposer des recommandations aux promoteurs d'études sur les exigences méthodologiques de la HAS en termes de résultats de PROs, afin d'optimiser leur prise en compte dans les avis et recommandations de la HAS.

1.6. Délimitation du thème / questions à traiter

L'utilisation des résultats de PROs dans l'évaluation des médicaments, des dispositifs médicaux y compris dispositifs médicaux numériques à visée thérapeutique ou de télésurveillance, des actes professionnels, ainsi que pour les recommandations vaccinales et recommandations de santé publique.

2. Modalités de réalisation

- ☒ HAS
- ☐ Label
- ☐ Partenariat

¹ HAS. Doctrine de la commission de la transparence. Disponible en ligne : https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2021-03/doctrine_ct.pdf

² HAS. Principes d'évaluation de la CNEDiMTS relatifs aux dispositifs médicaux à usage individuel en vue de leur accès au remboursement. Disponible en ligne : [principes_devaluation_de_la_cnedimts-v4-161117.pdf](https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2021-06/principes_devaluation_de_la_cnedimts-v4-161117.pdf) (has-sante.fr)

³ HAS. Guide méthodologique. Etudes en vie réelle pour l'évaluation des médicaments et des dispositifs médicaux. Disponible en ligne : https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2021-06/guide_etude_en_vie_reelle_medicaments_dm.pdf

⁴ HAS. Guide méthodologique. Choix méthodologiques pour l'évaluation médico-économique à la HAS. Disponible en ligne : [Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS](https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2021-06/choix_methodologiques_pour_l_evaluation_medico_economique_a_la_has.pdf) (has-sante.fr)

2.1. Méthode de travail envisagée et actions en pratique pour la conduite du projet

Un groupe de travail sera composé de représentants des services et mission de la DEAI (service évaluation des médicaments, service évaluation des dispositifs, service évaluation santé publique et vaccination, service évaluation des actes professionnels, mission numérique en santé) ainsi que de plusieurs experts externes (cliniciens et experts en méthodologie de la recherche clinique). En raison du caractère transversal du sujet pour la HAS, le service évaluation et outils pour la qualité et la sécurité des soins ainsi que le service engagement des usagers et la mission rapport d'analyse prospective seront également associés à ce travail. La cellule de coordination des données en vie réelle de la DEAI assure le pilotage du projet.

Le groupe de travail participera à dresser l'état des lieux sur l'utilisation des PROs dans les évaluations de la HAS et à la définition des recommandations aux promoteurs d'études sur les exigences méthodologiques de la HAS.

Un appel à contribution écrite, sous forme de questions, sera publié sur le site de la HAS au mois d'octobre. Les réponses à cet appel à contribution seront prises en compte pour la définition des recommandations. La HAS souhaiterait particulièrement recueillir l'avis des organisations de patients et d'usagers lors de cet appel à contribution.

2.2. Composition qualitative des groupes

Cf. ci-dessus.

2.3. Productions prévues

Les recommandations seront publiées par la HAS sous forme d'un article dans une revue internationale à comité de lecture.

3. Calendrier prévisionnel des productions

Publication de l'article : T2-T3 2025