

26^e Conférence thématique du Collège des Économistes de la Santé
Sharing risks, sharing value

TABLE RONDE

Etat des lieux en France et point de vue des acteurs

Jean-Noël BAIL

Président et fondateur *JNB-Conseil*

Economiste, consultant pour les industries de santé

DISCLAIMER

Mes propos ne sauraient engager ou représenter quelque organisation que ce soit, industrielle ou syndicale.

Ils sont le reflet de mes diverses expériences en entreprise depuis les années 90, et en tant que consultant ces 5 dernières années auprès d'une grande variété de laboratoires pharmaceutiques français et internationaux sur tout type de problématiques relatives à l'accès et la régulation du marché du médicament.

Les termes du débat

1. L'entrepreneur est celui qui entreprend : il prend le risque d'investir, de perdre ou de gagner. C'est sa raison sociale.
2. En pharma, les investissements sont lourds, longs, très risqués, d'où les ROI élevés sur les produits qui arrivent au marché, et les attentes des investisseurs dans leurs paris d'investir.
3. La pression sur le ROI est aussi une pression sur le temps, la durée de la R&D représentant 50% environ de la durée de protection commerciale.
4. Accélérer la durée commerciale effective est donc un objectif légitime, sans préjudice des risques pour les patients.
5. Cette accélération se traduit notamment par les AMM conditionnelles au niveau EU, et par des dispositions nationales visant à confirmer la valeur clinique par des études expérimentales complémentaires ou des recueils de données de vie réelle.

Une réglementation qui évolue en France

6. La réglementation française prévoit ainsi* le principe de réévaluation future sur données complémentaires, et la doctrine de la CT depuis 2023 a intégré la notion d'incertitudes pouvant donner lieu à des travaux ultérieurs afin de les lever, tout en réaffirmant que « l'étude clinique randomisée reste le schéma de référence pour démontrer l'efficacité d'un médicament ».
 7. L'A-C 2021 (art 16) a formalisé la contractualisation de la gestion de l'incertitude, afin que l'AM n'assume pas le risque financier, selon le concept dit « voir pour payer », et a lié le recueil de données de performance en vie réelle à un financement complémentaire éventuel a posteriori.
 8. Puis la Loi (art 54 PLFSS 2023) a élaboré assez précisément un dispositif relatif aux modalités économiques et financières pour la prise en charge des MTI, avec un système de paiement différé pour des thérapies coûteuses ayant un bénéfice de long terme et une administration unique.
 9. En France, l'Accord-Cadre de 2021 (art 15c) a également précisé les conditions dans lesquelles les MTI peuvent être pris en charge, en intégrant un possible fractionnement des paiements en cas notamment d'administration unique.
- Art R.163-18 : La commission peut, en outre, le cas échéant, indiquer les informations et études complémentaires indispensables à la réévaluation ultérieure du service médical rendu ou de l'amélioration du service médical rendu par le médicament, qui devront être présentées par le demandeur au plus tard à une date fixée par la commission. La commission rend un nouvel avis dans un délai maximum de six mois à compter de cette date.

Qui partage quels risques ?

10. La notion de partage de risque en France renvoie donc à un échange de temps gagné par l'industriel sur le développement clinique d'un médicament en contrepartie d'un report à un terme plus ou moins long d'une part plus ou moins importante du financement d'un tel médicament.
11. Pour l'AM, le partage de risque revient à accepter de financer un produit dont les évidences cliniques seraient considérées comme non matures, mais au strict niveau des évidences établies et reconnues au moment de l'accès au financement public.
12. L'AM prend le risque de devoir compléter le financement a posteriori en cas d'évidences additionnelles apportées et validées à un terme donné. Il n'est pas illégitime de se demander s'il ne conviendrait pas plutôt de parler d'aversion au risque que de partage de risque ?

La valeur se partage-t-elle ?

13. Le partage de valeur pour l'industriel consiste à accepter un financement partiel précoce contre une promesse de financement plus large selon des résultats restant à établir. L'industriel accepte ainsi un certain niveau d'incertitude dans la génération de son revenu.
14. Le partage de valeur pour l'assurance maladie consiste à accepter de financer une solution thérapeutique dont les évidences sont incomplètes, au niveau des évidences établies, mais en acceptant le principe d'un éventuel paiement complémentaire futur.
15. L'assurance maladie semble également juger favorable de faire correspondre son financement avec la durée de bénéfice d'une solution thérapeutique. Cette approche n'est pas celle réservée à des interventions chirurgicales par exemple, curatives et définitives pour une longue période. Mais un enjeu de gestion de trésorerie pourrait expliquer cet intérêt et son apparition dans le cadre législatif. Cet étalement de trésorerie même en l'absence de toute incertitude pourrait donc représenter une spécificité du médicament ou de certains d'entre eux, les MTI.

L'enjeu des données

16. L'appareillage de recueil de données en vie réelle comporte de nombreux aléas de faisabilité, de coût, de durée de production, d'analyse et d'interprétation des résultats.
17. Cette complexité génère une contractualisation longue, détaillée, très précise, incluant toutes les situations de sorties possibles pour assurer une absence de perte du pari a posteriori par le payeur.

Vers un conflit de normes ?

18. La dualité pour ne pas dire la concurrence entre les normes, conventionnelles versus législatives, n'est probablement pas la formule la plus efficiente pour gérer ces situations, ainsi que semble l'attester la non-publication de certaines MTI emblématiques à cette date.
19. Par ailleurs les dispositifs d'accès précoce répondent aux enjeux d'accès des patients à de nombreuses innovations, sans que les conditions de leur financement pérenne ne soit néanmoins négociées.
20. De même, le principe de réévaluation par la Commission de la Transparence, sur la base d'évidences nouvelles, déterminées dès l'avis initial et selon un calendrier également imparti d'emblée, s'inscrit dans cette dynamique visant à permettre un accès sur des données encore conditionnées à des preuves plus exhaustives. Ses effets existent et ont permis dans certains cas de revaloriser ou à tout le moins de ne pas dévaloriser certains médicaments innovants.

Discussion : Certitudes vs incertitudes...

21. S'interroger sur l'échange du temps sur le marché contre un financement partiellement mis à risque reste une vraie question, objet de nos échanges de ce jour, comme dans d'autres instances et cercles de réflexion, pouvant conduire à se demander quelles sont les évidences véritablement susceptibles d'emporter un financement collectif, et notamment si celles sanctionnées par des AMM ne seraient pas les seules dans ce cas ? Le cas des AMM conditionnelles justifierait quant à lui des dispositions autorisant un remboursement voire un prix conditionnels.
22. Cette question clé aujourd'hui est notamment liée aux coûts induits par les dispositifs de gestion de l'incertitude : temps, production de données, complexité administrative, répétitions locales de la production de données de vie réelle, ainsi qu'aux risques juridiques intrinsèques aux contrats intégrant l'incertitude...
23. L'entrepreneur ayant une aversion pour la non-prévisibilité de ses revenus, les modèles introduisant un aléa dans ces derniers le conduisent à probabiliser ses espérances de gain, en fonction de l'efficacité anticipée d'un médicament. Des simulations complexes sont ainsi élaborées...

Discussion : Quels outils et critères ?...

24. Garder à ces dispositifs une place si et seulement si un ou plusieurs critères seraient remplis :

- a) AMM conditionnelle avec programme expérimental complémentaire explicite ;
- b) Evidences simples et rapides à produire, à évaluer, et à modéliser ;
- c) Part du financement complémentaire non majoritaire ;
- d) Absence de risque de remboursement intégral à l'AM, avec des précisions nécessaires sur la notion d'échec de traitement (en rappelant que les échecs hospitaliers existent, et que les médecins restent liés à une obligation de moyens même si la jurisprudence semble aller dans certains cas vers une obligation de résultats) ;
- e) La gestion de trésorerie par l'AM n'est pas le seul motif du contrat, l'accumulation d'engagements financiers futurs n'étant probablement pas le meilleur outil de gestion des fonds sociaux, déjà partiellement reportés sur les générations futures (CRDS).

25. Les mécanismes de fast track sont à promouvoir à toutes les étapes, pour assurer que les pertes de temps sont minimales et n'incitent pas de fait à des mécanismes parallèles de type shortcut de très haute complexité : simplifier les voies officielles et conventionnelles pour éviter les voies parallèles et législatives...

Pour ouvrir le débat ...

- Des outils nouveaux et complémentaires pour optimiser l'accès et le financement des nouvelles thérapeutiques restent nécessaires.
- La voie objet de nos réflexions d'aujourd'hui mérite d'être expérimentée plus avant afin de déterminer si elle peut contribuer à résoudre certains dilemmes...
- Elle n'est pas exclusive d'autres moyens et outils – notamment conventionnels - dont l'efficacité est également susceptible d'aborder la question des évidences cliniques nécessaires à la solvabilisation collective pérenne des investissements en santé.
- Le Collège des Economistes de la Santé peut utilement contribuer aux débats publics sur ces problématiques clés...
 - Puisse cet après-midi d'échanges se situer dans cette dynamique !

Merci de votre attention...

JNB-Conseil

RCS 853 769 149 Versailles

+ 33 (0) 6 73 18 10 38

jn.bail@orange.fr

10 avenue Paul Doumer - 78360 Montesson