

# Systemes d'ETS européens

## Introduction

L'évaluation des technologies de santé (ETS) est un processus multidisciplinaire qui résume d'une manière solide, impartiale, transparente et systématique les informations sur les aspects médicaux, sociaux, économiques et éthiques liés à l'utilisation d'une technologie de santé. Elle a pour objectifs de rechercher à atteindre la meilleure valeur et d'informer afin de pouvoir formuler des politiques de santé sûres et efficaces, axées sur les patients. Malgré ses objectifs liés à une politique, l'ETS doit toujours se baser sur la recherche et la méthode scientifique.

Lorsque l'on considère l'ETS dans le domaine des produits médicaux, il est préférable de savoir comment les médicaments sont autorisés et d'avoir une idée de base du cycle de vie d'un produit et des processus qui mènent à l'autorisation de mise sur le marché (AMM). Il est également préférable de connaître la relation entre l'ETS et les remboursements ou les couvertures d'assurance-maladie selon les pays. La société pharmaceutique doit effectuer des essais cliniques randomisés de haute qualité et envoyer le dossier de demande à l'autorité réglementaire compétente. Après avoir reçu une autorisation de mise sur le marché basée sur des critères de sécurité, de qualité et d'efficacité, un produit peut pénétrer le marché (il peut être vendu). Afin d'assurer aux patients un large accès aux traitements nécessaires, le produit doit souvent être couvert par une assurance ou un système de soins de santé national. Le produit doit donc figurer sur la liste des médicaments remboursés au niveau national ou être couvert par les assurances.

Ces payeurs institutionnels doivent simultanément gérer l'accès aux traitements innovateurs avec un budget limité. En

raison de ces contraintes, ils doivent donc s'assurer de payer pour de nouvelles technologies qui offrent de véritables améliorations pour les patients. Voici où l'ETS entre en jeu, car son rôle fondamental est de déterminer la valeur thérapeutique ajoutée (en termes de résultats de santé pour les patients) de la nouvelle technologie par rapport à la norme de soins actuelle.

Comme point de départ, il est utile de connaître les organisations qui représentent les principaux acteurs de ce processus. En Europe, divers organismes sont responsables de l'évaluation des technologies de santé (ETS) pour les produits pharmaceutiques et non pharmaceutiques. La structure, la fonction, le rôle et les approches de ces organismes varient en fonction des différents systèmes de santé et des structures politiques dans lesquelles ils évoluent.

Voici des exemples d'organismes d'ETS européens pour les évaluations pharmaceutiques :

- France – Haute Autorité de Santé (HAS) – <http://www.has-sante.fr>
- Allemagne – Gemeinsamer Bundesausschuss (GBA) – <https://www.g-ba.de/>
- Écosse – Scottish Medicines Consortium (SMC) – [scottishmedicines.org.uk/Home](http://scottishmedicines.org.uk/Home)
- Suède – Tandvårds Och Läkemedelsförmånsverket (TLV) – [tlv.se/In-English/in-english/](http://tlv.se/In-English/in-english/)

Notez bien qu'en Allemagne, la partie évaluation d'ETS est prise en charge par l'IQWiG (Institut pour la qualité et l'efficacité des soins de santé), tandis que la partie estimation et prise de décision revient au GBA. De plus, dans certains pays européens, l'organisme d'ETS procède également à des évaluations d'interventions non pharmacologiques liées par exemple aux appareils ou aux procédures chirurgicales, et (dans certains cas) d'interventions de santé publique. Ces organismes incluent :

- Norvège – NOKC (Centre norvégien de la connaissance, Nasjonalt kunnskapssenter for helsetjenesten) – <https://www.fhi.no/en/>
- Suède – SBU (Agence suédoise pour l'évaluation des technologies de santé et des services sociaux) – <http://www.sbu.se/en/>

L'ETS est constituée de deux principaux éléments : évaluation et estimation.

Dans certains pays, les fonctions d'estimation et d'évaluation d'ETS sont prises en charge par des organismes différents.

- Un organisme peut s'occuper de la fonction d'évaluation (synthétiser les données probantes ou examiner de manière critique les soumissions de bases factuelles).
- Un autre organisme peut s'occuper de la fonction d'estimation (considérer l'évaluation sous l'angle de divers facteurs globaux liés au contexte local). Ils émettent ensuite des avis et des recommandations.

## **ETS : évaluation**

Pour les processus d'ETS relatifs aux médicaments, une société commence normalement par fournir un dossier contenant les informations requises par l'organisme d'ETS. Pour les interventions ne concernant pas des médicaments, les organismes d'ETS procèdent généralement à un examen systématique des informations publiées. Ce dossier inclut par défaut des données probantes détaillées sur la sécurité et l'efficacité de la nouvelle technologie, ainsi que sur « le bénéfice clinique ajouté », c'est-à-dire qu'il compare l'efficacité clinique du nouveau produit à celle de la norme de soins existante (le comparateur).

Certains systèmes d'ETS européens évaluent également l'impact potentiel du nouveau produit sur le budget du système de santé

(évaluation de l'impact budgétaire) ou l'efficacité du médicament par rapport à son coût pour le système (évaluation économique ou analyse de rentabilité, par exemple). Tous les systèmes d'ETS européens ne mettent pas l'accent de la même manière sur l'analyse de rentabilité comparative, mais tous s'attachent au bénéfice clinique ajouté.

Les principaux éléments d'un dossier de demande ou « soumission » sont répertoriés ci-dessous. Notez bien que certains de ces éléments sont plus quantitatifs que d'autres. Les aspects éthiques, publics et juridiques peuvent être plus qualitatifs et donc être inclus dans la partie estimation de l'ETS plutôt que dans la partie évaluation.

- **Population de patients ciblée** : la population spécifique devant être couverte (déterminée par l'indication complète pour laquelle la licence a été obtenue, ou un sous-groupe en faisant partie).
- **Le fardeau de la maladie** : également décrit comme « besoins non satisfaits » ou « besoins thérapeutiques ». Il peut s'agir d'une mesure du nombre de personnes touchées par une maladie particulière pour laquelle il n'existe actuellement pas de traitement adéquat. Ceci peut inclure le nombre de nouveaux diagnostics d'une maladie, ou les coûts pour la société ou un gouvernement en fonction des personnes touchées. Ceci peut également inclure des aspects plus qualitatifs sur le fardeau de la maladie et les traitements actuels à la disposition des patients.
- **Description du médicament** : une description du médicament, de son fonctionnement, de son mode d'administration (injection ou comprimé, par exemple), du lieu où il est administré aux patients (hôpital, communauté, soins primaires ou à domicile, par exemple), de sa fréquence d'administration et de son utilisation appropriée dans le cadre d'un traitement comportant d'autres interventions et médicaments.

- **Efficacité clinique** : en médecine, l'efficacité clinique indique un effet thérapeutique positif. Si l'efficacité est établie, une intervention est susceptible d'être au moins aussi bonne que d'autres interventions disponibles auxquelles elle serait comparée. Si l'on parle en termes d'efficacité par rapport à l'efficience, l'efficacité mesure l'effet positif produit par un traitement dans des essais cliniques ou des études en laboratoire. L'efficience, en revanche, fait référence à l'effet positif produit par un traitement dans la pratique de la médecine.
- **Efficacité relative** : il s'agit de l'ampleur des effets bénéfiques d'une intervention dans des circonstances idéales par rapport à une ou plusieurs autres interventions.
- **Efficience clinique** : l'efficience clinique mesure l'effet positif d'un traitement spécifique dans la pratique de la médecine. Elle dépend de l'application des meilleures connaissances provenant de la recherche, de l'expérience clinique et des préférences des patients.
- **Efficience clinique relative** : elle peut être définie par l'ampleur des bénéfices d'une intervention par rapport à une ou plusieurs autres interventions pour atteindre les résultats souhaités lors de l'administration dans des circonstances habituelles de soins de santé.
- **Évaluation économique et rentabilité** : dans le contexte de la pharmaco-économie, la rentabilité est étudiée en observant les résultats de différentes interventions et en mesurant un seul résultat, généralement en unités « naturelles » (par exemple, années de vie gagnées, décès évités, crises cardiaques évitées ou cas détectés). D'autres interventions sont alors comparées en termes de coût par unité (naturelle) d'efficience afin d'évaluer la manière dont la rentabilité est fournie. Ceci aide les décideurs à déterminer où allouer des

ressources de soins limitées. La rentabilité n'est qu'un critère parmi d'autres qui devraient être utilisés pour déterminer si les interventions vont être mises à disposition ou non. D'autres problèmes, tels que l'équité, les besoins, l'impact sur la vie au travail et les priorités des patients doivent également faire partie de l'évaluation économique.

- **Impact budgétaire** : les coûts sur une durée spécifique par rapport à un budget de soins de santé particulier plutôt que le budget global d'un pays. Ceci exige des données d'épidémiologie et de modes de traitement solides, ainsi que des suppositions d'absorption et de déplacement des traitements actuels.
- **Caractéristiques innovantes** : une évaluation des avantages potentiels de l'utilisation d'un médicament en plus du bénéfice clinique ajouté (tels que le côté pratique pour les patients avec, par exemple, un mode d'administration différent, ou d'autres caractéristiques qui peuvent améliorer le suivi du traitement avec les améliorations connexes au niveau des résultats cliniques et/ou de la qualité de vie).
- **Disponibilité d'autres solutions thérapeutiques** : une description des autres solutions disponibles pour traiter la maladie en question. Il peut s'agir ou non d'un autre médicament.
- **Considérations d'équité** : une évaluation de l'effet de l'adoption du nouveau traitement sur les mesures d'équité au sein du système de santé. Par exemple, le traitement sera-t-il avantageux pour les personnes les plus défavorisées sur le plan social et économique ?
- **Impact sur la santé publique** : un examen de l'impact éventuellement plus important du nouveau traitement sur la santé publique. Par exemple, un nouveau traitement contre le VIH/SIDA peut réduire la transmission du VIH au sein d'une communauté.

La plupart des organismes d'ETS ont élaboré des directives

pour les sociétés afin d'homogénéiser ce processus et de créer des comparaisons justes. Néanmoins, ces directives varient d'un pays à l'autre et peuvent être disponibles sur les sites Web de la plupart des organismes d'ETS. Elles peuvent expliquer comment sont prises les décisions sur les nouveaux médicaments.

Les dossiers sont rigoureusement examinés par les organismes d'ETS, soit directement soit par le biais d'experts. Certains organismes d'ETS effectuent des études indépendantes des bases factuelles cliniques et économiques afin de réduire les conflits d'intérêts.

## **ETS : estimation**

Comme la prise de décision liée au remboursement de la nouvelle technologie de santé peut prêter à controverse, la meilleure approche consiste à séparer l'évaluation des bases factuelles de l'estimation et de la prise de décision. Les organismes qui procèdent à une estimation baseront normalement leurs recommandations sur le résultat de l'évaluation des bases factuelles, ainsi que sur des informations supplémentaires, telles que les politiques de santé locales, des valeurs et les témoignages des patients.

Les processus d'ETS mènent généralement à la décision d'ajouter ou non la nouvelle technologie à la liste des produits remboursés d'un système de prise en charge des soins médicaux (cette liste répertorie les produits médicaux remboursés par le système d'assurance-maladie) ou le recommande pour un service de santé national imposé. Il peut s'agir d'une recommandation pour l'usage du médicament dans des conditions restreintes, comme par exemple pour une petite population de patients avec une maladie plus grave.

Déterminer si une intervention réduira les taux de crises cardiaques, provoquera des effets secondaires considérables ou

augmentera les coûts exige de porter des jugements sur la solidité des bases factuelles. Ces dernières contiennent toujours une part d'incertitude. Il est clairement dans le meilleur intérêt de tout organisme d'ETS d'utiliser un jugement scientifique sûr ainsi que des approches homogènes et transparentes afin de parvenir à des décisions possibles à défendre. Étant donné la nature multidisciplinaire des ETS, les meilleures approches épidémiologiques, sociologiques, économiques, éthiques, juridiques, etc. sont indispensables pour étayer les diverses analyses.

Néanmoins, la prise de décision exige de tenir compte de ce qui est important pour la société et les patients. Est-ce une bonne chose de réduire les taux de crises cardiaques ? À quel prix ?

Les bonnes approches visant à établir des estimations impliquent de multiples perspectives et ne peuvent donc pas être entreprises correctement par une seule personne. Pour cette raison, un comité se réunit afin d'émettre une recommandation sur la base d'un processus explicite et transparent. Ce processus est souvent appelé estimation délibérative. La plupart des organismes d'ETS mettent l'accent sur l'ampleur des aspects positifs (et sur la solidité des bases factuelles) au niveau des résultats de santé recherchés par les patients observés lors d'essais cliniques bien conçus avec des comparateurs appropriés.

L'aspect suivant, par ordre d'importance dégressif, est souvent lié à une ou plusieurs considérations économiques. Presque toutes les agences d'ETS tiennent compte de l'impact budgétaire (le montant total ajouté au budget du système de santé par le nouveau médicament sur une période définie). Il doit s'agir d'un chiffre net, d'une somme qui déduit les économies latérales dans le système de santé en résultat des avantages liés au nouveau médicament (par exemple, réduction des admissions dans les hôpitaux en raison de graves effets indésirables). Il convient d'assurer la neutralité de la

structure du comité. En d'autres termes, ses membres doivent officiellement déclarer tout conflit d'intérêt potentiel ou refuser de participer.

Certains organismes d'ETS ont adopté un cadre éthique qui permet à leurs recommandations d'être examinées par un ensemble plus large d'intervenants. Ceci permet aux sociétés, aux cliniciens ou aux patients susceptibles d'être affectés injustement par une recommandation, de faire appel.

Les organismes d'ETS recherchent parfois l'avis des citoyens au sujet d'aspects complexes de la prise de décision lorsqu'il s'agit de décider des priorités en soins de santé. Par exemple, au Royaume-Uni, le NICE dispose d'un Conseil de citoyens basé sur une approche de jury formé par des citoyens afin de fournir des jugements de valeur sociale pour informer les comités d'estimation du NICE. La liste ci-dessous reprend quelques problèmes sur lesquels a statué ce Conseil des citoyens.

#### Sujets abordés par le conseil des citoyens NICE

<b>Année</b>	<b>Sujet</b>
2002	Besoin clinique
2003	Âge et rentabilité
2004	Médicaments d'ultra-orphelins et rentabilité
2005	Mesures de santé publique obligatoires
2006	Utilisation de la « rule of rescue » (mesures toujours prioritaires visant à sauver des vies)
2007	Sécurité des patients et rentabilité
2008	Écart par rapport au seuil ICER (rapport coût/efficacité différentiel)
2009	Innovation
2010	Améliorations de santé et incitations financières
2011	Évaluation des coûts et des bénéfices
2012	Valeurs sociales liées aux soins

Dans certains cas, les résultats d'ETS seront liés à des négociations financières du prix. La négociation financière du prix est l'un des mécanismes utilisés par les gouvernements pour fournir l'accès aux nouveaux traitements (c'est-à-dire pour trouver une manière de ne pas devoir dire « non »). Les autres variables incluent les restrictions relatives aux personnes susceptibles de recevoir le traitement en vertu des mécanismes de remboursement.

## Au-delà des recommandations

Aux yeux de ceux qui demandent l'accès à de nouveaux traitements, les recommandations au sujet de la mise à disposition ou non d'un nouveau médicament dans un système de santé peuvent être considérées comme trop strictes et ne pas offrir de flexibilité. Comme ces recommandations sont normalement basées sur la population globale, il se peut qu'elles ne tiennent pas compte d'exceptions au niveau individuel. Au lieu d'une recommandation purement par l'affirmative ou par la négative, d'autres mécanismes ont été appliqués par l'ETS et peuvent s'avérer plus utiles.

- **Couverture avec renforcement des bases factuelles (Coverage with evidence development, CED)** : ceci peut s'employer pour donner l'accès à un nouveau médicament prometteur qui ne dispose pas, pour le moment, de suffisamment de données en faveur de son efficacité clinique ou de sa rentabilité. Dans ces circonstances, l'ETS peut recommander d'utiliser le médicament en question, à condition de recueillir officiellement les données probantes en cours d'utilisation afin de résoudre ces incertitudes (sous la forme par exemple d'un registre). Il peut aussi y avoir des essais cliniques en cours exigés par les autorités réglementaires qui apporteront ultérieurement des preuves supplémentaires.
- **Détermination du prix** : le prix d'une technologie de

santé peut avoir un effet direct sur les fournisseurs et l'accès des patients à cette technologie. Dans certains cas, les payeurs peuvent négocier avec la société afin d'obtenir un prix basé sur la valeur perçue de la technologie de santé, surtout lorsqu'elle est utile dans certains cas mais pas dans tous. Cette approche assure l'accès à la technologie en question aux fournisseurs et aux patients qui en ont besoin. Les organismes d'ETS peuvent être impliqués ou non dans ce processus. Néanmoins, le tarif basé sur la valeur présente des difficultés, car il est difficile de s'assurer de considérer de manière adéquate tous les aspects de la valeur d'une technologie de santé. Par exemple, les résultats des essais cliniques à court terme peuvent ne pas illustrer des caractéristiques importantes aux yeux des patients comme le côté pratique des posologies ou des modes d'administration moins invasifs.

- **Aides à la décision et directives cliniques** : l'ETS peut indiquer que le médicament a une valeur supérieure lorsqu'il est utilisé sur un groupe de patients spécifique ou dans un ordre particulier après d'autres options de traitement. Pour optimiser la valeur, le payeur peut décider de rembourser le médicament en association avec des directives cliniques spécifiques (pour les prescripteurs) ou des aides à la décision particulières (pour les patients et les cliniciens). Les aides à la décision sont des outils à l'usage des patients et des médecins permettant d'utiliser des bases factuelles afin de parvenir à une décision éclairée. Elles aident les patients à choisir entre deux traitements qui ont des risques et des bénéfices différents. Elles leur permettent d'être mieux informés afin de discuter avec leur médecin des aspects les plus importants pour eux et de déterminer la meilleure solution.<sup>1</sup>
- **Budgets et détermination des priorités des systèmes des**

**santé** : les méthodes ont évolué et utilisent les informations d'ETS pour déterminer les services qui devraient être payés (par exemple, pour déterminer les services qui devraient être inclus dans la couverture maladie universelle). C'est-à-dire qu'elles s'attachent à déterminer la combinaison optimale qui fournit de la valeur et s'accorde avec les moyens du payeur.<sup>2</sup>

## Réseaux d'ETS

En Europe, de nombreuses organisations d'ETS sont aussi interconnectées par le Réseau européen d'évaluation des technologies de santé (EUnetHTA) formé en 2004. L'EUnetHTA collabore étroitement avec la Commission européenne, l'Agence européenne des médicaments (EMA) et les organisations d'intervenants représentant les patients/consommateurs, l'industrie, les payeurs (assurance-maladie obligatoire) et les prestataires de soins de santé. L'EUnetHTA œuvre à l'élaboration de méthodes, de normes et de processus pour le réseau ETS en Europe (HTA Network).

Le HTA Network vise à promouvoir de bonnes pratiques et méthodes d'ETS en réponse à la vaste diversité des méthodes, pratiques et résultats d'ETS européens, ainsi qu'à la redondance des efforts fournis. Il aura également comme objectif de faciliter l'usage efficace des ressources d'ETS en Europe. Les principales activités de l'EUnetHTA liées au HTA Network comportent l'élaboration d'une méthodologie et de directives d'ETS, et le pilotage d'évaluations conjointes d'une efficacité relative. Ces activités aideront à réduire la charge de travail au niveau national et simplifieront la tâche aux organisations d'ETS au niveau des États membres pour effectuer des analyses supplémentaires et prendre des décisions propres à leur système de santé.

# Ressources complémentaires

1. Health Technology Assessment Network. Consulté le 6 janvier 2016 sur [https://ec.europa.eu/health/technology\\_assessment/policy/network](https://ec.europa.eu/health/technology_assessment/policy/network)
2. EUnetHTA : <http://www.eunethta.eu/> (consulté le 6 janvier 2016)
3. Opportunités de participation des patients dans le cadre de l'EUnetHTA : <http://www.eunethta.eu/> (consulté le 6 janvier 2016).
4. Sorenson, C., Drummond, M., and Panos, K. (2008). *Ensuring value for money in health care: The role of health technology assessment in the European Union*. Copenhague : Organisation mondiale de la santé. Consulté le 6 janvier 2016 sur [http://www.euro.who.int/\\_\\_data/assets/pdf\\_file/0011/98291/E91271.pdf](http://www.euro.who.int/__data/assets/pdf_file/0011/98291/E91271.pdf)
5. Velasco Garrido, M., Kristensen, F.B., Nielsen, C.P, and Busse, R. (2008). *Health technology assessment and health policy-making in Europe: Current status, challenges and potential*. Copenhague : Organisation mondiale de la santé. Consulté le 6 janvier 2016 sur [http://www.euro.who.int/\\_\\_data/assets/pdf\\_file/0003/90426/E91922.pdf](http://www.euro.who.int/__data/assets/pdf_file/0003/90426/E91922.pdf)
6. Kleinjen, S., George, E., Goulden, S., et al. (2012). Relative effectiveness assessment of pharmaceuticals: similarities and differences in 29 jurisdictions. *Value Health*, (15), 954-960. Consulté le 6 janvier 2016 sur [http://www.valueinhealthjournal.com/article/S1098-3015\(12\)01609-9/pdf](http://www.valueinhealthjournal.com/article/S1098-3015(12)01609-9/pdf)
7. Rawlins, M. (2014). Evidence, values, and decision-making. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, (30), 233-238.

# Références

1. Ottawa Hospital Research Institute (2014). *Patient Decision Aids: Implementation Toolkit*. Retrieved 6 January, 2016, from <http://decisionaid.ohri.ca/implement.html>
2. Bandolier (2007). *Programme budgeting and marginal analysis*. Retrieved 6 January, 2016, from <http://www.bandolier.org.uk/booth/glossary/PBMA.html>

A2-6.05-v1.1