



Résumé

Jusqu'à présent, le modèle économique de **financement de l'innovation thérapeutique en France** bénéficiait d'une forte légitimité, ayant permis un bon accès aux soins pour les patients dans un respect des contraintes budgétaires, et en l'absence de « choc

innovationnel » majeur. Le cycle de vie d'une molécule est organisé afin d'**inciter à l'innovation** : le brevet permet de protéger les résultats de la phase de recherche, longue, risquée et coûteuse pour le laboratoire pharmaceutique. La **recherche fondamentale** est suivie de phases d'essais précliniques puis cliniques, à l'issue desquels le médicament est évalué avant de pouvoir bénéficier d'une autorisation de mise sur le marché (AMM).

Alors que l'équilibre des comptes sociaux est de longue date un sujet de préoccupation politique majeur, la **remise en question du modèle de financement et d'accès à l'innovation thérapeutique** est apparue relativement récemment dans le débat parlementaire et public. Cela peut s'expliquer par trois bouleversements majeurs sur les plans médical, économique et social.

Sur le plan médical, l'innovation a changé de nature. La fin du XX^e et le début du XXI^e siècle ont initié le virage des médicaments biologiques et des thérapies géniques. On parle de plus en plus de médicaments dits « de spécialité », distribués majoritairement à l'hôpital et s'adressant à des populations toujours plus réduites. Leur proposition de valeur s'exprime davantage **en termes de « guérison » voire « d'éradication »** de certaines pathologies. On retrouve parmi les cas les plus emblématiques les nouveaux traitements qui permettent de guérir de l'hépatite C, ou le développement de l'immunothérapie, qui obtient des résultats sans précédent dans le traitement des cancers. Ces innovations impliquent de **repenser les mécanismes d'évaluation et d'accès au marché en vigueur qui, pour la plupart des acteurs publics et privés, ne permettent plus d'anticiper l'arrivée des nouveaux traitements et de les rendre accessibles dans les meilleurs délais aux patients.**

Sur le plan économique, la problématique du financement de l'innovation se pose sous un nouveau jour dans une période de contrainte budgétaire forte. Un certain nombre de facteurs sociodémographiques, comme le **vieillessement de la population**, contribuent à une augmentation tendancielle des dépenses de santé et remettent en cause la pérennité financière du système. De plus, l'augmentation de l'incidence des **maladies chroniques** implique une prise en charge à vie de certaines pathologies. La France compte environ dix millions de malades souffrant d'une Affection Longue Durée (ALD) de type diabète, Alzheimer ou insuffisance cardiaque.

En parallèle, **la recherche pharmaceutique devient moins efficiente.** À investissements constants, le nombre de molécules approuvées par les autorités de santé diminue. Les investissements nécessaires pour développer et mettre sur le marché de nouvelles molécules sont donc plus importants, notamment à cause de l'enchérissement et de l'**allongement des études cliniques** ainsi que de l'**augmentation du taux d'échec**. Mais d'autres facteurs permettent de comprendre la structure de coût de ces innovations, comme l'**externalisation partielle des processus de recherche** ou encore la politique de rachat à des prix très élevés de brevets des entreprises de biotechnologie (les *biotechs*) par les entreprises pharmaceutiques « traditionnelles ». On estime à ce jour que plus des deux tiers des médicaments en développement clinique sont issus de *biotechs*.

Sur le plan social, notre réflexion intervient au moment d'un double mouvement : l'évolution de la place des patients dans les processus de régulation et une défiance croissante de la population envers les industriels, les autorités de santé et la rationalité scientifique. Ainsi, ce changement de paradigme **questionne en profondeur les mécanismes de régulation de notre système de santé et fait émerger avec force de nouvelles polémiques dans le débat public, dont celui du prix des médicaments.**

Le système nécessite ainsi d'être **réformé en profondeur**, pour restaurer la confiance et faciliter la coopération entre tous les acteurs. La mise en place rapide de réformes devra permettre de (ré)concilier deux objectifs : **l'égal accès pour tous les patients** aux traitements, dans les meilleures conditions possibles et la **préservation de notre système de santé solidaire**, grâce à des nouveaux modes de financement de l'innovation.

Propositions

Les mesures à prendre rapidement pour accélérer l'accès à l'innovation pour les patients

Proposition 1 : mettre en œuvre la réforme de l'évaluation des médicaments

Profiter de cette réforme engagée en 2015 pour améliorer la lisibilité et la pertinence des critères d'évaluation des médicaments, mieux réévaluer les médicaments entre eux à l'arrivée de nouvelles innovations et pouvoir orienter la négociation des prix vers des accords conditionnels aux résultats d'études en vie réelle.

Proposition 2 : mettre en place une procédure d'évaluation prioritaire à partir de l'autorisation de mise sur le marché (AMM), pour les produits ayant bénéficié d'une autorisation temporaire d'utilisation

Sur le modèle du label américain *breakthrough therapy*, rendre possible la priorisation des dossiers concernant des médicaments supposés innovants au sein des autorités chargées de l'évaluation et de la négociation du prix.

Proposition 3 : réformer à l'hôpital les critères d'inscription sur la « liste en sus » et adapter plus régulièrement les tarifs des groupes homogènes de séjour

Revenir à l'objectif initial de la « liste en sus », qui est un dispositif de prise en charge des médicaments innovants et permettre une gestion plus dynamique de cette « liste en sus » en radiant les traitements plus anciens et en ajustant de manière plus flexible les tarifs hospitaliers.

Proposition 4 : faire de l'attractivité de la France en matière de recherche clinique et de production pharmaceutique une priorité économique

Accentuer les efforts autour de plusieurs axes : réduire les délais de mise en place des essais cliniques, fluidifier les liens entre acteurs publics et privés, développer des passerelles professionnelles entre le monde universitaire et les entreprises privées et encourager le développement de centres de production pharmaceutique d'avenir.

Les réformes à mettre en œuvre à moyen terme pour fluidifier le dialogue entre les acteurs

Proposition 5 : améliorer le fonctionnement de la Haute Autorité de Santé (HAS)

Réduire les délais administratifs de traitement des dossiers, renforcer l'expertise médico-scientifique de la HAS et développer ses compétences en matière de médico-économie.

Proposition 6 : assurer un pilotage pluriannuel de l'Objectif national des dépenses d'assurance maladie (ONDAM)

L'ONDAM ne tient pas suffisamment compte des enjeux de long terme et reste structuré selon une logique de sous-enveloppes plus ou moins fermées. Un pilotage pluriannuel pourra apporter plus de visibilité et de flexibilité aux acteurs tout en permettant la fongibilité des enveloppes.

Proposition 7 : expérimenter de nouveaux modèles de financement en s'appuyant sur des registres de vie réelle

Un nombre croissant de médicaments destinés à un nombre réduit de patients arrive sur le marché. Afin de gérer le risque financier et s'adapter aux nouveaux modèles d'innovation, il est urgent de favoriser des modèles de financement innovants, en particulier la définition de prix par indication et le développement du paiement à la performance.

Proposition 8 : assurer la prise en charge des médicaments qui revendiquent un caractère innovant dès l'AMM

Sur le modèle allemand, mettre en place un mécanisme de mise sur le marché d'un médicament dès l'obtention de son AMM, avec une prise en charge immédiate par l'Assurance maladie. Un tel mécanisme concernera les médicaments revendiquant une amélioration du service médical rendu élevée.

Proposition 9 : promouvoir le développement d'outils numériques d'aide à la prescription afin d'améliorer le bon usage des innovations thérapeutiques

L'objectif n'est pas de contraindre les prescriptions des médecins mais de leur fournir un guide afin qu'ils puissent bénéficier des recommandations les plus actualisées et prescrire les médicaments les plus pertinents pour un patient donné.

Les projets à lancer à long terme afin d'assurer un meilleur pilotage politique de l'innovation

Proposition 10 : réunir une fois par an responsables politiques et administratifs, autorités de santé, patients, professionnels de santé et laboratoires pharmaceutiques pour favoriser les arbitrages politiques

Ce rendez-vous aurait pour objectif d'assurer un pilotage stratégique de l'innovation en santé tenant compte des grands objectifs de santé publique et des innovations sur lesquelles les laboratoires travaillent.

Proposition 11 : créer un écosystème et des financements favorables à l'émergence de grandes entreprises françaises de biotechnologie capables de prendre le relais de la recherche publique pour développer les innovations

Plusieurs leviers sont possibles : développer des fonds d'investissement de capital-risque spécialisés dans les entreprises à des stades de développement avancés ou inciter les investisseurs institutionnels à parier davantage sur le capital-risque dans le domaine des sciences de la vie.

Proposition 12 : se doter à l'échelle européenne d'outils de pilotage de l'innovation en santé cohérents en mutualisant l'évaluation et en partageant l'information

Inciter les pays membres de l'Union européenne à collaborer autour de plusieurs axes complémentaires : la mise en place d'un *horizon scanning* européen de l'innovation en santé, l'harmonisation des méthodologies d'impact budgétaire au niveau européen ou la création d'un *Health Data Hub* européen.