



**l'Assurance
Maladie**

Agir ensemble, protéger chacun

« SHARING RISKS / SHARING VALUE »

**COMMENT PARVENIR À UN PARTAGE
ÉQUILIBRÉ DES RISQUES ET DE LA VALEUR ?**

LES RISQUES POUR LES FINANCEURS

RISQUE 1 : ACCÈS RAPIDE AUX INNOVATIONS ET PREUVE DE L'EFFICACITÉ DU MÉDICAMENT



Problématique : un système d'évaluation a été mis en place pour objectiver le gain lié à la prise en charge du médicament mais qui a dû être dépassé pour accélérer l'accès à certains traitements

Risque : La mise en place des accès précoces a fait pencher le risque vers l'Assurance maladie puisque la prise en charge s'applique avant l'évaluation finale du produit

- L'accès précoce a permis à près de 70 000 patients en 2022 et déjà près de 40 000 patients pour les six premiers mois de 2023 de bénéficier de médicaments innovants ne présentant pas d'alternatives thérapeutiques. En deux ans, cela représente près de 2 milliards d'euros de dépenses.

Comment assurer un accès rapide aux médicaments avec un progrès thérapeutique tout en sécurisant l'adéquation entre l'investissement par l'Assurance maladie et l'évaluation finale?

RISQUE 2 : ASYMÉTRIE D'INFORMATIONS SUR LA STRATÉGIE DU LABORATOIRE

Problématique : les laboratoires ont souvent une stratégie d'entrée sur le marché sur des pathologies avec une faible population cible pour ensuite développer le produit avec des extensions d'indications

Risque : Le prix fixé et qui sert ensuite de base aux différentes négociations est négocié sur la base de populations cibles faibles

Comment se prémunir de ce type de stratégie pour permettre un ajustement des prix et une valeur qui soit en adéquation avec à la fois l'efficacité du produit mais également son impact financier global ?

exemple : Keytruda vs médicaments contre l'hépatite C



RISQUE 3 : UN PRIX FIXÉ EN FONCTION DU NOMBRE DE PATIENTS TRAITÉS



Problématique : la soutenabilité financière du système repose sur le respect des indications ce qui permet de respecter l'enveloppe financière anticipée pour les produits

Risque : Le mesusage ou l'utilisation du produit en dehors des indications du médicament peut entraîner un risque sanitaire mais également un risque pour la soutenabilité financière du système

Comment s'assurer de l'adéquation entre la valeur unitaire du produit et la valeur totale pour assurer la soutenabilité du système de santé ?

- **Outils contractuels**
- **Gestion du risque et bon usage**

RISQUE 4 : LA VALEUR DOIT GARANTIR L'ACCÈS AUX TRAITEMENTS



Problématique : la disponibilité des produits est inhérent à la négociations mais avec les pénuries qui augmentent le risque de rupture est de plus en plus important.

Risque : la valeur du produit doit prendre en compte ces risques de rupture

Comment assurer la disponibilité du produit pour les patients dans le cadre des négociations de prix ?

LES DONNÉES EN VIE RÉELLE POUR CONTENIR CES RISQUES

LES DONNÉES EN VIE RÉELLE BASE DE DONNÉES MÉDICO-ADMINISTRATIVES SNIIRAM (BÉGAUD, POLTON, VON LENNEP)



- Des données qui sont sans intervention sur les modalités usuelles de prise en charge des malades et ne sont pas collectées dans un cadre expérimental
- La rigueur du schéma expérimental est précisément sa limite pour conclure sur ce qu'il en sera une fois le médicament mis sur le marché, puisqu'on n'aura pas en vie réelle les mêmes patients sélectionnés sur des critères stricts d'inclusion et d'exclusion, les mêmes dosages, les mêmes durées de traitement, etc.
- **Les études en vie réelle sont donc complémentaires des essais cliniques et permettent, en premier lieu, d'observer dans quelle mesure les conditions des essais sont vérifiées dans la vraie vie.**
- L'horizon temporel des essais est en général insuffisant pour observer des impacts à long terme qu'un suivi prolongé en vie réelle pourra permettre de détecter de fait, des biais de sélection ou de confusion ont été effectivement documentés dans certaines études
- **Thérapies hormonales substitutives, recommandées en 2000 sur la base de résultats d'études observationnelles, ont montré dans un essai clinique publié en 2002 sur plus de 16 000 femmes des risques accrus de cardiopathie coronaire, cancer du sein, thrombose veineuse et AVC. Ces risques n'avaient pas été mis en évidence dans les études observationnelles du fait de la non prise en compte de facteurs de confusion tels que l'exercice physique, le tabac, le niveau d'éducation ou de revenu.**
- Les données en vie réelle peuvent également constituer un levier majeur d'amélioration des pratiques, de progrès continu de la connaissance collective, de régulation par la qualité et la pertinence de soins.

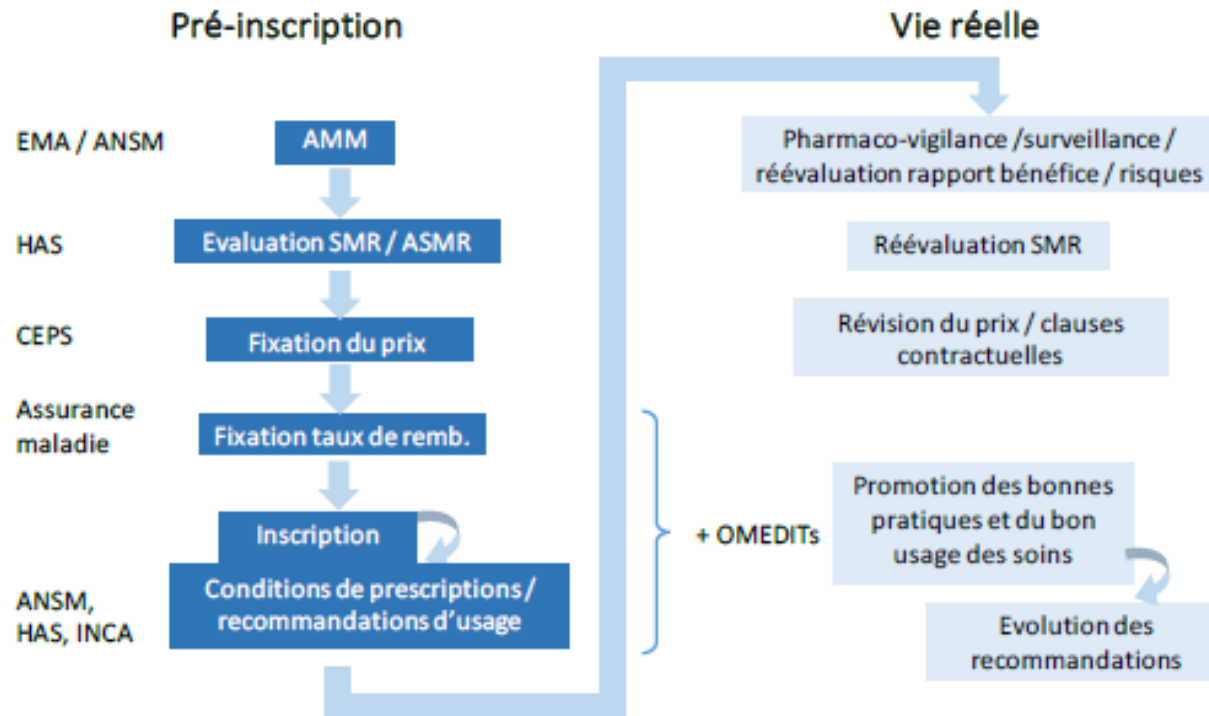
LES DONNÉES EN VIE RÉELLE BASE DE DONNÉES MÉDICO-ADMINISTRATIVES SNIIRAM (BÉGAUD, POLTON, VON LENNEP)



Typologie des finalités pouvant être poursuivies :

- la surveillance de la sécurité des produits de santé mis sur le marché et de leurs effets indésirables (*safety*),
- la surveillance du bon usage,
- la prise en charge financière sous conditions et la vérification du respect de ces conditions,
- l'évaluation de l'efficacité et de l'efficience en vie réelle,
- la mise en oeuvre de paiements différenciés en fonction de la performance / des résultats constatés en vie réelle (paiement « à la valeur »),
- des échanges professionnels et comparaisons de pratiques pour améliorer la qualité des soins et optimiser les traitements.

LE CHAMP D'UTILISATION DES DONNÉES EN VIE RÉELLE



LES DONNÉES MOBILISABLES

- Les données médico-administratives
- Les registres et cohortes
- Les système d'information en médecine de ville (IQVIA, GERS,)

EXEMPLE D'UTILISATION DE PRODUITS EN VIE RÉELLE : WEGOVY®

- **EPI-PHARE** (groupement d'intérêt scientifique en épidémiologie des produits de santé ANSM-Cnam) a réalisé une étude de pharmaco-épidémiologie pour décrire le profil des 7 048 patients traités en France en accès précoce post-AMM par Wegovy (sémaglutide) et les modalités d'utilisation de ce médicament. Cet analogue du GLP-1, a été mis à disposition en France jusqu'en septembre 2023 en accès précoce pour le traitement de l'obésité chez l'adulte.
- **Il s'agit de la première étude réalisée à partir de la base des médicaments en accès précoce d'EPI-PHARE, chaînée au Système national des données de santé (SNDS).**
- Wegovy a été autorisé entre le 21 juillet 2022 et le 27 septembre 2023 en accès précoce dans la prise en charge médicale de l'obésité des patients adultes ayant un indice de masse corporelle (IMC) initial supérieur ou égal à 40 kg/m² et présentant au moins une comorbidité liée au poids (hypertension artérielle, dyslipidémie, maladie cardiovasculaire, syndrome d'apnée du sommeil appareillé).
- Les patients étaient âgés de 48,5 ans en moyenne, majoritairement des femmes (65%), et présentaient au moins une comorbidité liée au poids permettant l'accès précoce (81%). Parmi les patients traités pour lesquels l'IMC était disponible (5 641), la très grande majorité (81,5%) avaient un IMC supérieur à 40 kg/m².
- L'analyse de séquences sur les 3 427 patients avec un suivi d'au moins 5 mois a permis de montrer 3 schémas principaux d'administration de Wegovy : les patients ayant reçu le traitement selon les recommandations d'escalade de dose (69,2%), les patients interrompant leur traitement précocement (17,2%) et enfin, les patients commençant par des doses d'emblée élevées de Wegovy (13,6%). Ce dernier groupe se caractérisait principalement par la présence plus importante de patients avec des antécédents de diabète et ayant été traités par d'autres analogues du GLP-1 dans les 2 ans précédant l'initiation de Wegovy.
- **Cette première étude en vie réelle sur l'utilisation de Wegovy donne un aperçu des caractéristiques des utilisateurs en accès précoce post-AMM de ce médicament analogue du GLP-1 en France, et des schémas de doses utilisés.**
- **Un suivi à plus long terme de ces patients permettra d'évaluer l'évolution des différents profils d'utilisation dans le cadre de sa mise sur le marché.**