



ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

évaluation des médicaments orphelins

Question écrite n° 11841

Texte de la question

M. Philippe Berta attire l'attention de Mme la ministre des solidarités et de la santé sur la réforme de l'évaluation des médicaments annoncée par le Gouvernement lors du 8ème Conseil stratégique des industries de santé (CSIS), qui s'est tenu le 10 juillet 2018. Présentée comme une mesure phare pour un dialogue plus stable et plus lisible avec les industries de santé, cette réforme sera progressive. Un groupe de travail a été missionné, notamment en vue de fondre les deux axes actuels d'évaluation, l'évaluation du service médical rendu et l'évaluation de l'amélioration du service médical rendu, en un seul, l'évaluation de la valeur thérapeutique relative. Cette nouvelle évaluation sera d'emblée comparative. Se pose alors, notamment pour les maladies rares, la question des médicaments orphelins innovants qui n'ont, par définition, pas de comparateur adéquat sur le marché. Leur évaluation est complexe et parfois biaisée dans le système actuel du fait de comparaisons avec des équivalents non pertinents. Le renforcement de l'approche comparative pourrait accentuer cette difficulté. En conséquence, il lui demande si des modalités d'évaluation et de remboursement spécifiques sont envisagées pour les médicaments orphelins innovants. Il souhaite également connaître la position du Gouvernement sur l'utilisation pour les médicaments orphelins innovants de dispositifs tels que le remboursement par indication mis en place entre le gouvernement irlandais et Vertex pour le traitement de la mucoviscidose ou encore tels que la réévaluation régulière des médicaments sur base de données en vie réelle.

Texte de la réponse

Le Gouvernement rappelle toute l'importance des évaluations scientifiques dans la politique de prise en charge des médicaments. Le dispositif de remboursement mis en place entre le Gouvernement irlandais et Vertex, qui propose une prise en charge globale de l'ensemble des indications sans différenciation des unes par rapport aux autres, en ne laissant donc aucune place à l'évaluation scientifique des médicaments dans chaque indication considérée, n'est pas compatible avec ce principe. Par ailleurs, la spécificité des médicaments orphelins est déjà prise en compte dans les négociations de prix. L'accord-cadre entre le Comité économique des produits de santé et les entreprises du médicament prévoit en effet une disposition spécifique pour ceux-ci afin de permettre un accès général des patients concernés à ces produits dans des conditions acceptables pour les entreprises comme pour l'assurance maladie. S'agissant des observations produites « en vie réelle », si méthodologiquement, elles ne peuvent pas remplacer celles issues des études cliniques bien conduites, elles contiennent toutefois des informations importantes, complémentaires à celles des études cliniques, pour s'assurer que les médicaments sont utilisés conformément aux recommandations, et qu'ils ne présentent pas d'effets indésirables ou de toxicités particulières qui n'auraient pas été observées initialement. Afin que ces données soient pleinement utilisées, le Gouvernement a mieux défini le cadre de leur recueil dans la loi de financement de la sécurité sociale pour 2019. Enfin, le Gouvernement rappelle que les médicaments sont d'ores et déjà réévalués régulièrement par la commission de la transparence, notamment sur la base de données en vie réelle.

Données clés

Auteur : [M. Philippe Berta](#)

Circonscription : Gard (6^e circonscription) - Mouvement Démocrate et apparentés

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 11841

Rubrique : Pharmacie et médicaments

Ministère interrogé : [Solidarités et santé](#)

Ministère attributaire : [Solidarités et santé](#)

[Date\(s\) clé\(e\)s](#)

Date de signalement : Question signalée au Gouvernement le 26 novembre 2018

Question publiée au JO le : [28 août 2018](#), page 7551

Réponse publiée au JO le : [10 décembre 2019](#), page 10797