

# Prix et accès aux traitements médicamenteux innovants

## Déclaration du groupe des Personnalités qualifiées

**Sylvie Castaigne** : « Voici un avis tellement nécessaire et d'actualité. Permettez-moi de vous féliciter pour ce travail sur le prix et l'accès aux traitements innovants.

Bonne nouvelle : nous disposons de plus en plus de médicaments nouveaux et efficaces en particulier pour traiter le cancer. Au lieu de tuer les cellules cancéreuses sans discernement c'est-à-dire avec le risque de tuer les cellules normales comme le fait la chimiothérapie, ces médicaments innovants ciblent une anomalie moléculaire responsable du processus malin. Ces médicaments innovants sont en général le fruit de la recherche fondamentale, souvent académique qui a mis en évidence ces cibles moléculaires et le fruit du travail de recherche d'entreprises de biotech qui ont trouvé la molécule active sur ces cibles. Les big pharma réalisent ensuite la mise au point du médicament, sa fabrication industrielle avec tous les critères pharmacologiques de qualité, les essais internationaux du développement clinique sur plusieurs années, et finalement constituent le lourd et complexe dossier réglementaire qui permettra éventuellement leur mise sur le marché.

Mauvaise nouvelle : ces médicaments sont chers, trop chers et le prix demandé dépasse nettement les coûts de production. Alors pourquoi de tels coûts ? Le coût élevé viendrait permettre à l'industriel de continuer ses investissements dans la recherche, serait justifié par les vies sauvées ou prolongées, et les économies réalisées par rapport aux coûts de santé engendrés antérieurement par la maladie cancéreuse.

Cependant ces coûts excessifs en l'état ne sont pas supportables par notre système de santé ou bien nécessiteraient que les financements nécessaires soient compensés par un désinvestissement dans d'autres domaines de la santé tout aussi importants.

Or tous les médicaments innovants ne sont pas aussi efficaces que le premier traitement ciblé, l'Imatinib, qui a transformé une leucémie chronique, maladie autrefois toujours mortelle en une maladie curable.

Il faut donc discuter avec l'industrie pharmaceutique, parfois pied à pied, pour limiter leurs demandes.

Le projet d'avis formule des propositions en ce sens et propose ainsi plusieurs mécanismes pour renforcer les outils de l'agence du médicament et de la HAS comme : des indicateurs médico-économique d'évaluation ; la transparence à tous les niveaux des débats et décisions sur le prix ; des évaluations y compris par des essais académiques indépendants de l'industrie en vie réelle du médicament une fois sur le marché ; la possibilité de moduler ou réviser le prix en fonction des indications ; le contrôle de la liste en sus des médicaments innovants remboursés à 100% aux

hôpitaux ; la transparence au niveau européen des prix finalement accordés et pourquoi pas une agence de fixation du prix et une centrale d'achat européenne.

Les recommandations de ce projet avis sont toutes pragmatiques, réalisables et nécessaires. Bravo aux rapporteurs pour le travail effectué. Je voterai le projet d'avis ».

**Véronique Séhier** : « Pour la société civile que nous représentons, il est important que chaque citoyen.ne puisse bénéficier en connaissance de cause des progrès de la recherche médicale et des traitements innovants qu'elle permet ensuite pour traiter la maladie. Mais il.elle est en droit de s'interroger sur le prix à payer pour cela. Le prix de ces médicaments innovants explose. Certes, au-delà des coûts de production, il finance la recherche et le développement, la diffusion... Mais la fixation du prix des médicaments innovants est aujourd'hui d'une très grande opacité. Et cette opacité est difficilement compatible avec l'idée même de démocratie sanitaire et d'exercice de cette démocratie sanitaire.

Oui, le sujet est complexe, et il n'y a pas de solution simpliste.

Il est essentiel de garantir la soutenabilité du système de protection sociale et d'accès aux soins basé aujourd'hui sur la solidarité nationale, et qui doit permettre l'égalité d'accès aux traitements pour toutes les personnes. Il faut en même temps soutenir la recherche, dont la recherche fondamentale universitaire, sans abandonner des pans de cette recherche en fonction du peu de rentabilité des traitements possibles, définir ce qu'est l'innovation et enfin développer la prévention.

Le travail de cette saisine a permis de nous apporter un peu de lumière sur la fixation des prix et montre bien la nécessité de renforcer la transparence, et donc aussi la confiance des usagers et usagères du système de soins, en instituant des mécanismes de régulation plus clairs et plus contraignants aux niveaux national, européen et international, pour fixer un juste prix.

Comme le disait Sylvie Castaigne avant moi, votre travail montre la nécessité de discuter pied à pied avec les représentants de l'industrie pharmaceutique pour limiter leurs demandes et garantir cette soutenabilité. La règle du jeu doit être lisible par toutes les parties, dont les usager.e.s du système de soins, et mener à limiter le niveau de profitabilité de ce secteur.

Cet avis pose les premières bases de ces discussions en proposant plusieurs mécanismes pour renforcer les outils existants de l'agence du médicament et de la HAS, entre autres recommandations, ainsi que l'importance d'une plus grande indépendance vis-à-vis de l'industrie pharmaceutique, notamment au niveau de l'évaluation en vie réelle du médicament une fois sur le marché.

Les recommandations de cet avis mettent en évidence l'intérêt de poursuivre le débat sur la mise en place d'une vraie politique publique du médicament intégrant la recherche, le contrôle et l'évaluation, en lien avec la production et la mise sur le marché. En tant que personne qualifiée, je voterai cet avis ».